



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

EPAR-samenvatting voor het publiek

Lojuxta

lomitapide

Dit document is een samenvatting van het Europees openbaar beoordelingsrapport (EPAR) voor Lojuxta. Het geeft uitleg over de wijze waarop het Geneesmiddelenbureau het geneesmiddel met het oog op vergunningverlening in de EU en vaststelling van de gebruiksvoorwaarden heeft beoordeeld. Het is niet bedoeld als praktisch advies voor het gebruik van Lojuxta.

Voor praktische informatie over het gebruik van Lojuxta dienen patiënten de bijsluiter te lezen of contact op te nemen met hun arts of apotheker.

Wat is Lojuxta en wanneer wordt het voorgeschreven?

Lojuxta is een geneesmiddel dat de werkzame stof lomitapide bevat. Het wordt gebruikt voor de behandeling van volwassen patiënten met homozygote familiale hypercholesterolemie, een erfelijke ziekte die leidt tot een hoge concentratie cholesterol (een soort vet) in het bloed. Het wordt gebruikt in combinatie met een vetarm dieet en andere geneesmiddelen om de concentratie vetten in het bloed te verlagen. De ziekte van de patiënt moet voor zover mogelijk door genetisch onderzoek worden bevestigd.

Hoe wordt Lojuxta gebruikt?

Lojuxta is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar. Het is beschikbaar in de vorm van capsules (5, 10, 20, 30, 40 en 60 mg) die oraal moeten worden ingenomen op een lege maag, minstens twee uur na de avondmaaltijd. De behandeling moet worden gestart en gecontroleerd door een arts die ervaring heeft met de behandeling van aandoeningen waarbij sprake is van hoge concentraties vetten in het bloed. De behandeling moet worden aangevangen met een dosis van 5 mg eenmaal daags, en de dosis mag geleidelijk worden verhoogd tot een maximumdosis van 60 mg per dag als het geneesmiddel goed wordt verdragen. Patiënten een matig of ernstig verminderde leverfunctie mogen Lojuxta niet gebruiken. Nierdialysepatiënten moeten mogelijk een verlaagde dosis innemen. Patiënten die bepaalde andere geneesmiddelen gebruiken, moeten mogelijk ook een verlaagde dosis innemen of



Lojuxta en hun andere geneesmiddelen op een verschillend tijdstip nemen. Bij inname van Lojuxta drinken patiënten best geen grapefruitsap. Zie de bijsluiter voor verdere informatie.

Hoe werkt Lojuxta?

De werkzame stof in Lojuxta, lomitapide, blokkeert de werking van een stof in het lichaam die microsomale triglyceridetransferproteïne wordt genoemd en aanwezig is in de cellen van de lever en darmen. Microsomale triglyceridetransferproteïne speelt een rol bij de samenvoeging van vette stoffen zoals cholesterol en triglyceride tot grotere deeltjes, zogenoemde lipoproteïnen, die vervolgens aan de bloedsomloop worden afgegeven. Door de werking van deze proteïne te blokkeren, verlaagt Lojuxta de hoeveelheid vetten die aan het bloed wordt afgegeven en helpt het zo het cholesterolgehalte bij hypercholesterolemie te verlagen.

Welke voordelen bleek Lojuxta tijdens de studies te hebben?

De voordelen van Lojuxta bij het verlagen van het cholesterolgehalte van het bloed werden beoordeeld in een hoofdstudie waarbij 29 patiënten met homozygote familiale hypercholesterolemie betrokken waren. Alle patiënten kregen Lojuxta toegediend samen met andere geneesmiddelen om de concentratie vetten in het bloed te verlagen. Lojuxta werd niet vergeleken met andere behandelingen. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was de verandering in de bloedspiegel van 'low density lipoproteïne'-cholesterol (LDL-cholesterol), dat algemeen wordt aangeduid als 'slecht cholesterol', na 26 weken behandeling. Het LDL-cholesterolgehalte van patiënten was verlaagd met gemiddeld 40%.

Welke risico's houdt het gebruik van Lojuxta in?

De ernstigste bijwerking die werd waargenomen bij enkele met Lojuxta behandelde patiënten is een abnormaal verhoogd leverenzymgehalte. De meest voorkomende bijwerkingen zijn maag-darmproblemen, die kunnen optreden bij wel 9 op de 10 personen: diarree en misselijkheid werden waargenomen bij ongeveer 7 op de 10 personen, brandend maagzuur en braken bij meer dan 3 op de 10 personen, en pijn, ongemak en opgezet abdomen (buik), constipatie en winderigheid bij minstens 2 op de 10 personen. Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van bijwerkingen.

