



Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de pegzilarginasa (Loargys®) en pacientes con hiperargininemia

Fecha de publicación: 23 de junio de 2025

¿Qué es pegzilarginasa y para qué se utiliza?

Loargys® es el nombre comercial de un medicamento basado en pegzilarginasa, enzima humana recombinante y pegilada que actúa como terapia enzimática. Está diseñada específicamente para restaurar la función de la enzima arginasa 1, cuya deficiencia caracteriza a la enfermedad metabólica hereditaria conocida como déficit de arginasa 1 (ARG1-D), o hiperargininemia en adultos, adolescentes y niños a partir de 2 años de edad. El titular de la autorización de comercialización en la Unión Europea es Immedica Pharma AB. En España, el laboratorio ofertante es Immedica Pharma AB.

Se utiliza para el tratamiento del déficit de arginasa 1 (ARG1-D), también conocida como hiperargininemia, en adultos, adolescentes y niños a partir de 2 años de edad.

Los pacientes con hiperargininemia no pueden degradar adecuadamente el aminoácido arginina debido a la falta o mal funcionamiento de la enzima hepática arginasa 1. Esta alteración provoca una acumulación tóxica de arginina y compuestos derivados de guanidina, lo que puede desencadenar manifestaciones neurológicas como espasticidad progresiva, crisis epilépticas y retraso del desarrollo motor.

Este medicamento debe ser iniciado y supervisado por un médico con experiencia en el tratamiento de pacientes con enfermedades metabólicas hereditarias.

¿Cómo funciona pegzilarginasa?

El principio activo de Loargys®, la pegzilarginasa, actúa de forma similar a la arginasa 1, la enzima que está ausente o no funciona correctamente en los pacientes con hiperargininemia. La pegzilarginasa actúa degradando el exceso de arginina en la sangre, transformándola en urea y ornitina, compuestos que el organismo puede eliminar de forma natural. Al reducir de manera eficaz y sostenida los niveles elevados de arginina, la pegzilarginasa contribuye a prevenir el daño progresivo que esta acumulación puede provocar en el sistema nervioso central y en otros órganos vitales.

Información básica sobre la autorización

Loargys® ha sido autorizado mediante procedimiento centralizado, es decir, su aprobación ha sido concedida por la Comisión Europea y es válida en todos los países de la Unión Europea (UE), tras la opinión favorable del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA), que decidió que sus beneficios son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE¹.

Loargys® fue autorizado el 15 de diciembre de 2023, en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Loargys debido a la rareza de la

¹ Puede consultar la información en el siguiente enlace:
<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/loargys>



enfermedad. La EMA revisará anualmente la información nueva que esté disponible y actualizará esta información general cuando sea necesario.

Se trata de un medicamento huérfano, es decir, un medicamento utilizado en una enfermedad rara (se entiende como enfermedad rara en Europa a aquella patología con una prevalencia inferior a 5 casos por cada 10.000 habitantes) para la que la EMA ha considerado que el medicamento aportará un beneficio.

Conclusiones de la evaluación comparada de Loargys®

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios ha publicado el Informe de Posicionamiento Terapéutico de Loargys®²

Los pacientes con deficiencia de arginasa 1 muestran hiperargininemia persistente, hiperamonemia y progresión continua de la enfermedad a pesar del tratamiento individualizado actual de la enfermedad, que incluye una estricta restricción de proteínas en la dieta para reducir la arginina, junto con la administración de suplementos de aminoácidos esenciales (EAA) y quelantes de amonio para disminuir la acumulación de éste en sangre.

Ninguna de estas terapias aborda directamente la enfermedad subyacente y, además, la evidencia publicada que demuestre su efectividad clínica a lo largo del tiempo es limitada.

El desarrollo clínico de Loargys® se basa en tres estudios, en un total de 48 pacientes. El tercero de ellos es el ensayo clínico pivotal, que incluyó a 32 pacientes pediátricos y adultos y donde pegzilarginasa se comparó con un placebo para demostrar su eficacia sobre la base de una disminución estadísticamente significativa de los niveles plasmáticos de arginina, tras 24 semanas de tratamiento. Los resultados de eficacia mostraron que la pegzilarginasa redujo significativamente la arginina plasmática media en un 76,7% respecto al valor basal, mientras que en el grupo placebo se observó un aumento del 12.6%. Pegzilarginasa demostró una reducción temprana, clínicamente significativa, consistente y sostenida de la arginina plasmática, alcanzando no sólo objetivos terapéuticos sino niveles normales en el 90,5% de los pacientes. Este aspecto es de elevada importancia dado que las manifestaciones neurológicas de esta enfermedad reflejan los efectos neurotóxicos de la arginina y/o los compuestos guanidinos que se acumulan junto con, y como resultado de, la elevación de arginina.

Además, se observaron mejoras clínicamente significativas a las 24 semanas de tratamiento, en la escala de función motora gruesa GMFM-E y en los resultados de la prueba de marcha de 2 ó 6 minutos, lo cual es relevante ya que se esperaría un deterioro de la función motora en este trastorno crónico y progresivo.

En conclusión, la pegzilarginasa es el primer tratamiento de la ARG1-D que trata la causa subyacente de la enfermedad, demostrando que tiene el potencial de retrasar la progresión de esta enfermedad.

Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos, en su sesión de 18 de diciembre de 2024, acordó proponer a la Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia la inclusión en la prestación farmacéutica del SNS de este medicamento y su financiación en el tratamiento de la deficiencia de arginasa 1 (ARG1-D), también conocida como hiperargininemia, en adultos, adolescentes y niños a partir de 2 años de edad.

²La última versión de 24 de junio de 2024 se puede consultar en el siguiente enlace:
<https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2024/IPT-287-Loargys-pegzilarginasa.pdf>



Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

Se ha establecido un techo máximo de gasto de 3 años de duración para todo el Sistema Nacional de Salud (incluidas las Mutualidades: MUFACE, MUGEJU e ISFAS, así como Sanidad Penitenciaria) a contar desde el mes de entrada en el Nomenclátor y su puesta en el mercado.

Adicionalmente se ha establecido un coste máximo anual de tratamiento por paciente adulto.

Más información

La situación de financiación de los medicamentos puede consultarse a través del buscador BIFIMED, accesible a través de la página del Ministerio de Sanidad, en el siguiente link:

<https://www.sanidad.gob.es/profesionales/medicamentos.do>

La búsqueda puede realizarse por principio activo, nombre del medicamento o código nacional.

Una vez se accede al medicamento en cuestión en el apartado “Más información” aparecen las indicaciones que están financiadas, las que no lo están, así como la fecha de alta en la financiación, entre otros.