

EMA/34440/2016
EMA/H/C/002578

Riassunto EPAR destinato al pubblico

Lojuxta

lomitapide

Questo è il riassunto della relazione pubblica europea di valutazione (EPAR) per Lojuxta. Illustra il modo in cui l'Agenzia ha valutato il medicinale arrivando a raccomandarne l'autorizzazione nell'UE e le condizioni d'uso. Non ha lo scopo di fornire consigli pratici sull'utilizzo di Lojuxta.

Per informazioni pratiche sull'uso di Lojuxta i pazienti devono leggere il foglio illustrativo oppure consultare il medico o il farmacista.

Che cos'è e per che cosa si usa Lojuxta?

Lojuxta è un medicinale contenente il principio attivo lomitapide. Lojuxta è un medicinale contenente il principio attivo lomitapide, usato nel trattamento di pazienti adulti con ipercolesterolemia familiare omozigote, una malattia ereditaria che provoca un innalzamento dei livelli ematici di colesterolo (un tipo di grasso). Il medicinale è usato in associazione a una dieta povera di grassi e ad altri medicinali per ridurre il livello di grassi nel sangue. Quando possibile, la malattia del paziente deve essere diagnosticata mediante test genetico.

Come si usa Lojuxta?

Lojuxta può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. È disponibile sotto forma di capsule (5, 10, 20, 30, 40 e 60 mg) da assumere per bocca a stomaco vuoto, almeno due ore dopo il pasto serale. La terapia deve essere iniziata e monitorata da un medico esperto nel trattamento di condizioni che determinano un aumento dei livelli ematici di grassi. Il trattamento deve iniziare alla dose di 5 mg una volta al giorno; se ben tollerato, il dosaggio può essere gradatamente aumentato fino a raggiungere la dose massima di 60 mg. I pazienti affetti da funzione epatica moderatamente o gravemente ridotta non devono assumere Lojuxta. I pazienti in dialisi renale possono dover assumere una dose ridotta. I pazienti che assumono taluni altri medicinali possono anche avere bisogno di assumere una dose ridotta oppure assumere Lojuxta e gli altri medicinali in tempi diversi. I pazienti devono evitare di bere mentre assumono Lojuxta. Per ulteriori informazioni, consultare il foglio illustrativo.

Come agisce Lojuxta?

Il principio attivo in Lojuxta, lomitapide, blocca l'azione di una sostanza presente nell'organismo denominata "proteina microsomiale di trasferimento dei trigliceridi", che si trova nelle cellule di fegato e nell'intestino. Tale sostanza è responsabile dell'accumulo delle sostanze grasse quali colesterolo e trigliceridi in particelle di più grandi dimensioni dette lipoproteine, che successivamente sono rilasciate nel sangue. Bloccando questa proteina, Lojuxta diminuisce il livello di grassi rilasciati nel sangue, contribuendo in tal modo a ridurre il tasso di colesterolo nell'ipercolesterolemia.

Quali benefici di Lojuxta sono stati evidenziati negli studi?

I benefici di Lojuxta nella riduzione del colesterolo ematico sono stati valutati nell'ambito di uno studio principale cui hanno partecipato 29 pazienti con ipercolesterolemia familiare omozigote. Tutti i pazienti sono stati trattati con Lojuxta in associazione ad altri medicinali per la riduzione del livello di grassi nel sangue. Lojuxta non è stato confrontato con altre terapie. Il principale parametro dell'efficacia erano le variazioni dei livelli ematici di colesterolo LDL (lipoproteina a bassa densità), comunemente noto come "colesterolo cattivo", nei pazienti a distanza di 26 settimane dal trattamento. In media, i livelli di colesterolo LDL nei pazienti sono stati ridotti del 40%.

Quali sono i rischi associati a Lojuxta?

L'effetto indesiderato più grave osservato in alcuni pazienti trattati con Lojuxta è un aumento anomalo dei livelli enzimatici nel fegato. Gli effetti indesiderati più comuni sono problemi intestinali, che possono interessare 9 persone su 10: diarrea e nausea sono state osservate in circa 7 persone su 10, dispepsia (bruciori gastrici) e vomito sono stati osservati ciascuno in oltre 3 persone su dieci, mentre dolore, disagio e meteorismo addominale (ventre), stitichezza e flatulenza sono stati osservati il almeno 2 persone su 10. Per l'elenco completo degli effetti indesiderati rilevati con Lojuxta, vedere il foglio illustrativo.

