proLékaře.cz | 25.11.2026

Evinakumab v léčbě homozygotní familiární hypercholesterolemie: data z reálné klinické praxe a kazuistika

Evinacumab in the treatment of homozygous familial hypercholesterolemia – data from real-world clinical practice and case report

Vladimír Blaha

III. interní gerontometabolická klinika LF UK a FN Hradec Králové

✉ **prof. MUDr. Vladimír Blaha, CSc.** | blaha@lfhk.cuni.cz | www.lfhk.cuni.cz

Doručeno do redakce | Doručené do redakcie | Received 24. 6. 2025
Přijato po recenzi | Prijaté po recenzii | Accepted 15. 7. 2025

Abstrakt
Homozygotní familiární hypercholesterolemie (HoFH) je vzácné geneticky podmíněné onemocnění charakterizované bialelickými mutacemi v genech regulujících aktivitu receptoru pro lipoproteiny s nízkou hustotou. Pacienti s HoFH mají výrazně zvýšené koncentrace LDL-cholesterolu (LDL-C) a jsou ve vysokém riziku předčasného rozvoje aterosklerotického kardiovaskulárního onemocnění navzdory kombinované hypolipidemické terapii. Evinakumab, plně humanizovaná monoklonální protilátka proti angiopoetin-like protein 3 (ANGPTL3), představuje novou terapeutickou možnost. Tento článek shrnuje mechanizmus účinku, klinické důkazy a praktické aspekty podávání evinakumabu u pacientů s HoFH na základě dat z reálné klinické praxe.

Klíčová slova: cholesterol – data z reálné klinické praxe – evinakumab – homozygotní familiární hypercholesterolemie

Abstract
Homozygous familial hypercholesterolemia (HoFH) is a rare genetic disorder characterized by biallelic mutations in genes regulating the activity of the low-density lipoprotein receptor. Patients with HoFH have significantly elevated LDL-cholesterol (LDL-C) concentrations and are at high risk of premature development of atherosclerotic cardiovascular disease despite combined lipid-lowering therapy. Evinacumab, a fully humanized monoclonal antibody against angiopoietin-like protein 3 (ANGPTL3), represents a new therapeutic option. This article summarizes the mechanism of action, clinical evidence, and practical aspects of administering evinacumab in patients with HoFH based on data from real world evidence (RWE).

Key words: cholesterol – data from real world evidence (RWE) – evinacumab – homozygous familial hypercholesterolemia

Homozygotní familiární hypercholesterolemie – stručná charakteristika

Homozygotní familiární hypercholesterolemie (HoFH) je vzácné geneticky podmíněné onemocnění charakterizované bialelickými mutacemi v genech regulujících aktivitu receptoru pro lipoproteiny s nízkou hustotou (LDL) [1].

Pacienti s HoFH mají výrazně zvýšené koncentrace LDL-cholesterolu (LDL-C) a jsou ve vysokém riziku předčasného rozvoje aterosklerotického kardiovaskulárního onemocnění (ASKVO) [2,3].

Pro dosažení cílových hodnot LDL-C, a tedy účinného snížení rizika ASKVO je ovšem **současná hypolipidemická léčba** (Lipid-Lowering Therapy – LLT) zahrnující statiny, ezetimib a inhibitory proprotein konvertázy subtilizin/kexin typu 9 (PCSK9i) u těchto pacientů málo účinná, nebo zcela neúčinná. To je především důsledkem výrazně snížené, nebo zcela chybějící exprese LDL-receptoru, typické pro pravý bialelický „null-null“ genotyp defektu LDLR u HoFH [1,4].

Potenciálně účinný lék, nezávislý na funkci LDL-receptoru, představuje účinná látka **lomitapid**, která je inhibitorem mikrosomálního triglyceridového transportního proteinu (MTP)

proLékaře.cz | 25.11.2026

[4,5]. Jeho použití je však často limitováno výskytem nežádoucích účinků, zejména gastrointestinálních potíží a hepatální steatózy, což mnohdy vede k nutnosti podávání suboptimálních dávek.

