



Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de lomitapida (Lojuxta®) en la hipercolesterolemia familiar homocigótica en adultos

Fecha de publicación: 28 de abril de 2025

¿Qué es lomitapida y para qué se utiliza?

Lojuxta® es un medicamento que contiene el principio activo lomitapida. El titular de la autorización de comercialización en la Unión Europea es Chiesi Farmaceutici S.P.A. En España, el laboratorio ofertante es CHIESI ESPAÑA S.A.U.

Está indicado para el tratamiento de pacientes adultos con hipercolesterolemia familiar homocigótica, una enfermedad hereditaria que provoca niveles elevados de colesterol (un tipo de grasa) en sangre. Se utiliza junto con una dieta baja en grasas y otros medicamentos para reducir los niveles de grasas en sangre. La enfermedad debe confirmarse mediante pruebas genéticas del paciente, siempre que sea posible.

¿Cómo funciona lomitapida?

El principio activo de Lojuxta®, la lomitapida, bloquea la acción de una sustancia del organismo conocida como "proteína microsomal de transferencia de triglicéridos", presente en las células del hígado y el intestino. Esta proteína está implicada en la aglomeración de sustancias grasas, como el colesterol y los triglicéridos, en partículas de mayor tamaño denominadas lipoproteínas, que se liberan al torrente circulatorio. Al bloquear esta proteína, Lojuxta® disminuye la cantidad de lípidos liberados a la sangre, ayudando de esta manera a reducir el nivel de colesterol en la hipercolesterolemia.

Información básica sobre la autorización

Lojuxta® está autorizado por un procedimiento centralizado, es decir, tiene una autorización válida concedida el 31 de julio de 2013 para toda la Unión Europea por la Comisión Europea tras la opinión favorable del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA)¹.

El CHMP consideró que los efectos del medicamento al reducir los niveles de LDL-colesterol suponían un beneficio para los pacientes con hipercolesterolemia familiar homocigótica, que necesitan un tratamiento eficaz. Sin embargo, el CHMP señaló que los beneficios a largo plazo para el corazón y el sistema circulatorio estaban aún por confirmar. El Comité indicó también que Lojuxta® tenía efectos secundarios intestinales en muchos pacientes, que llevaban a la interrupción del tratamiento, y que producía un incremento en los niveles de las enzimas hepáticas cuyas consecuencias a largo plazo se desconocían. Por tanto, el Comité consideró que estos efectos debían estudiarse y controlarse estrechamente. Para dar respuesta se está realizando un registro (Registro LOWER) dentro de un plan de gestión de riesgos para evaluar la eficacia y seguridad de Lojuxta®. Lojuxta® se ha autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre Lojuxta® debido a la rareza de la enfermedad. Cada año, la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) revisará la nueva información disponible, procediendo a la correspondiente actualización de la información disponible cuando sea necesario.

¹ LOWER: Lomitapide Observational Worldwide Evaluation Registry (LOWER).
https://www.ema.europa.eu/es/documents/product-information/lojuxta-epar-product-information_es.pdf

Dado que Lojuxta® ha sido autorizado en circunstancias excepcionales, la empresa que comercializa el medicamento está llevando a cabo un estudio a largo plazo con pacientes que estén tomando Lojuxta®, a fin de proporcionar más datos sobre su seguridad y eficacia, incluyendo los efectos secundarios sobre el hígado, el intestino y el sistema cardiovascular. El estudio ofrece también datos sobre embarazos en mujeres que estén tomando el medicamento y sobre el cumplimiento por parte de los profesionales sanitarios de las recomendaciones de seleccionar y controlar a los pacientes antes y durante el tratamiento.

Conclusiones de la evaluación comparada de Lojuxta®

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) ha publicado el Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT) de Lojuxta®². Se considera que los pacientes con HFHo tienen opciones terapéuticas limitadas, y lomitapida supone una alternativa terapéutica añadida a las existentes.

Cuando se realizó el IPT inicial de Lojuxta® en 2013, todavía no estaban disponibles los inhibidores de PCSK9 (proproteína convertasa subtilisina/ kexina tipo 9) evolocumab y alirocumab. Actualmente, el evolocumab tiene indicación y recomendación de uso en pacientes con HFHo no controlados (definidos como aquellos con un c-LDL superior a 100 mg/dl) a pesar de dosis máximas toleradas de estatinas y otras posibles opciones. A pesar de que la HFHo se presenta fundamentalmente en pacientes menores de 25 años, considerando el perfil de seguridad de lomitapida y la falta de datos en pacientes pediátricos, actualmente la indicación de lomitapida se encuentra restringida a los adultos.

