

**Tabla 2. Características y resultados de los principales ensayos clínicos de lomitapida, evinacumab y volanesorsén**

| Medicamento   | Lomitapida <sup>2</sup>   | Evinacumab <sup>1</sup>  | Volanesorsén <sup>3</sup>  |
|---|---|--|--|
| <b>Estudio</b>                                      | UP1002/AEGR-733-005   | ELIPSE HoFH  | APPROACH   |
| <b>Nº de pacientes incluidos (n)</b>                | 29  | 65   | 66   |
| <b>Posología y vía de administración</b>            | Dosis inicial de 5 mg/día durante 2 semanas y escalada de dosis cada 4 semanas hasta alcanzar la dosis máxima tolerada (10, 20, 40 o 60 mg/día)<br>Vía oral | 15 mg/kg cada 4 semanas<br>Vía intravenosa   | 300 mg una vez a la semana.<br>En una enmienda al protocolo se introdujo un algoritmo de dosificación basado en los niveles de plaquetas<br>Vía subcutánea |
| <b>Comparador</b>                                   | No (brazo único)  | Placebo  | Placebo  |
| <b>Criterios de inclusión (%)</b>                   | HoFH y estar en tratamiento con otras terapias hipolipemiantes  | HoFH y estar en tratamiento con otras terapias hipolipemiantes a dosis máximas toleradas | Síndrome de quilomicronemia familiar y niveles de TG en ayunas >750 mg/dl  |
| <b>ECV establecida (%)</b>                          | 93% ECV   | 55% enfermedad coronaria   | Excluidos  |
| <b>Edad media (años)</b>                            | 30,7  | 42   | 46   |
| <b>Duración</b>                                     | 78 semanas (a las 26 semanas se midió eficacia)   | 48 semanas (24 semanas doble ciego, 24 semanas abierto)                                  | 52 semanas   |
| <b>Variable principal</b>                           | Cambio en el porcentaje de c-LDL semana 26  | Cambio en el porcentaje de c-LDL semana 24   | Cambio porcentual en los niveles de TG después de tres meses de tratamiento. Se eligió un nivel objetivo de TG <750 mg/dl                                  |
| <b>Resultados de la variable principal</b>          | -40% (-52% a -28%) semana 26  | -49% (-65% a -33,1%)   | -94% (-122% a -67%)  |
| <b>Niveles basales de colesterol (c-LDL) y/o TG</b> | c-LDL: 336 mg/dl  | c-LDL: 255,1 mg/dl   | TG: 2.209 mg/dl  |
| <b>Reducción c-LDL</b>                              | c-LDL:<br>-40% a las 26 semanas<br>-38% a las 78 semanas  | c-LDL:<br>-49% a las 24 semanas<br>-42,7% a las 48 semanas                               | TG:<br>-94% (-122 a -67) a las 12 semanas<br>-77,8% (-106,4 a -49,1) a las 24 semanas<br>-49,1% (-94,7 a -3,5) a las 48 semanas                            |

HoFH: Hipercolesterolemia Familiar Homocigótica; TG: triglicéridos; ECV: enfermedad cardiovascular.

## Bibliografía

- Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, [Informe posicionamiento terapéutico de evinacumab \(Evkeeza®\) en hipercolesterolemia familiar homocigótica](#). [Internet]. Madrid: AEMPS; 2024 [Accedido 2 de junio de 2025]
- Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, [Informe posicionamiento terapéutico de lomitapida \(Lojuxta®\) en hipercolesterolemia familiar homocigótica](#). [Internet]. Madrid: AEMPS; 2018 [Accedido 2 de junio de 2025]
- Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, [Informe posicionamiento terapéutico de volanesorsén \(Waylivra®\) en quilomicronemia familiar](#). [Internet]. Madrid: AEMPS; 2022 [Accedido 2 de junio de 2025]
- [Fichas técnicas del Centro de Información online de Medicamentos de la AEMPS-CIMA](#) [base de datos en Internet]. Madrid, España: Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) [consultado el 30/06/2025].