

Chiesi Global Rare Diseases annuncia l'approvazione della Commissione Europea di lomitapide in capsule per l'uso pediatrico nell'ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH)

Published On: 2026-06-22 12:40

Parma, Italia - 5 giugno 2026 – Chiesi Global Rare Diseases, business unit del Gruppo Chiesi dedicata allo sviluppo di terapie innovative e soluzioni per le persone affette da malattie rare, ha annunciato che la Commissione Europea ha approvato l'utilizzo di lomitapide in capsule nei bambini dai 5 anni di età affetti da ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH), in associazione alla dieta e ad altri trattamenti ipolipemizzanti, inclusa l'aferesi delle LDL ove disponibile.

La decisione della Commissione Europea segue il parere positivo del Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA), che aveva raccomandato l'estensione dell'indicazione terapeutica. Lomitapide è autorizzato nell'Unione Europea per il trattamento degli adulti con HoFH dal 2013.

*"Questa approvazione della Commissione Europea rappresenta un importante traguardo per i bambini affetti da HoFH e per le loro famiglie", ha dichiarato **Mitch Goldman, MD, PhD, Senior Vice President Ricerca e Sviluppo di Chiesi Global Rare Diseases**. "La HoFH è una patologia che può provocare danni cardiovascolari irreversibili fin dai primi anni di vita e, nonostante le opzioni terapeutiche esistenti, permane un importante bisogno clinico insoddisfatto nei pazienti più giovani. Estendendo l'indicazione di lomitapide ai bambini dai 5 anni di età, è ora disponibile per le famiglie e per i medici una nuova opzione terapeutica supportata dai dati dello studio clinico di fase 3 APH-19. Questa approvazione riflette il nostro impegno nel garantire che le persone affette da malattie rare non vengano trascurate in nessuna fase della vita."*

L'approvazione europea si basa sui risultati dello studio di fase 3 APH-19, multicentrico, in aperto e a singolo braccio, che ha coinvolto 43 pazienti pediatrici di età compresa tra 5 e 17 anni affetti da HoFH. Lo studio ha raggiunto l'endpoint primario dimostrando una riduzione media del 53,5% dei livelli di colesterolo LDL rispetto al basale alla settimana 24 ($p < 0,0001$).

Alla settimana 24 sono state inoltre osservate riduzioni significative (tutte con $p < 0,0001$) di colesterolo non-HDL, colesterolo totale, colesterolo VLDL, apolipoproteina B e trigliceridi, che costituivano endpoint secondari dello studio. Gli eventi avversi osservati sono stati prevalentemente di grado lieve e principalmente di natura gastrointestinale ed epatica. Eventi

avversi di particolare interesse sono stati riportati in cinque pazienti (12%): due casi di natura gastrointestinale e tre di natura epatica. È stato segnalato un solo evento avverso grave correlato al trattamento, consistente in un aumento degli enzimi epatici, che ha richiesto due interruzioni temporanee della terapia, due riduzioni del dosaggio e una successiva nuova titolazione della dose. Nel complesso i risultati sono risultati coerenti con il profilo di sicurezza già noto di lomitapide¹.

Informazioni su HoFH

L'ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH) è una rara malattia genetica caratterizzata da livelli estremamente elevati di colesterolo fin dalla nascita². Nelle persone affette da HoFH, le arterie tendono a ostruirsi precocemente e i livelli di colesterolo LDL ("colesterolo cattivo") possono superare di oltre dieci volte i valori considerati accettabili, aumentando significativamente il rischio di gravi malattie cardiovascolari, aterosclerosi precoce ed eventi cardiaci².

La diagnosi e il trattamento precoci sono fondamentali, ma molti pazienti restano ancora non diagnosticati o non adeguatamente trattati.^{2,3}

Informazioni su lomitapide

Lomitapide è il principio attivo presente in un medicinale soggetto a prescrizione medica che viene utilizzato, in associazione a una dieta povera di grassi, ad attività fisica e ad altri trattamenti finalizzati alla riduzione del colesterolo LDL, per diminuire i livelli di LDL-C negli adulti e nei bambini dai 5 anni di età affetti da ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH).⁴

Quando possibile, la diagnosi di HoFH deve essere confermata geneticamente. Devono inoltre essere escluse altre forme di iperlipoproteinemia primaria e le cause secondarie di ipercolesterolemia, come la sindrome nefrosica o l'ipotiroidismo.

Gruppo Chiesi

Chiesi è un gruppo biofarmaceutico internazionale orientato alla ricerca che sviluppa e commercializza soluzioni terapeutiche innovative nel campo della salute respiratoria, delle malattie rare e delle cure specialistiche. Per realizzare la propria missione di migliorare la qualità di vita delle persone, il Gruppo agisce in maniera responsabile non solo verso i pazienti, ma anche per le comunità in cui opera e per l'ambiente. Avendo adottato lo status giuridico di Società Benefit in Italia, negli Stati Uniti, in Francia e in Colombia, l'impegno di Chiesi a creare valore condiviso per la società nel suo complesso è legalmente vincolante, e al centro di ogni decisione aziendale. Come B Corp certificata dal 2019, Chiesi soddisfa standard verificati in materia di pratiche aziendali sociali e ambientali.

L'azienda ha l'obiettivo di raggiungere Zero Emissioni Nette di gas a effetto serra (GHG) entro il 2035. Chiesi, che vanta 90 anni di esperienza, ha sede a Parma, con 31 filiali commerciali nel mondo, e conta oltre 7.900 collaboratori. Il Centro Ricerche di Parma collabora con altri sei importanti poli di R&S in Francia, Stati Uniti, Canada, Cina, Regno Unito, e Svezia.

Chiesi Global Rare Diseases

Chiesi Global Rare Diseases è la business unit del Gruppo Chiesi dedicata allo sviluppo di terapie innovative e soluzioni per le persone che convivono con malattie rare. L'obiettivo è favorire un accesso equo alle cure affinché il maggior numero possibile di pazienti possa vivere una vita piena e soddisfacente, collaborando con la comunità delle malattie rare a livello globale per dare voce

alle persone meno rappresentate nei sistemi sanitari.

Chiesi Media Contact

Chiara Travagin

Head of Global Communications, Rare

E-mail: c.travagin@chiesi.com

Anna Bonisoli Alquati

Head of Global External Communications

E-mail: mediarelations@chiesi.com

References

1. Masana, L., Zambon, A., Schmitt, C. P., Taylan, C., Driemeyer, J., Cohen, H., Buonomo, P. S., Alashwal, A., Al-Dubayee, M., Kholaf, N., Diaz-Diaz, J. L., Maatouk, F., Martinez-Hervas, S., Mangal, B., Löwe, S., & Cunningham, T. (2024). Lomitapide for the treatment of paediatric patients with homozygous familial hypercholesterolaemia (APH-19): Results from the efficacy phase of an open-label, multicentre, phase 3 study. *The Lancet Diabetes & Endocrinology*, 12(12), 880–889.
2. Borberg H. The lower the better: target values after LDL-Apheresis and semi selective LDL-elimination therapies. *Transfus Apher Sci.* 2013;48(2):203-206.
3. Cuchel M, Raal FJ, Hegele RA, et al. 2023 Update on European Atherosclerosis Society Consensus Statement on Homozygous Familial Hypercholesterolaemia: new treatments and clinical guidance. *Eur Heart J.* 2023;44(25): 2277-2291.
4. European Medicines Agency. (2025, January 27). Lojuxta, INN-lomitapide: EPAR product information. https://www.ema.europa.eu/en/documents/product-information/lojuxta-epar-product-information_en.pdf