Snížení hladiny LDL-C u pacientů s HoFH farmakoterapeuticky tak zůstává nadále obtížně dosažitelné a významná část těchto pacientů zůstává ve vysokém kardiovaskulárním riziku [6].

Lipoproteinová aferéza (LA) je indikována u pacientů s HoFH a může vést k výraznému snížení hladin LDL-C o 50–60 %. Kombinace aferézy s LLT je doporučována k dosažení další redukce hodnot LDL-C a minimalizace „rebound efektu" po aferéze. Nevýhodou LA je však nutnost pravidelného opakování (obvykle týdenních nebo 14denních, což je jednak časově náročné, a nadto je to léčba invazivní [7].

Je tedy žádoucí vývoj nových léčebných přístupů, které umožní další snížení hodnoty LDL-C nezávisle na LDL-receptorové dráze, a to jak u pacientů léčených pouze LLT, tak i u pacientů léčených kombinací LLT a aferézy [8].

Evinakumab – farmakologická charakteristika

Evinakumab je plně humánní monoklonální protilátka, která se specificky váže na angiopoetin-like protein 3 a inhibuje jej extracelulárně.

Angiopoetin-like protein 3 (ANGPTL3) je cirkulující protein produkovaný výhradně v játrech, který reguluje hladinu plazmatických lipidů inhibicí lipoproteinové lipázy (LPL) a endoteliální lipázy (EL), a tím zpomaluje hydrolýzu triglyceridů a fosfolipidů [9]. Ztrátové mutace (LOF – Loss of Function) v genu pro ANGPTL3 jsou spojeny s nižšími hladinami LDL-C [10]. ANGPTL3 tak představuje atraktivní terapeutický cíl pro snižování LDL-C u pacientů s HoFH.

Evinakumab účinně snižuje plazmatickou koncentraci LDL-C u pacientů s HoFH a má příznivý bezpečnostní profil [11], což opakovaně prokázalo několik klinických studií. Mechanizmus účinku evinakumabu spočívá v inhibici lipoproteinové lipázy (LPL) a endotelové lipázy (EL). Inhibice ANGPTL3 pomocí evinakumabu vede k derepresi těchto enzymů, což urychluje katabolizmus triglyceridů a lipoproteinových částic. Navíc dochází ke snížení produkce VLDL a následně LDL, a to i nezávisle na funkci LDL-receptoru. To je klíčové právě u pacientů s HoFH, kteří mají funkci LDL-receptoru částečně, nebo zcela narušenou [12].

Mechanizmus účinku evinakumabu se proto liší od běžných hypolipidemik, a jeho přidání k terapii přináší významné přínosy právě v těchto vysoce rezistentních případech [13], schéma 1.

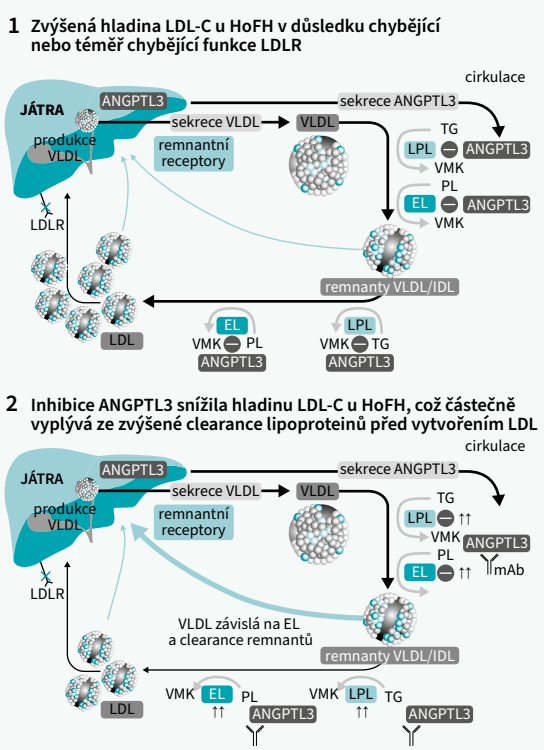
Evinakumab byl schválen jako doplňková léčba k jiným hypolipidemickým terapiím u dospělých a dospívajících pacientů ve věku ≥ 12 let s homozygotní familiární hypercholesterolemií (HoFH) americkým Úřadem pro kontrolu potravin a léčiv (US FDA) v únoru 2021 a Evropskou lékovou agenturou (EMA) v červnu 2021. Tato schválení byla podložena výsledky klíčové dvojitě zaslepené placebem kontrolované studie fáze 3 (NCT03399786), ve které evinakumab podávaný spolu s maximálně tolerovanou LLT vedl u pacientů s HoFH ve věku ≥ 12 let k přibližnému snížení hladiny LDL-C o 50 % po 24 týdnech léčby bez ohledu na léčbu lipoproteinovou aferézou [11].

