



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/470231/2023
EMA/H/C/005484

Loargys (*pegzilarginasa*)

Información general sobre Loargys y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Loargys y para qué se utiliza?

Loargys es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de personas a partir de 2 años de edad con hiperargininemia.

Los pacientes con hiperargininemia no pueden descomponer el aminoácido arginina porque carecen de la enzima hepática arginasa 1. Como resultado, la arginina se acumula en el organismo. Esto puede causar problemas en el sistema nervioso, incluidas crisis epilépticas y rigidez de las piernas.

La hiperargininemia es una enfermedad rara, y Loargys fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 14 de julio de 2016. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la EMA: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-16-1701..

Loargys contiene el principio activo pegzilarginasa.

¿Cómo se usa Loargys?

Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe iniciarlo y supervisarlo un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con enfermedades metabólicas hereditarias. Las primeras dosis deben administrarse en un emplazamiento con apoyo médico adecuado para controlar las reacciones alérgicas.

Loargys se administra una vez a la semana, mediante perfusión intravenosa (goteo) o como inyección subcutánea. La dosis depende del peso del paciente y puede ajustarse en función de los niveles de arginina en la sangre del paciente. Se necesitan análisis de sangre regulares para controlar la arginina y ajustar la dosis en caso necesario.

Los pacientes o sus cuidadores pueden inyectarse Loargys ellos mismos después de recibir una formación adecuada. Antes de que los pacientes puedan inyectarse Loargys, deberán haber recibido tratamiento durante al menos 8 semanas y recibir una dosis de mantenimiento estable. Además, su riesgo de reacciones alérgicas a Loargys debe evaluarse como bajo.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Loargys debe utilizarse junto con otras medidas para tratar la enfermedad, como una dieta baja en proteínas, complementos con aminoácidos y cualquier otro medicamento necesario para tratar la enfermedad.

Si desea más información sobre el uso de Loargys, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Loargys?

El principio activo de Loargys, la pegzilarginasa, actúa de forma similar a la arginasa 1, la enzima que falta en las personas con hiperargininemia. La pegzilarginasa descompone el exceso de arginina de la sangre. De este modo se evitan daños en el cerebro y en otros órganos.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Loargys en los estudios realizados?

Loargys se comparó con un placebo (un tratamiento ficticio) en un estudio en el que participaron 32 adultos y niños con hiperargininemia. El criterio principal de valoración de la eficacia fue la variación de la concentración sanguínea de arginina al cabo de 24 semanas de tratamiento. El estudio demostró que los niveles de arginina se redujeron en un 77 % en los pacientes tratados con Loargys, mientras que no se produjo ninguna reducción de los niveles de arginina en los pacientes que recibieron placebo.

Aunque el estudio también sugería que Loargys puede mejorar la función motora en comparación con el placebo, la diferencia no era estadísticamente significativa (es decir, puede deberse al azar). Sin embargo, los datos preliminares a largo plazo recopilados más allá del periodo de tratamiento de 24 semanas indicaron que la función motora (caminar y estar de pie) puede estabilizarse o mejorar gradualmente con el uso a largo plazo del medicamento.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Loargys?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Loargys se puede consultar en el prospecto.

Los efectos secundarios más frecuentes de Loargys son reacciones alérgicas (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes).

¿Por qué se ha autorizado Loargys en la UE?

Se ha demostrado que Loargys reduce los niveles de arginina en pacientes con hiperargininemia. Los datos también indicaron que el tratamiento a largo plazo con Loargys mejora o estabiliza gradualmente las capacidades motoras de los pacientes. Aunque los datos de seguridad son limitados, los efectos adversos se consideran generalmente controlables. Por consiguiente, la Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Loargys eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

Loargys ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Loargys debido a la rareza de la enfermedad. La Agencia revisará anualmente la información nueva que esté disponible y actualizará esta información general cuando sea necesario.

Dado que Loargys se autorizó en circunstancias excepcionales, en el momento de la autorización la empresa que comercializa Loargys estaba obligada a proporcionar actualizaciones anuales sobre la recopilación de datos de dos estudios basados en registros sobre la eficacia y la seguridad a largo plazo de la pegzilarginasa en pacientes con hiperargininemia. La empresa también presentará los resultados

finales de dos estudios sobre la seguridad, la tolerabilidad y la eficacia a largo plazo de la pegzilarginasa en adultos, adolescentes y niños con hiperargininemia. También proporcionará una actualización anual de cualquier nueva información sobre la eficacia y la seguridad del medicamento en la población destinataria.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Loargys?

La compañía que comercializa Loargys proporcionará a los pacientes y cuidadores material educativo sobre cómo manipular e inyectar el medicamento, a fin de informarles sobre los riesgos de reacciones alérgicas graves y la necesidad de ponerse en contacto con su médico si experimentan síntomas.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Loargys se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Loargys se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Loargys se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Loargys

Puede encontrar más información sobre Loargys en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys.