



Norgine annuncia lâ??autorizzazione allâ??immissione in commercio da parte della Commissione europea per XOLREMDI Â® (mavorixafor), la prima terapia autorizzata per i pazienti con sindrome WHIM nellâ??Unione Europea

Descrizione

COMUNICATO STAMPA â?? CONTENUTO PROMOZIONALE

Lâ??approvazione segue un parere positivo del Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dellâ??EMA

Lâ??approvazione della Commissione europea segna una pietra miliare significativa per le persone che vivono con questa immunodeficienza primaria ultra-rara ed Â?? stata concessa in circostanze eccezionali

Norgine guiderÃ la commercializzazione in tutta Europa nellâ??ambito dellâ??accordo con X4 Pharmaceuticals

AMSTERDAM, 30 aprile 2026 /PRNewswire/ â?? Norgine, una delle principali societÃ farmaceutiche specializzate europee, ha annunciato oggi che la Commissione europea (CE) ha concesso lâ??autorizzazione allâ??immissione in commercio per mavorixafor come XOLREMDI Â®, a seguito di un parere positivo del Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dellâ??Agenzia europea per i medicinali.1 Lâ??autorizzazione allâ??immissione in commercio Â?? stata concessa in circostanze eccezionali*, riflettendo la natura ultra-rara della sindrome WHIM.

XOLREMDIÂ® Â?? indicato nei pazienti di etÃ pari o superiore a 12 anni per il trattamento della sindrome WHIM (verruche, ipogammaglobulinemia, infezioni e mielocatessi) per aumentare il numero di neutrofili e linfociti maturi circolanti.1

La sindrome WHIM Â?? unâ??immunodeficienza primaria ultra-rara causata da una disfunzione del recettore CXCR4, che compromette il rilascio in circolazione dei globuli bianchi dal midollo osseo. Di

conseguenza, le persone che convivono con questa patologia corrono un rischio maggiore di infezioni ricorrenti e gravi.²

“L’approvazione di XOLREMDI® nell’Unione Europea segna una pietra miliare significativa per le persone che vivono con la sindrome WHIM, una patologia estremamente rara per la quale, fino ad ora, non esistono opzioni terapeutiche approvate”, ha affermato Janneke van der Kamp, amministratore delegato di Norgine. “In Norgine, ci impegniamo a portare farmaci che rispondono a bisogni insoddisfatti significativi ai pazienti in Europa, Australia e Nuova Zelanda. Non vediamo l’ora di lavorare con le autorità sanitarie, gli operatori sanitari e la comunità delle malattie rare per contribuire a rendere mavorixafor disponibile per i pazienti idonei il più rapidamente possibile”.

L’autorizzazione all’immissione in commercio da parte della Commissione europea si basa sui risultati dello studio clinico pivotale di fase III WHIM, uno studio multicentrico globale, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, di 52 settimane che ha valutato l’efficacia e la sicurezza di mavorixafor in 31 persone di età pari o superiore a 12 anni con diagnosi di sindrome WHIM.³

“Questa approvazione segna un momento significativo per la comunità della sindrome WHIM in Europa”, ha affermato Johan Prevot, direttore esecutivo di IPOPI, l’Organizzazione internazionale dei pazienti per le immunodeficienze primarie. “Per i pazienti e le famiglie che vivono con infezioni gravi ricorrenti e il peso di un’immunodeficienza primaria ultra-rara, la disponibilità di una terapia autorizzata rappresenta un progresso significativo. Continueremo a dare voce ai pazienti in tutta Europa e oltre, per garantire che i sistemi sanitari nazionali riconoscano il valore delle terapie innovative e garantiscano un accesso equo ai pazienti, indipendentemente dal luogo in cui vivono”.

Norgine e X4 Pharmaceuticals hanno stipulato un accordo di licenza e fornitura nel gennaio 2025, in base al quale Norgine commercializzerà mavorixafor in Europa, Australia e Nuova Zelanda previa approvazione normativa. Tutte le autorizzazioni all’immissione in commercio nei territori concessi in licenza saranno trasferite a Norgine. Una volta completato il trasferimento, Norgine sarà responsabile di tutte le attività di accesso al mercato e di commercializzazione nei territori concessi in licenza. X4 produrrà e fornirà mavorixafor a Norgine.