Na základě těchto výsledků bylo původní schválení evinakumabu k léčbě HoFH rozšířeno FDA v březnu 2023 a EMA v prosinci 2023 i na pacienty s HoFH ve věku 5–11 let. Evinakumab je od ledna 2025 schválen EMA i pro děti s HoFH od 6 měsíců věku, což odráží příznivý bezpečnostní profil léčiva i v nejmladší věkové skupině.

Evinakumab v reálné klinické praxi

Prof. Claudia Steffanuti publikovala se svým výzkumným týmem v roce 2022 data potvrzující, že 24měsíční léčba evinakumabem na podkladě dosavadní LLT a LA vedla u 7 pacientů s HoFH ke snížení hladiny LDL-C o 47 % [14]. Otázkou však zůstalo, zda je obdobného a trvalého efektu možné dosáhnout i bez použití lipoproteinové aferézy.

Schéma 1 | Mechanizmus účinku evinakumabu. Upraveno podle [13]



ANGPTL3 – angiopoietin-like 3 **EL** – Endothelial Lipase/endotelová lipáza **FFA** – Free Fatty Acid/volné mastné kyseliny **HoFH** – Homozygous Familial Hypercholesterolemia/homozygotní familiární hypercholesterolemie **IDL** – Intermediate-Density Lipoprotein/lipoprotein o střední hustotě **LDL** – Low-Density Lipoprotein/lipoprotein o nízké hustotě **LDL-C** – Low-Density Lipoprotein Cholesterol/LDL-cholesterol **LDLR** – Low-Density Lipoprotein Receptor/LDL-receptor **LPL** – LipoProtein Lipase/lipoproteinová lipáza **mAb** – monoclonal Antibody/monoklonální protilátka **PL** – PhosphoLipase/fosfolipáza **TG** – triglyceridy **VLDL** – Very Low-Density Lipoprotein/lipoprotein o velmi nízké hustotě

proLékaře.cz | 25.11.2026

Proto její výzkumný tým připravil další studii na italské populaci, v níž bylo hlavním cílem zhodnotit dlouhodobou účinnost a bezpečnost léčby evinakumabem u pacientů s HoFH, a to jak při kombinaci s léčbou aferézou, tak bez ní v podmínkách reálné klinické praxe (Real World Evidence – RWE).

Primárním sledovaným parametrem byla procentuální změna vypočtené koncentrace LDL-C od výchozí hodnoty po 36 měsících léčby evinakumabem.

Sekundárním a zároveň klíčovým cílem bylo zhodnotit zkušenosti pacientů a jejich kvalitu života ve vztahu k intravenóznímu podávání evinakumabu v režimu bez aferézy [15].

Vyhodnocení dlouhodobé účinnosti a bezpečnosti evinakumabu bylo provedeno u pacientů s HoFH ve věkovém rozmezí 14 až 63 let, a to jak při léčbě s lipoproteinovou aferézou, tak bez ní v podmínkách reálné klinické praxe.

Evinakumab byl podáván intravenózně (15 mg/kg každé 4 týdny) po dobu prvních 24 měsíců 7 pacientům s geneticky potvrzenou HoFH, kteří dostávali nejlepší dostupnou léčbu snižující hladinu lipidů a LA. Následovalo období léčby trvající přibližně 12 měsíců, při níž byli pacienti léčeni evinakumabem bez LA. Následně byla hodnocena osobní zkušenost pacientů s léčbou evinakumabem a kvalita jejich života prostřednictvím dotazníku EuroQol (EQ-5D-3L).