Lojuxta mag niet worden gebruikt bij vrouwen die zwanger zijn. Het mag evenmin worden gebruikt door patiënten met een matig tot ernstig verminderde leverfunctie of met onverklaarbare, abnormale leverfunctietestwaarden, noch door patiënten met aanzienlijke of langdurige darmproblemen. Lojuxta mag niet worden gecombineerd met meer dan 40 mg simvastatine per dag (een ander geneesmiddel dat wordt gebruikt om het cholesterolgehalte in het bloed te verlagen) of met bepaalde andere geneesmiddelen die van invloed zijn op de manier waarop lomitapide in het lichaam wordt afgebroken. Zie de bijsluiter voor de volledige beschrijving van de beperkende voorwaarden.

Waarom is Lojuxta goedgekeurd?

Het Comité voor geneesmiddelen voor menselijk gebruik (CHMP) van het Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat de voordelen van Lojuxta groter zijn dan de risico's en heeft geadviseerd dit middel voor gebruik in de EU goed te keuren. Het CHMP oordeelde dat het verlagende effect van het geneesmiddel op het LDL-cholesterolgehalte een voordeel was voor patiënten met homozygote familiale hypercholesterolemie, aan wier medische behoefte niet kon worden voldaan. Het CHMP wees er echter op dat het voordeel op lange termijn voor het hart en de bloedsomloop nog moest worden

bevestigd. Het Comité merkte ook op dat Lojuxta bij de meeste patiënten gastro-intestinale bijwerkingen gaf, die ertoe leidden dat sommige patiënten de behandeling stopzetten, en dat het geneesmiddel leidde tot verhoogde leverenzymtestwaarden waarvan de gevolgen op lange termijn onbekend zijn. Het Comité was derhalve van mening dat deze effecten nauwlettend moeten worden gecontroleerd en beheerst.

Lojuxta is goedgekeurd 'onder uitzonderlijke omstandigheden'. Dit betekent dat het wegens de zeldzaamheid van de aandoening niet mogelijk was volledige informatie over Lojuxta te verkrijgen. Het Europees Geneesmiddelenbureau zal jaarlijks eventueel nieuw beschikbare informatie beoordelen en deze samenvatting zo nodig laten bijwerken.

Welke informatie wordt nog verwacht voor Lojuxta?

Aangezien aan Lojuxta goedkeuring onder uitzonderlijke omstandigheden is verleend, voert het bedrijf dat Lojuxta in de handel brengt, een langlopend onderzoek uit bij patiënten die Lojuxta gebruiken, om verdere gegevens te verkrijgen over de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel, met inbegrip van de bijwerkingen ervan op lever, maag en darmen en het cardiovasculaire stelsel. Het onderzoek zal ook gegevens verstrekken over zwangerschappen bij vrouwen die het geneesmiddel innemen, en over de naleving door professionele zorgverleners van de aanbevelingen om patiënten vóór en tijdens de behandeling te screenen en te controleren.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Lojuxta te waarborgen?

Om een zo veilig mogelijk gebruik van Lojuxta te waarborgen, is een risicobeheerplan opgesteld. Op basis van dit plan is in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter van Lojuxta veiligheidsinformatie opgenomen, onder andere over de gepaste voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten moeten nemen.

Het bedrijf dat Lojuxta in de handel brengt, zal bovendien alle artsen die Lojuxta naar verwachting gaan voorschrijven, voorzien van voorlichtingsmateriaal met onder meer informatie over de wijze waarop geschikte patiënten moeten worden geselecteerd, alsmede belangrijke veiligheidsinformatie, onder andere over bijwerkingen, interacties met andere geneesmiddelen en het gebruik bij vrouwen die mogelijk kinderen kunnen krijgen. Het zal ook voorlichtingsmateriaal voor patiënten bevatten, waaronder een brochure en een waarschuwingskaart.

Overige informatie over Lojuxta

De Europese Commissie heeft op 31 juli 2013 een in de hele Europese Unie geldige vergunning voor het in de handel brengen van Lojuxta verleend.

Het volledige EPAR voor Lojuxta is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: [ema.europa.eu/Find medicine/Human medicines/European public assessment reports](http://ema.europa.eu/Find%20medicine/Human%20medicines/European%20public%20assessment%20reports). Lees de bijsluiter (ook onderdeel van het EPAR) of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over de behandeling met Lojuxta.

Deze samenvatting is voor het laatst bijgewerkt in 01-2016.