Lojuxta non deve essere usato nelle donne in gravidanza. Inoltre, non deve essere somministrato a pazienti con insufficienza epatica da moderata a grave o con risultati dei test del fegato fuori dalla norma e inspiegati, o a soggetti con problemi intestinali significativi o di lungo termine. Lojuxta non deve essere usato in concomitanza con una dose di simvastatin (un altro medicinale usato per abbassare i livelli ematici di colesterolo) superiore a 40 mg o con taluni altri medicinali che influenzano la degradazione di lomitapide nell'organismo. Per l'elenco completo delle limitazioni, vedere il foglio illustrativo.

Perché Lojuxta è approvato?

Il comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia ha deciso che i benefici di Lojuxta sono superiori ai rischi e ha raccomandato che ne venisse approvato l'uso nell'UE. Il CHMP ha tenuto conto del fatto che i pazienti con ipercolesterolemia familiare omozigote con una domanda medica non soddisfatta hanno trovato beneficio in termini di riduzione dei livelli di colesterolo LDL. Tuttavia, il CHMP ha osservato che il beneficio nel lungo termine per il sistema cardiocircolatorio deve ancora essere confermato. Il comitato ha altresì notato che Lojuxta produce effetti indesiderati a livello intestinale nella maggior parte dei pazienti, talvolta di entità tale da rendere necessaria l'interruzione della terapia, e che il medicinale ha determinato un aumento dei livelli enzimatici nel fegato di cui non sono note le conseguenze nel lungo termine. Pertanto, il comitato ha stabilito che tali effetti debbano essere strettamente monitorati e gestiti.

Lojuxta è stato autorizzato in “circostanze eccezionali”. Ciò perché non è stato possibile ottenere informazioni complete sul medicinale a causa della rarità della malattia. Ogni anno l'Agenzia europea per i medicinali esaminerà le nuove informazioni eventualmente disponibili e, se necessario, questo riassunto sarà aggiornato.

Quali informazioni sono ancora attese per Lojuxta?

Poiché Lojuxta è stato autorizzato in circostanze eccezionali, la ditta che commercializza il medicinale effettuerà uno studio di lungo termine nei pazienti trattati con Lojuxta al fine di fornire ulteriori dati sulla sua sicurezza ed efficacia, compresi i suoi effetti indesiderati su fegato, stomaco, intestino e sistema cardiovascolare. Lo studio fornirà altresì dati sulle gravidanze di donne che assumono il medicinale e sulla conformità da parte degli operatori sanitari alle raccomandazioni di effettuare screening e monitoraggio dei pazienti prima e durante la terapia.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Lojuxta?

È stato elaborato un piano di gestione del rischio per garantire che Lojuxta sia usato nel modo più sicuro possibile. In base a tale piano, al riassunto delle caratteristiche del prodotto e al foglio illustrativo di Lojuxta sono state aggiunte le informazioni relative alla sicurezza, ivi comprese le opportune precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono prendere.

Inoltre, la ditta che commercializza Lojuxta fornirà a tutti i medici che potrebbero prescrivere Lojuxta materiali informativi contenenti indicazioni su come selezionare i pazienti adatti oltre che informazioni fondamentali sulla sicurezza, inclusi gli effetti indesiderati, le interazioni con altri medicinali e l'uso in donne in età fertile. Saranno fornite altresì informazioni da distribuire ai pazienti, tra cui un opuscolo e una scheda di allerta.

Altre informazioni su Lojuxta

Il mercoledì 31 luglio 2013 la Commissione europea ha rilasciato un'autorizzazione all'immissione in commercio per Lojuxta, valida in tutta l'Unione europea.

Per la versione completa dell'EPAR di Lojuxta consultare il sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/Find/medicine/Human_medicines/European_public_assessment_reports Per maggiori informazioni sulla terapia con Lojuxta, leggere il foglio illustrativo (accluso all'EPAR) oppure consultare il medico o il farmacista.

Ultimo aggiornamento di questo riassunto: 01-2016.