Ve srovnání s výchozím stavem vedl evinakumab k trvalým poklesům plazmatické koncentrace LDL-C o 43,4 % a 54,2 % ve 30. a 36. měsíci, resp. všichni pacienti s HoFH dosáhli snížení hodnot LDL-C > 30 %, přičemž u 3 pacientů byla hladina LDL-C během léčby < 2,5 mmol/l. Evinakumab byl dobře snášen, žádné závažné nežádoucí účinky nebyly hlášeny a nedošlo k významným změnám v koncentracích jaterních enzymů. Všichni pacienti s HoFH konstatovali, že evinakumab je pro ně akceptovatelný a méně je fyzicky zatěžuje než LA. Průměrné skóre užitku EQ a vizuální analogová škála byly 0,966 a 78,6, což jsou hodnoty srovnatelné s italskou běžnou populací.

Také další studie potvrdily účinnost evinakumabu.

Studie Wilkinsona et al [16] ukázala, že pacienti s HoFH, kteří neodpovídali na léčbu PCSK9i, dosáhli při léčbě evinakumabem poklesu hodnot LDL-C o 53 %.

Ve **studii Rosensona et al** [17], placebem kontrolované, rozdělili výzkumníci pacienty s HoFH dle genotypu a dle odpovídající funkčnosti LDL-receptoru. Popsali 10 pacientů: evinakumab [n = 8]; placebo [n = 2], kteří měli mutace s < 2% aktivitou LDL-receptoru. U těchto pacientů byla průměrné výchozí hladina LDL-C 6,74 mmol/l ve skupině užívající evinakumab a 6,32 mmol/l ve skupině užívající placebo. Evinakumab snížil hladinu LDL-C o 53,5 % ve 24. týdnu oproti nárůstu o 18,8 % u pacientů, kterým bylo podáváno placebo.

Další údaje přinesla otevřená fáze **studie ELIPSE HoFH**. Do ní bylo zařazeno celkem 64 pacientů. Ti, kteří dokončili dvojitě zaslepenou fázi studie, pokračovali v otevřené fázi léčbou evinakumabem. Od výchozí hodnoty do 48. týdne (konec otevřené fáze) snížil evinakumab průměrnou hodnotu LDL-C o 46,3 %, přičemž podobné snížení bylo pozorováno u pacientů s „null–null“ variantami (47,2 %) i s „non-null“ variantami (45,9 %). Nežádoucí účinky byly zaznamenány u 47 (73,4 %) pacientů; u 4 (6,3 %) pacientů byly tyto nežádoucí účinky považovány za související s léčbou evinakumabem [13]. Jsou publikována i data, která zahrnují francouzské pacienty otevřené fáze studie ELIPSE HoFH [18]: 12 pacientů – 5 žen a 7 mužů (ve věku 12–57 let) – bylo zařazeno do 3 center ve Francii. Po 6 měsících došlo k průměrnému poklesu LDL-C o 3,7 mmol/l, což představuje 56% snížení (z 6,5 mmol/l na 2,8 mmol/l; p < 0,0001), a toto snížení bylo udrženo po medián 3,5letého sledování. Žádný pacient užívající evinakumab nezaznamenal kardiovaskulární příhody na rozdíl od 13 příhod u 5/21 (24 %) pacientů v kontrolní skupině během 4 let (p = 0,0267).

Do otevřené jednoramenné **studie fáze 3 (NCT03409744)** byli zařazeni pacienti ve věku ≥ 12 let s HoHF, kteří dosud nebyli léčeni evinakumabem (evinakumab-naivní), nebo jej již užívali v předchozích studiích [19]. Všem pacientů byl podáván intravenózně evinakumab v dávce 15 mg/kg každé 4 týdny v kombinaci se stabilní hypolipidemickou terapií. Celkem bylo zařazeno 116 pacientů (dospělí: n = 102; adolescenti: n = 14), z nichž bylo 57 (49,1 %) žen. Pacienti byli léčeni po 104,3 (28,3–196,3) týdnů. Celkem bylo hlášeno 93 (80,2 %) případů nežádoucích příhod vzniklých v průběhu léčby a 27 (23,3 %) případů závažných nežádoucích účinků. Byla zaznamenána 2 úmrtí (1,7 %), přičemž žádné z nich nebylo považováno za související s léčbou evinakumabem. Ze zařazených pacientů 3 (2,6 %) přerušili léčbu pro nežádoucí vedlejší účinky, ovšem žádné z těchto přerušení nebylo přičítáno léčbě evinakumabem. Od výchozí hodnoty do 24. týdne snížil evinakumab průměrnou hladinu LDL-C o 43,6 %. Průměrné snížení LDL-C činilo u dospělých 41,7 % a u adolescentů 55,4 % [19].

