

Anvisa aprova ampliação de uso de tratamento para hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo)

Medicamento é o primeiro e único aprovado no Brasil para o tratamento da hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo) em pacientes com seis meses de idade ou mais

São Paulo, agosto de 2025 – A **Ultragenyx**, biofarmacêutica focada em tratamentos de doenças raras e ultrarraras, informa que a Agência Nacional de Vigilância Sanitária (Anvisa) estendeu a aprovação do Evkeeza® (evinacumabe) como adjuvante à dieta e a outras terapias redutoras de lipídios para o tratamento da hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo) em bebês a partir de seis meses de idade. Essa aprovação amplia o uso do medicamento, que já era indicado no Brasil desde 2024 para o tratamento da doença em pacientes adultos e pediátricos com mais de cinco anos.

“A HFHo pode levar a infartos do miocárdio ainda na primeira década de vida. Os níveis de colesterol LDL nesses pacientes costumam ser extremamente elevados e frequentemente não respondem aos tratamentos convencionais. Por isso, a aprovação do medicamento para uso a partir dos seis meses de idade representa um avanço expressivo, uma vez que permite o controle precoce e mais eficaz do colesterol, contribuindo para melhorar o prognóstico e a qualidade de vida dessas crianças desde os primeiros anos”, explica o Prof. Raul Santos, cardiologista e diretor da Unidade de Clínica de Lipídeos do Instituto do Coração (InCor) da Universidade de São Paulo e Pesquisador do Hospital Israelita Albert Einstein.

A farmacocinética e a eficácia de Evkeeza em crianças de 6 meses a menos de 5 anos com hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo) foram estimadas por meio de modelos de extrapolação. Os resultados sugerem que pacientes dessa faixa etária devem apresentar uma redução nos níveis de LDL-C até a Semana 24 semelhante – ou até superior – à observada em crianças mais velhas e adultos tratados com a dose de 15 mg/kg a cada quatro semanas. Além disso, dados de uso compassivo de cinco crianças com idade inferior a cinco anos mostraram uma redução clinicamente relevante do LDL-C, compatível com os resultados dos estudos clínicos obtidos em pacientes com cinco anos ou mais. Com base nas evidências disponíveis até o momento, o perfil de segurança em crianças de seis meses a cinco anos é semelhante ao observado em faixas etárias mais avançadas, sem novos sinais de alerta identificados durante o uso compassivo.

“A aprovação do uso de Evkeeza - a partir dos seis meses de idade - representa um marco importante para a comunidade de pacientes com HFHo. Com essa ampliação de uso do medicamento, avançamos no enfrentamento de uma das principais necessidades médicas não atendidas desses pacientes: a redução dos níveis elevados de LDL-C desde os primeiros meses de vida. A hipercolesterolemia familiar homozigótica é uma doença grave que, quando não tratada, pode levar a complicações cardiovasculares e até a morte ainda na infância. Por isso, além do diagnóstico precoce, é necessário iniciar o cuidado adequado o quanto antes”, explica Márcia Moscatelli, farmacêutica e gerente geral da Ultragenyx Brasil.

Evkeeza está disponível comercialmente e pode ser prescrito para pacientes com HFHo nos Estados Unidos, Itália, Canadá, Luxemburgo, Japão, Holanda, Espanha, Reino Unido e Brasil. Em outros 13 países, como Áustria e França, o medicamento é oferecido por meio de programas de acesso precoce.

Sobre a hipercolesterolemia familiar homozigótica (HFHo)



A HFHo é uma forma rara e grave de hipercolesterolemia hereditária, que afeta 1 em cada 300 mil pessoas em todo o mundo. A HFHo ocorre quando duas cópias dos genes causadores da hipercolesterolemia familiar (FH) são herdadas, uma do pai e outra da mãe, resultando em níveis perigosamente altos (>400 mg/dL) de LDL-C, usualmente conhecido como "colesterol ruim". Pacientes com HFHo têm o risco de desenvolver doenças ateroscleróticas e ocorrências cardíacas em idade precoce.

Para mais informações sobre HFHo, visite <https://www.ahfcolesterol.org/>.

Sobre Evkeeza® (evinacumabe)

O evinacumabe, substância ativa do Evkeeza, se liga a uma proteína chamada ANGPTL3 e bloqueia seus efeitos. A ANGPTL3 está envolvida no controle dos níveis de colesterol, e ao bloquear seu efeito, evinacumabe reduz o nível de colesterol no sangue. O Evkeeza® (evinacumabe) é administrado por infusão intravenosa durante 60 minutos, uma vez a cada 4 semanas.

A Regeneron Pharmaceuticals, Inc. criou e desenvolveu o Evkeeza® (evinacumabe) e comercializa o produto para HFHo nos Estados Unidos da América sob o nome genérico evinacumab-dgnb, com "dgnb" como sufixo designado de acordo com a orientação da agência reguladora dos Estados Unidos, Food and Drug Administration (FDA), para a nomenclatura de produtos biológicos. A Ultragenyx é responsável pelas atividades de comercialização do Evkeeza® (evinacumabe) para HFHo em países fora dos EUA.

Sobre a Ultragenyx

A Ultragenyx é uma biofarmacêutica comprometida em trazer aos pacientes novos produtos para o tratamento de doenças genéticas raras e ultrarraras graves. Fundada em 2010, a empresa construiu um portfólio diversificado de terapias aprovadas e produtos destinados a tratar doenças com alta necessidade médica não atendida, para as quais normalmente não há terapias aprovadas.

A empresa é liderada por uma equipe de gerenciamento com experiência no desenvolvimento e comercialização de produtos terapêuticos para doenças raras. A estratégia da Ultragenyx baseia-se no desenvolvimento de terapias seguras e eficazes aos pacientes com doenças raras.

Contato para imprensa

LLYC

ultragenyx-spa@llyc.global