Los beneficios de Lojuxta® para reducir el colesterol sanguíneo se evaluaron en un estudio fundamental en el que participaron 29 pacientes con hipercolesterolemia familiar homocigótica. A todos los pacientes se les administró Lojuxta® junto con otros medicamentos para reducir el nivel de grasas en sangre. Lojuxta® no se comparó con ningún otro tratamiento. La principal medida de eficacia fue el cambio en los niveles sanguíneos de colesterol unido a lipoproteínas de baja densidad (LDL), conocido comúnmente como "colesterol malo", a las 26 semanas de tratamiento. De media, los niveles de LDL-colesterol de los pacientes se redujeron en un 40 %. Mejoraron también otros parámetros lipídicos en pacientes adultos con HFHo. Dichos resultados son consistentes con ensayos clínicos adicionales publicados recientemente, así como en la experiencia post-comercialización.

El efecto secundario más grave observado en algunos pacientes tratados con Lojuxta® es un incremento anómalo de los niveles de enzimas hepáticas. A este respecto se dispone de advertencias y precauciones especiales de empleo a fin de monitorizar un seguimiento adecuado.

Lojuxta® no debe administrarse a mujeres embarazadas. Tampoco debe utilizarse en pacientes con función hepática moderada o intensamente reducida, o con alteraciones inexplicadas de los resultados de los análisis de función hepática, ni en pacientes con problemas intestinales significativos o de larga duración. Lojuxta® no debe utilizarse junto con dosis superiores a 40 mg diarios de simvastatina (otro medicamento utilizado para reducir los niveles de colesterol sanguíneo) y se debe tener precaución con otros medicamentos que afectan a la forma en que la lomitapida se elimina del organismo.

En conclusión, en caso de prescribir lomitapida, debe utilizarse en tercera línea terapéutica en pacientes adultos con HFHo confirmada genéticamente (siempre que el test esté disponible) cuyo c-LDL no está controlado a pesar de tratamiento con otros hipolipemiantes (estatinas y

² La última versión de 5 de noviembre de 2018 se puede consultar en el siguiente enlace: <https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/IPT-lomitapida-Lojuxta-Hiperlipemias.pdf>

ezetimiba, o evolocumab en caso de respuesta insuficiente o intolerancia a estatinas) y aféresis LDL, o dichos tratamientos no se toleran o la aféresis LDL no está disponible.

Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos, en su sesión de 23 de octubre de 2024, acordó proponer a la Dirección General de Cartera Común del Sistema Nacional de Salud y Farmacia la inclusión en la prestación farmacéutica del Sistema Nacional de Salud (SNS) de este medicamento y su financiación en la indicación autorizada, es decir, como complemento a una dieta baja en grasas y a otros medicamentos hipolipemiantes con o sin aféresis de lipoproteínas de baja densidad (LDL) en pacientes adultos con hipercolesterolemia familiar homocigótica (HoFH).

Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

En el SNS se limita su uso a tercera línea terapéutica en pacientes adultos con HoFH confirmada genéticamente, cuyo c-LDL no está controlado a pesar de tratamiento con otros hipolipemiantes (estatinas y ezetimiba, o evolocumab en caso de respuesta insuficiente o intolerancia a estatinas) y aféresis LDL, o dichos tratamientos no se toleran o la aféresis LDL no está disponible. No considerándose el uso en combinación con evinacumab dentro de las condiciones de financiación. A su vez se acuerda el establecimiento de reservas singulares en el ámbito del SNS, consistente en limitar su dispensación, sin necesidad de visado, a los pacientes no hospitalizados en los Servicios de Farmacia de los Hospitales.

La financiación de Lojuxta® cuenta con el establecimiento de una dosis máxima por paciente/día con cargo al SNS.

Asimismo, se ha acordado la devolución del diferencial entre el precio del medicamento suministrado a través de la aplicación de Medicamentos en Situaciones Especiales de la AEMPS y el precio financiado. El periodo aplicable a esta devolución es el transcurrido desde la Solicitud Inclusión en la Prestación Farmacéutica del Sistema Nacional de Salud de parte y el día de alta del fármaco en el Nomenclátor de facturación del SNS.

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.