Wilkinson et al [16] recentně uskutečnili retrospektivní studii zaměřenou na hodnocení účinnosti a bezpečnosti evinakumabu u pacientů s HoFH v reálné klinické praxi na 6 akademických lékařských centrech v USA. Primárním cílem bylo stanovení procentuální změny hladiny LDL-C od výchozí hodnoty po první kontrolu a po poslední kontrole po zahájení léčby evinakumabem. Sekundárními cíli byly procentuální změny v hladinách nonHDL-cholesterolu (nonHDL-C), triglyceridů, celkového cholesterolu (T-C), HDL-C a dosažení hladiny LDL-C < 70 mg/dl. Ve studii byly zaznamenány nežádoucí účinky. Studie zahrnula 24 pacientů průměrného věku 40 let (rozsah 5–84 let) s diagnostikovanou HoFH bylo sledováno po medián 48 týdnů, 50 % pacientů bylo ženského pohlaví, 66,7 % mělo ASKVO, 87,5 % užívalo statiny, 83,3 % užívalo ezetimib, 66,7 % užívalo PCSK9i, 24 % užívalo lomitapid a 33,3 % podstupovalo lipoproteinovou aferézu. Byly pozorovány významné poklesy hladin LDL-C, nonHDL-C, T-C, triglyceridů a HDL-C jak při první kontrole (4 týdny), tak při poslední kontrole (48 týdnů); průměrné ± SEM (Standard Error of the Mean) procentuální změny od výchozí hodnoty po poslední kontrolu byly následující: LDL-C -53,2 % (± 4,1); nonHDL-C -52,7 % (± 3,9); triglyceridy -47,4 % (± 5,1); celkový cholesterol -48,9 % (± 4,0); HDL-C

proLékaře.cz | 25.11.2026

-30,2 % (± 4,1); p < 0,001 pro všechny parametry. Významně více pacientů dosáhlo LDL-C < 1,8 mmol/l po přidání evinakumabu. Nežádoucí účinky během nebo po infuzích evinakumabu hlásilo 9 (37,5 %) pacientů. Léčba byla u 1 pacienta přerušena kvůli bolesti zad. Autoři konstatují, že v 6 akademických lékařských centrech v USA byl evinakumab u pacientů s HoFH obecně dobře snášen a vedl k poklesu LDL-C o přibližně 50 %, což je v souladu s výsledky klinických studií.

Kazuistika vlastní pacientky s HoFH léčené evinakumabem

Pacientka, žena ve věku 56 let má geneticky potvrzenou HoFH (homozygotní mutace v genu LDLR) byla léčena maximální hypolipidemickou terapií (rosuvastatin 40 mg a ezetimib 10 mg denně, evolokumab 140 mg 1krát za 14 dní, lipoproteinová aferéza 1krát za 14 dní). Navzdory tomu přetrvávaly hladiny LDL-C na hodnotě > 11 mmol/l. Léčbu lomitapidem pacientka pro významnou hepatopatii netolerovala. Po zahájení léčby evinakumabem došlo během 3 měsíců k poklesu LDL-C na hodnotu 2,23 mmol/l (graf). Subjektivně došlo ke zlepšení kvality života, frekvence aferéz byla zachována. Tolerance léčby byla dobrá, bez nežádoucích účinků.

