

RELATÓRIO PÚBLICO DE AVALIAÇÃO PRÉVIA DO MEDICAMENTO EM MEIO HOSPITALAR

DCI – lomitapida

N.º Registo	Nome Comercial	Apresentação/Forma Farmacêutica/Dosagem	Titular de AIM
5618210	Lojuxta	28 cápsulas, 5mg	Aegerion Pharmaceuticals Limited
5618228		28 cápsulas, 10mg	
5618236		28 cápsulas, 20 mg	

Data de indeferimento: 27/06/2018

Estatuto quanto à dispensa – Medicamento Sujeito a Receita Médica restrita alínea a) do Artigo 118º do Decreto-Lei n.º 176/2006, de 30 de agosto

Medicamento órfão: Sim ☐ Não ☒

Classificação Farmacoterapêutica: 3.7 Antidislipidémicos

Indicações terapêuticas constantes do RCM: O Lojuxta é indicado como adjuvante de uma dieta com baixo teor em gordura e outros medicamentos hipolipemiantes, com ou sem aferese das lipoproteínas de baixa densidade (LDL), em doentes adultos com hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo).

A HFHo deve ser confirmada por teste genético, sempre que possível. É necessário excluir outras formas de hiperlipoproteinemia primária e causas secundárias de hipercolesterolemia (por exemplo, síndrome nefrótica e hipotireoidismo).

Indicações terapêuticas para as quais foi solicitada avaliação - todas as indicações aprovadas (vide secção anterior).

Indicações terapêuticas para as quais esta avaliação é válida – todas as indicações aprovadas (vide secção anterior).

Nota: Algumas informações respeitantes ao medicamento podem ser revistas periodicamente. Para informação atualizada, consultar o [Infomed](#).

1. CONCLUSÕES DA AVALIAÇÃO

Concluiu-se que, na população com hipercolesterolemia familiar homozigótica, não existe demonstração de valor terapêutico acrescentado da lomitapida.

Deste modo, por força do disposto no artigo 25.º, n.º 11 e 12, e 26.º, n.º 2 do Decreto-Lei n.º 97/2015, de 1 de junho, com as alterações introduzidas pelo Decreto-Lei n.º 115/2017, de 7 de setembro, este medicamento não pode ser adquirido pelos hospitais do SNS, constituindo a decisão fundamento para a exclusão da candidatura em procedimentos públicos com vista à aquisição do mesmo. A decisão de indeferimento do pedido de avaliação prévia à utilização em meio hospitalar do medicamento, baseada no incumprimento dos critérios definidos no n.º 3 do artigo 25.º do Decreto-Lei n.º 97/2015, de 1 de junho na sua redação atual, foi comunicada ao requerente, às comissões de farmácia e terapêutica dos hospitais e Administrações Regionais da Saúde, ao abrigo do disposto nos números 1 e 3 do artigo 14.º da Portaria 195-A/2015 de 30 de junho, com as alterações introduzidas pela

Portaria, n.º270/2017, de 12 de setembro.

2. AVALIAÇÃO FARMACOTERAPÊUTICA

Propriedades farmacológicas	A lomitapida é um inibidor seletivo da proteína microsomal de transferência (MTP), uma proteína intracelular de transferência lipídica presente no lúmen do retículo endoplasmático, sendo responsável pela ligação de moléculas lipídicas individuais entre membranas. A MTP desempenha um papel-chave na montagem das lipoproteínas que contêm apo B no fígado e nos intestinos. A inibição da MTP reduz a secreção da lipoproteína e as concentrações circulantes de lípidos transportados por lipoproteínas, incluindo colesterol e triglicéridos. Para informação adicional sobre o perfil farmacológico e farmacocinético, consultar o RCM disponível no Infomed.
Comparador selecionado	Terapêuticas hipolipemiantes, incluindo aferese do LDL-colesterol. A lomitapida é para ser administrada na hipercolesterolemia homozigótica familiar, quando todas as terapêuticas farmacológicas existentes não tiveram sucesso para se atingir o valor-alvo pretendido do c-LDL. Nestas circunstâncias a aferese das lipoproteínas é a opção existente, embora o seu efeito não seja permanente.
Valor terapêutico acrescentado	A evidência da eficácia da lomitapida está limitada a 1 estudo, utilizando um <i>end point</i> sub-rogado (redução do LDL-colesterol), num pequeno estudo não controlado (de braço único). Embora o estudo mostre uma redução de 44% [IC95% 31 a 57] no LDL-colesterol às 56 semanas em relação ao valor basal, não é possível avaliar como é que esta redução se compara com as alternativas existentes, nomeadamente, dose máxima de estatinas, eventualmente associada a outras terapias hipolipemiantes. A lomitapida está associada a uma frequência extremamente elevada de eventos adversos (em 93% dos doentes). A maioria dos doentes desenvolveu esteatose hepática (gordura hepática >5,6% avaliada por NMRS), cujas consequências a longo prazo são desconhecidas. Considerou-se assim que não existe demonstração de valor terapêutico acrescentado da lomitapida.

3. AVALIAÇÃO ECONÓMICA: Não aplicável

4. REFERÊNCIAS BIBLIOGRÁFICAS

1. Resumo das características do medicamento Lojuxta
2. Cuchel M et al. Efficacy and safety of a microsomal triglyceride transfer protein inhibitor in patients with homozygous familial hypercholesterolaemia: a single-arm, open-label, phase 3 study. Lancet 2013;381:40-46