

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

Medicamento	Lomitapida ²	Evinacumab ¹	Volanesorsén ³
Estudio	UP1002/AEGR-733-005	ELIPSE HoFH	APPROACH
Nº de pacientes incluidos (n)	29	65	66
Posología y vía de administración	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) Vía oral	15 mg/kg cada 4 semanas Vía intravenosa	300 mg una vez a la semana. En una enmienda al protocolo se introdujo un algoritmo de dosificación basado en los niveles de plaquetas Vía subcutánea
Comparador	No (brazo único)	Placebo	Placebo
Criterios de inclusión	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
ECV establecida (%)	93% ECV	55% enfermedad coronaria	Excluidos
Edad media (años)	30,7	42	46
Duración	78 semanas (a las 26 semanas se midió eficacia)	48 semanas (24 semanas doble ciego, 24 semanas abierto)	52 semanas
Variable principal	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
Resultados de la variable principal	-40% (-52% a -28%) semana 26	-49% (-65% a -33,1%)	-94% (-122% a -67%)
Niveles basales de colesterol (c-LDL) y/o TG	c-LDL: 336 mg/dl	c-LDL: 255,1 mg/dl	TG: 2.209 mg/dl
Reducción c-LDL	c-LDL: -40% a las 26 semanas -38% a las 78 semanas	c-LDL: -49% a las 24 semanas -42,7% a las 48 semanas	TG: -94% (-122 a -67) a las 12 semanas -77,8% (-106,4 a -49,1) a las 24 semanas -49,1% (-94,7 a -3,5) a las 48 semanas

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

Bibliografía

1. 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]

2. 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]

3. 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]

4. [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].