Závěr

Ačkoliv jsou randomizované klinické studie zlatým standardem pro určení účinnosti a bezpečnosti léčby, přísné použití inkluzních a exkluzních kritérií a monitorování účastníků znamená, že populace v těchto studiích a pozorované účinky léčby často nejsou reprezentativní pro pacientské populace v reálném klinickém prostředí. Proto jsou potřeba reálných dat, která by potvrdila, zda dochází ke snižování LDL-C při léčbě evinakumabem také u pacientů s HoFH v reálné praxi a zda dlouhodobá terapie evinakumabem u pacientů s HoFH povede ke snížení kardiovaskulárních příhod a prodloužení jejich života.

Data z reálné klinické praxe dokládají, že snížení hladin lipidů, včetně poklesu LDL-C přibližně o 50 % je v souladu s výsledky klinických studií s evinakumabem. Evinakumab byl obecně dobře snášen.

Evinakumab se proto stává důležitým nástrojem v léčbě pacientů s HoFH, kteří jsou často refrakterní na standardní léčbu snižující LDL-C a jsou vystaveni extrémně vysokému riziku kardiovaskulárních příhod. Jsou však ještě nezbytné další studie z reálné praxe, které povedou k detailnějšímu objasnění dlouhodobé bezpečnosti a účinnosti evinakumabu v péči o pacienty s HoFH.

Práce byla podpořena projekty Cooperatio vědní oblast METD LF UK Hradec Králové, AZV MZ ČR NU22-01-00151.

Literatura

1. Cuchel M, Bruckert E, Ginsberg HN et al. Homozygous familial hypercholesterolaemia: new insights and guidance for clinicians to improve detection and clinical management. A position paper from the Consensus Panel on Familial Hypercholesterolaemia of the European Atherosclerosis Society. Eur Heart J 2014; 35(32): 2146–2157. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1093/eurheartj/ehu274>.

2. Kramer AI, Akioyamen LE, Lee S et al. Major adverse cardiovascular events in homozygous familial hypercholesterolaemia: a systematic review and meta-analysis. Eur J Prev Cardiol 2022; 29(5): 817–828. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1093/eurjpc/zwab224>.

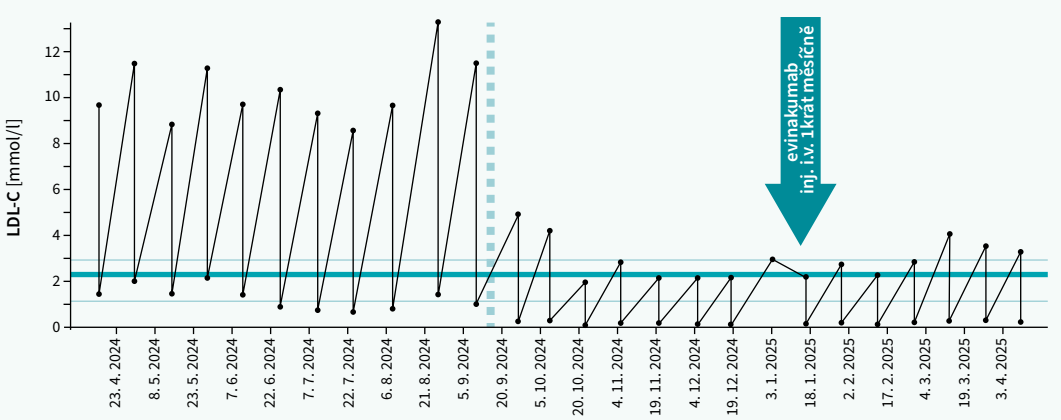
3. Tromp TR, Hartgers ML, Hovingh GK et al. Worldwide experience of homozygous familial hypercholesterolaemia: retrospective cohort study. Lancet 2022; 399(10326): 719–728. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1016/S0140-6736(21)02001-8>.

4. Ito MK, Watts GF. Challenges in the Diagnosis and Treatment of Homozygous Familial Hypercholesterolemia. Drugs 2015; 75(15): 1715–1724. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1007/s40265-015-0466-y>.

5. Stefanutti C. Lomitapide-a Microsomal Triglyceride Transfer Protein Inhibitor for Homozygous Familial Hypercholesterolemia. Curr Atheroscler Rep 2020; 22(8): 38. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1007/s11883-020-00858-4>.

