

COMUNICATO STAMPA

Malattie rare: via libera della FDA per un nuovo farmaco indicato per una forma rara di ipercolesterolemia

Roma, 11 gennaio 2013 - La Food and Drug Administration (FDA) ha approvato lomitapide, un nuovo farmaco per le persone affette da ipercolesterolemia familiare omozigote indicato per la riduzione del tasso di colesterolo LDL, colesterolo totale, apolipoproteina B e colesterolo non-HDL.

L'ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH) è una patologia congenita rara caratterizzata da elevati livelli di colesterolo LDL in circolo a causa dell'incapacità dell'organismo di eliminare efficacemente dal sangue questo tipo di colesterolo, spesso chiamato colesterolo "cattivo".

Le persone affette da ipercolesterolemia familiare omozigote, che negli Stati Uniti ha una prevalenza di circa 1 su un milione, soffrono di patologie cardiache severe con un'aspettativa di vita media di circa 30 anni.

Lomitapide, commercializzato da Aegerion Pharmaceuticals, società biofarmaceutica impegnata nello sviluppo e nella commercializzazione di terapie innovative per pazienti con malattie rare, agisce inibendo la formazione di lipidi che si sviluppano poi in LDL.

«L'aggiunta di lomitapide ad un adeguato regime dietetico e ad altri trattamenti ipolipemizzanti rappresenta una nuova opzione terapeutica per coloro che, affetti da ipercolesterolemia familiare omozigote, vanno incontro a gravi danni alla salute come conseguenza di questa patologia» dice **Eric Colman**, Vice Direttore della Divisione Prodotti per Metabolismo ed Endocrinologia nel Centro di Ricerca e Valutazione dei Farmaci della FDA.

La sicurezza e l'efficacia di lomitapide sono state valutate in uno studio clinico che ha arruolato 29 pazienti con HoFH. I livelli di colesterolo LDL si sono ridotti di circa la metà durante le prime 26 settimane di trattamento tra coloro che hanno tollerato la terapia. Le reazioni avverse più comuni riscontrate nel trial clinico sono state diarrea, nausea, vomito, indigestione e dolore addominale.

La FDA ha attribuito a lomitapide un *Boxed Warning* relativo agli importanti rischi di tossicità epatica che possono dipendere da anomalie negli enzimi epatici e dall'accumulo di grassi nel fegato, fattori che potrebbero progressivamente portare ad una malattia epatica in corso di trattamento. Inoltre, lomitapide riduce l'assorbimento di grassi solubili nutrienti ed interagisce con numerosi altri farmaci.

Lomitapide è stato approvato dalla FDA in associazione ad una *Risk Evaluation and Mitigation Strategy* (REMS), ossia una serie di elementi/indicazioni che ne assicurano un uso attento e responsabile, insieme a una certificazione ed una documentazione per il medico ed il farmacista per un uso sicuro del farmaco, comprendente un modulo di autorizzazione alla prescrizione che verrà richiesto assieme ad ogni nuova prescrizione.

Sono stati richiesti dalla FDA 3 studi post-approvazione per lomitapide: uno studio sugli animali per valutare la potenziale tossicità in bambini ed adolescenti, un registro dei pazienti in trattamento con lomitapide per valutare la sicurezza nel lungo termine, un programma di farmacovigilanza per monitorare l'insorgenza di tumori, teratogenicità e patologie a carico del fegato.

Lomitapide, indicato in combinazione con una dieta povera di grassi e con altri trattamenti ipolipemizzanti, è disponibile in capsule che si assumono una volta al giorno, lontano dai pasti ed almeno due ore dopo il pasto serale. I pazienti che assumono lomitapide devono associare alla dieta integratori contenenti vitamine solubili e acidi grassi essenziali.

Per informazioni:

Aegerion Pharmaceuticals

Marco Peratello

Tel. 011 3997878 – Cell. 388 3637089

mperatello@aegerion.com

Ufficio stampa - Pro Format Comunicazione

Daniela Caffari

Cell. 346 6705534

ufficiostampa@proformatcomunicazione.it