



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Loargys (*pegzilarginase*)

Um resumo sobre Loargys e por que está autorizado na UE

### O que é Loargys e para que é utilizado?

Loargys é um medicamento utilizado no tratamento de pessoas a partir dos 2 anos de idade com hiperargininemia.

Os doentes com hiperargininemia não são capazes de decompor o aminoácido arginina por não possuírem a enzima hepática arginase 1. Como resultado, a arginina acumula-se no organismo. Isto pode causar problemas no sistema nervoso, incluindo convulsões e rigidez nas pernas.

A hiperargininemia é uma doença rara, e Loargys foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 14 de julho de 2016. Estão disponíveis mais informações sobre a designação de medicamento órfão no [sítio Web](#) da EMA.

Loargys contém a substância ativa pegzilarginase.

### Como se utiliza Loargys?

O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento de doentes com doenças metabólicas hereditárias. As primeiras doses devem ser administradas num local com apoio médico adequado para controlar as reações alérgicas.

Loargys é administrado uma vez por semana, por perfusão (administração gota a gota) numa veia ou por injeção sob a pele. A dose depende do peso do doente e pode ser ajustada com base nos níveis de arginina no sangue do doente. São necessários testes de sangue regulares para monitorizar a arginina e ajustar a dose, se for o caso.

Os doentes ou os seus cuidadores podem injetar Loargys após formação adequada. Antes de poderem injetar Loargys, os doentes devem ter recebido tratamento durante, pelo menos, 8 semanas e receber uma dose de manutenção estável. Além disso, o seu risco de reações alérgicas a Loargys deve ser avaliado como baixo.

Loargys deve ser utilizado em associação com outras medidas para o tratamento da doença, incluindo uma dieta pobre em proteínas, suplementos de aminoácidos e quaisquer outros medicamentos necessários para o tratamento da doença.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

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

An agency of the European Union



Para mais informações sobre a utilização de Loargys, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

## **Como funciona Loargys?**

A substância ativa de Loargys, a pegzilarginase, funciona de forma semelhante à arginase 1, a enzima em falta nas pessoas com hiperargininemia. A pegzilarginase decompõe o excesso de arginina do sangue. Isto evita danos ao cérebro e a outros órgãos.

## **Quais os benefícios demonstrados por Loargys durante os estudos?**

Loargys foi comparado com um placebo (tratamento simulado) num estudo que incluiu 32 adultos e crianças com hiperargininemia. O principal parâmetro de eficácia foi a alteração do nível sanguíneo de arginina após 24 semanas de tratamento. O estudo demonstrou que os níveis de arginina foram reduzidos em 77 % nos doentes tratados com Loargys, não havendo redução dos níveis de arginina nos doentes que receberam o placebo.

Embora o estudo também tenha sugerido que Loargys pode melhorar a função motora em comparação com o placebo, a diferença não foi estatisticamente significativa (ou seja, pode ser devida ao acaso). No entanto, dados preliminares de longo prazo, recolhidos para além do período de tratamento de 24 semanas, indicaram que a função motora (andar e ficar em pé) pode estabilizar ou melhorar gradualmente com a utilização do medicamento a longo prazo.

## **Quais são os riscos associados a Loargys?**

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Loargys, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Loargys incluem reações alérgicas (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas).

## **Por que está Loargys autorizado na UE?**

Loargys demonstrou reduzir os níveis de arginina em doentes com hiperargininemia. Os dados também indicaram que o tratamento a longo prazo com Loargys melhora ou estabiliza gradualmente as capacidades motoras dos doentes. Embora os dados de segurança sejam limitados, os efeitos secundários são geralmente considerados controláveis. Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Loargys são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Loargys foi autorizado em «circunstâncias excecionais». Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre Loargys devido à raridade da doença. A Agência procederá, anualmente, à análise de novas informações disponíveis e, se necessário, à atualização do presente resumo.

Uma vez que Loargys foi autorizado em circunstâncias excecionais, no momento da autorização a empresa que comercializa Loargys era obrigada a fornecer atualizações anuais sobre a recolha de dados de dois estudos baseados em registos sobre a eficácia e a segurança a longo prazo da pegzilarginase em doentes com hiperargininemia. A empresa também fornecerá os resultados finais de dois estudos sobre a segurança, a tolerabilidade e a eficácia a longo prazo da pegzilarginase em adultos, adolescentes e crianças com hiperargininemia. Também fornecerão uma atualização anual de qualquer nova informação sobre a eficácia e a segurança do medicamento na população a que se destina.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Loargys?**

A empresa responsável pela comercialização de Loargys fornecerá aos doentes e aos prestadores de cuidados materiais informativos sobre o manuseamento e a injeção do medicamento, informando-os sobre os riscos de reações alérgicas graves e a necessidade de contactarem o médico em caso de sintomas.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Loargys.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Loargys são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Loargys são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

## **Outras informações sobre Loargys**

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:  
[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/loargys).