6. Watts GF, Gidding SS, Hegele RA et al. International Atherosclerosis Society guidance for implementing best practice in the care of familial hypercholesterolaemia. Nat Rev Cardiol 2023; 20(12): 845–869. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1038/s41569-023-00892-0>.

Graf | Vliv léčby evinakumabem inj. i.v. 1krát měsíčně na koncentraci LDL-cholesterolu



proLékaře.cz | 25.11.2026

7. Thompson GR. The scientific basis and future of lipoprotein apheresis. Ther Apher Dial 2022; 26(1): 32–36. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1111/1744–9987.13716>.

8. Bajaj A, Cuchel M. Advancements in the treatment of homozygous familial hypercholesterolemia. J AtherosclerThromb 2022; 29(8): 1125–1135. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.5551/jat.RV17065>.

9. Burks KH, Basu D, Goldberg IJ et al. Angiopoietin-like 3: an important protein in regulating lipoprotein levels. Best Pract Res Clin Endocrinol Metab 2023; 37(3): 101688. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1016/j.beem.2022.101688>.

10. Dewey FE, Gusarova V, Dunbar RL et al. Genetic and Pharmacologic Inactivation of ANGPTL3 and Cardiovascular Disease. New Engl J Med 2017; 377(3): 211–221. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1056/NEJMoa1612790>.

11. Raal FJ, Rosenson RS, Reeskamp LF et al. Evinacumab for Homozygous Familial Hypercholesterolemia. N Engl J Med 2020; 383(8): 711–720. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1056/NEJMoa2004215>.

12. Goldberg AC, Hopkins PN, Toth PP et al. Familial hypercholesterolemia: screening, diagnosis and management of pediatric and adult patients: clinical guidance from the National Lipid Association Expert Panel on Familial Hypercholesterolemia. J Clin Lipidol 2011; 5(3): 133–140. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1016/j.jacl.2011.03.001>.

13. Raal FJ, Rosenson RS, Reeskamp LF et al. The Long-Term Efficacy and Safety of Evinacumab in Patients With Homozygous Familial Hypercholesterolemia. JACC Adv 2023; 2(9): 100648. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1016/j.jacadv.2023.100648>.

14. Stefanutti C, Chan DC, Di Giacomo S et al. Long-Term Efficacy and Safety of Evinacumab in Patients with Homozygous Familial Hypercholesterolemia: Real-World Clinical Experience. Pharmaceuticals 2022; 15(11): 1389. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.3390/ph15111389>.

15. Stefanutti C, Chan DC, Zeppa G et al. Real-world experience of long-term efficacy and safety of evinacumab in patients with homozygous familial hypercholesterolemia treated and untreated with lipoprotein apheresis. J Clin Lipidol 2024; 18(5): e817-e824. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1016/j.jacl.2024.05.006>.

16. Wilkinson MJ, Bijlani P, Davidson MH et al. Real-World Effectiveness and Safety of Evinacumab in Children and Adults With Homozygous Familial Hypercholesterolemia: A Multisite US Perspective. Arterioscler Thromb Vasc Biol 2025;45(7): 1310–1315. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1161/ATVBAHA.124.322364>.

17. Rosenson RS, Reeskamp LF, Kastelein JJP. The Efficacy and Safety of Evinacumab in Homozygous Familial Hypercholesterolemia Patients with Little to No Low-Density Lipoprotein Receptor Activity. J Clin Lipidol 2020; 14(4): 552. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1016/j.jacl.2020.05.019>.

18. Béliard S, Saheb S, Litzler-Renault S et al. Evinacumab and Cardiovascular Outcome in Patients With Homozygous Familial Hypercholesterolemia. Arterioscler Thromb Vasc Biol 2024; 44(6): 1447–1454. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1161/ATVBAHA.123.320609>.

19. Gaudet D, Greber-Platzer S, Reeskamp LF et al. Evinacumab in homozygous familial hypercholesterolaemia: long-term safety and efficacy. Eur Heart J 2024; 45(27): 2422–2434. Dostupné z DOI: <http://dx.doi.org/10.1093/eurheartj/ehae325>.