Informazioni sulla sindrome WHIM

La sindrome WHIM è una rara malattia che combina immunodeficienza primaria e neutropenia cronica, ed è causata da una disfunzione del recettore CXCR4 che compromette la mobilitazione dei globuli bianchi dal midollo osseo alla circolazione periferica. La sindrome WHIM prende il nome dalle sue quattro manifestazioni classiche: verruche, ipogammaglobulinemia, infezioni e mielocatessi, sebbene solo una minoranza di pazienti presenta tutte e quattro le manifestazioni. Le persone affette dalla sindrome WHIM presentano tipicamente bassi livelli ematici di neutrofili (neutropenia) e linfociti (linfopenia) e, di conseguenza, soffrono di infezioni gravi e/o frequenti.²

Informazioni su XOLREMDI® (mavorixafor)

Mavorixafor è un antagonista selettivo del recettore 4 della chemochina CXC (CXCR4) che si lega al recettore CXCR4, impedendone l’interazione con CXCL12,² attualmente approvato negli Stati Uniti

con il nome commerciale XOLREMDI® per il trattamento della sindrome WHIM.4

Informazioni su Norgine

Norgine è un'azienda farmaceutica di medie dimensioni con sede nell'UE che conta 1.500 dipendenti e genera un fatturato annuo di circa 650 milioni di dollari. In Norgine, l'innovazione guida la nostra missione: fornire farmaci che cambiano la vita. Dalle patologie comuni come la stitichezza alle malattie rare e gravi come il cancro infantile, ci concentriamo sulle esigenze mediche non soddisfatte perché crediamo che ogni scoperta scientifica meriti di raggiungere i pazienti che ne hanno bisogno.

Utilizziamo le nostre capacità innovative di sviluppo, commercializzazione e produzione, nonché le partnership strategiche per affrontare percorsi complessi. Il nostro approccio, che abbina una lunga storia a una profonda conoscenza del territorio, ci consente di accelerare ed espandere la diffusione di farmaci in grado di migliorare le condizioni di vita dei pazienti in Europa, Australia e Nuova Zelanda.

Siamo guidati dalla fiducia che gli operatori sanitari e i pazienti ripongono in noi e rimaniamo costantemente impegnati a fornire innovazioni che trasformano la vita, un paziente alla volta.

*Definizione dell'Unione Europea di "in circostanze eccezionali": un tipo di autorizzazione all'immissione in commercio rilasciata laddove il richiedente non sia in grado di fornire dati completi sull'efficacia e la sicurezza, come spesso accade nelle patologie estremamente rare. In tali casi il rapporto beneficio-rischio è valutato sulla base dei dati disponibili, con dati aggiuntivi richiesti a seguito dell'approvazione in conformità con i requisiti normativi.

Bibliografia:

1. EMA. XOLREMDI. Disponibile su: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/xolremdi>.
2. NORD. Sindrome WHIM - Sintomi, cause, terapia. Disponibile su: <https://rarediseases.org/rare-diseases/whim-syndrome/>. Consultato nell'aprile 2026. Badolato R, Alsina L, Azar A, et al. Studio randomizzato di fase 3 su mavorixafor, un antagonista CXCR4, per la sindrome WHIM. *Sangue*. 2024;144(1):35-454. XOLREMDI US PI. Disponibile su: https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2024/218709s000lbl.pdf. Consultato nell'aprile 2026

Logo - https://mma.prnewswire.com/media/2846726/5944580/Norgine_Logo.jpg

View original content: <https://www.prnewswire.com/it/comunicati-stampa/norgine-annuncia-lautorizzazione-allimmissione-in-commercio-da-parte-della-commissione-europea-per-xolremdi-mavorixafor-la-prima-terapia-autorizzata-per-i-pazienti-con-sindrome-whim-nellunione-europea-302759311.html>

Copyright 2026 PR Newswire. All Rights Reserved.

COMUNICATO STAMPA - CONTENUTO PROMOZIONALE: Immediapress è un servizio di diffusione di comunicati stampa in testo originale redatto direttamente dall'ente che lo emette.

Lâ??Adnkronos e Immediapress non sono responsabili per i contenuti dei comunicati trasmessi

â??

[immediapress/pr-newswire](#)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. ImmediaPress

Data di creazione

Aprile 30, 2026

Autore

redazione

default watermark