

Chiesi Global Rare Diseases riceve un parere positivo del CHMP per LOJUXTA® (lomitapide) capsule per uso pediatrico nel trattamento dell'ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH)

Published On: 2026-04-01 12:30

Il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) ha espresso un parere positivo; la decisione della Commissione Europea (CE) è attesa entro il 1 giugno 2026

Se approvata, l'indicazione di lomitapide verrebbe estesa ai bambini di età pari o superiore ai 5 anni che vivono con HoFH

PARMA, Italia – 30 marzo 2026 – Chiesi Global Rare Diseases, business unit del Gruppo Chiesi creata per offrire soluzioni innovative alle persone che convivono con malattie rare, annuncia oggi che il Comitato per i Medicinali per Uso Umano (CHMP) dell'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) ha espresso un parere positivo raccomandando l'approvazione di lomitapide capsule per uso pediatrico nel trattamento dell'ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH) nei bambini di età pari o superiore ai 5 anni.

Lomitapide è approvato nell'Unione Europea (UE) dal 2013 per il trattamento dei pazienti adulti con HoFH, in associazione alla dieta e ad altre terapie ipolipemizzanti, inclusa l'aferesi delle LDL (lipoproteine a bassa densità).

In linea con l'impegno di Chiesi a supportare le comunità di pazienti sottoservite a livello globale, lomitapide è rimborsato in 16 Paesi ed è stato approvato dall'Autorità Saudita per gli Alimenti e i Medicinali (SFDA) per l'uso pediatrico nella HoFH nei bambini di età pari o superiore ai 5 anni. Lomitapide è inoltre disponibile in altri Paesi attraverso programmi di uso compassionevole (named patient programs).

*"I bambini che convivono con la HoFH meritano opzioni terapeutiche in grado di rispondere alle loro esigenze fin dall'inizio," ha dichiarato **Mitch Goldman, MD, PhD, Senior Vice President Research & Development, Chiesi Global Rare Diseases**. "Il parere positivo del CHMP ci avvicina di un passo alla possibilità di offrire lomitapide ai pazienti a partire dai 5 anni di età. Ampliando l'accesso a una terapia che ha già portato benefici ai pazienti adulti, puntiamo ad aiutare le famiglie ad affrontare questa patologia con maggiore fiducia e continuità di cura."*

Il parere positivo si basa sui dati di uno studio di fase 3, in aperto, a braccio singolo e multicentrico che ha valutato lomitapide in 43 pazienti pediatriche di età compresa tra i 5 e i 17 anni che vivono con HoFH.

Lo studio APH-19 ha raggiunto l'endpoint primario, dimostrando una riduzione media del 53,5% del colesterolo LDL (LDLC) rispetto al basale alla settimana 24 ($p < 0,0001$). Riduzioni significative (tutte $p < 0,0001$) sono state osservate anche per colesterolo non HDL, colesterolo totale, VLDLC, apolipoproteina B e trigliceridi (endpoint secondari).

Gli eventi avversi sono stati per lo più lievi e di natura gastrointestinale ed epatica. Eventi avversi di particolare interesse sono stati riportati in cinque pazienti (12%) (due gastrointestinali e tre epatici). È stato segnalato un evento avverso serio emergente dal trattamento (anch'esso classificato come evento di particolare interesse): un aumento degli enzimi epatici, che ha comportato due interruzioni della dose, due riduzioni della dose e una successiva ripresa graduale della titolazione. Nel complesso, non sono emersi nuovi segnali di sicurezza e i risultati sono risultati coerenti con il profilo noto di lomitapide.

Informazioni sulla HoFH

L'ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH) è una grave e rara malattia genetica che compromette la funzione del recettore responsabile della rimozione del colesterolo LDL ("colesterolo cattivo") dall'organismo. La perdita della funzione del recettore LDL determina livelli estremamente elevati di colesterolo nel sangue. Le persone con HoFH sviluppano spesso aterosclerosi precoce e progressiva, con restringimento o ostruzione delle arterie.

Informazioni su lomitapide

Lomitapide è un medicinale soggetto a prescrizione ed è indicato, in associazione a una dieta a basso contenuto di grassi e ad altri medicinali ipolipemizzanti, con o senza aferesi delle LDL, nei pazienti adulti con HoFH. Ove possibile, deve essere ottenuta la conferma genetica della HoFH. Devono essere escluse altre forme di iperlipoproteinemia primaria e le cause secondarie di ipercolesterolemia.

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 e in Francia, 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 è parte di un movimento globale di aziende che rispettano alti standard di impatto sociale e ambientale. 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 7.500 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.

Per maggiori informazioni: www.chiesi.com

Chiesi Global Rare Diseases

Chiesi Global Rare Diseases è una business unit del Gruppo Chiesi nata per offrire terapie e soluzioni innovative alle persone affette da malattie rare. Come azienda familiare, il Gruppo Chiesi si impegna per creare un mondo in cui sia normale avere una terapia per tutte le malattie e agisce come una forza positiva, per la società e per il pianeta. L'obiettivo dell'unità Global Rare Diseases è quello di garantire la parità di accesso, in modo che il maggior numero possibile di persone possa vivere una vita più soddisfacente. Global Rare Diseases collabora con le comunità che si occupano di malattie rare in tutto il mondo, per dare voce alle persone non adeguatamente coperte dai sistemi sanitari.

Per maggiori informazioni, visitare il sito www.chiesirarediseases.com

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. Cuchel, M., Raal, F. J., Hegele, R. A., Al-Rasadi, K., Arca, M., Aversa, M., Bruckert, E., Freiburger, T., Gaudet, D., Harada-Shiba, M., Hudgins, L. C., Kayikcioglu, M., Masana, L., Parhofer, K. G., Roeters van Lennep, J. E., Santos, R. D., Stroes, E. S. G., Watts, G. F., Wiegman, A., Stock, J. K., ... Ray, K. K. (2023). 2023 Update on European Atherosclerosis Society Consensus Statement on Homozygous Familial Hypercholesterolaemia: new treatments and clinical guidance. *European heart journal*, 44(25), 2277–2291.
2. Mainieri, F., Tagi, V. M., & Chiarelli, F. (2022). Recent Advances on Familial Hypercholesterolemia in Children and Adolescents. *Biomedicine*, 10(5), 1043.
3. Graves, L. E., Horton, A., Alexander, I. E., & Srinivasan, S. (2023). Gene Therapy for Paediatric Homozygous Familial Hypercholesterolaemia. *Heart, Lung and Circulation*, 32(7), 769-779.
4. Nohara, A., Tada, H., Ogura, M., Okazaki, S., Ono, K., Shimano, H., Daida, H., Dobashi, K., Hayashi, T., Hori, M., Matsuki, K., Minamino, T., Yokoyama, S., & Harada-Shiba, M. (2021). Homozygous Familial Hypercholesterolemia. *Journal of Atherosclerosis and Thrombosis*, 28(7), 665.
5. 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.