

PUBLIÉ LE 16/04/2024

Avis de l'ANSM du 11/03/2024 sur le médicament Lojuxta dans le cadre d'une demande d'AAP

DÉCISIONS (MÉDICAMENTS) - AVIS

Avis de l'ANSM du sur la forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament Lojuxta dans le cadre d'une demande d'autorisation d'accès précoce en application du 2ème alinéa du III de l'article L. 5121-12 du code de la santé publique

- Date du dépôt de la demande : 03/10/2023 complétée les 09/10/2023, 19/10/2023, 27/11/2023, 22/12/2023 et le 27/02/2024
- Nom du demandeur : Amryt Pharmaceuticals SAS
- Dénomination des médicaments :
 - Lojuxta 2 mg, gélule
 - Lojuxta 5 mg, gélule
 - Lojuxta 10 mg, gélule
 - Lojuxta 20 mg, gélule
- DCI/nom de code : lomitapide

Indication(s) thérapeutique(s) revendiquée(s) :

Lojuxta est indiqué en complément d'un régime alimentaire pauvre en graisses et d'autres médicaments hypolipémiants, avec ou sans aphérèse des lipoprotéines de basse densité (LDL), chez des patients enfants âgés de 5 à 17 ans présentant une hypercholestérolémie familiale homozygote (HFHo), en l'absence d'alternative thérapeutique. L'HFHo doit être confirmée par un test génétique dans toute la mesure du possible. D'autres formes d'hyperlipoprotéïnémies primaires et les causes secondaires d'hypercholestérolémie (syndrome néphrotique, hypothyroïdisme, par exemple) doivent être exclues.

Avis de l'ANSM :

- **L'ANSM atteste de la forte présomption d'efficacité et de sécurité du médicament Lojuxta dans l'indication thérapeutique :**
« En complément d'un régime alimentaire pauvre en graisses et d'autres médicaments hypolipémiants, avec ou sans aphérèse des lipoprotéines de basse densité (LDL), chez des patients enfants âgés de 5 à 17 ans présentant une hypercholestérolémie familiale homozygote(HFHo), en l'absence d'alternative thérapeutique. L'HFHo doit être confirmée par un test génétique dans toute la mesure du possible. D'autres formes d'hyperlipoprotéïnémies primaires et les causes secondaires d'hypercholestérolémie(syndrome néphrotique, hypothyroïdisme, par exemple) doivent être exclues. »

La motivation scientifique du présent avis figure en annexe, de même que le résumé des caractéristiques du produit, l'étiquetage et la notice validés par l'ANSM dans cette(ces) indication(s) thérapeutique(s).

Fait le 11/03/2024

Valérie DENUX
Directrice de la Direction Europe et Innovation

