



Norgine accoglie con favore il parere positivo del CHMP che raccomanda l'approvazione di mavorixafor nell'Unione europea per la sindrome WHIM

Descrizione

COMUNICATO STAMPA - CONTENUTO PROMOZIONALE

La raccomandazione del CHMP segna un passo importante verso il primo trattamento autorizzato per la sindrome WHIM in Europa. La decisione finale della Commissione europea è prevista per il secondo trimestre del 2026. Partnership con X4 Pharmaceuticals per la commercializzazione in Europa guidata da Norgine.

AMSTERDAM, 28 febbraio 2026 /PRNewswire/ - Norgine B.V., azienda farmaceutica specializzata leader in Europa, accoglie con favore il parere positivo espresso dal Comitato per i medicinali per uso umano (CHMP) dell'Agenzia europea per i medicinali (EMA), che raccomanda il rilascio di un'autorizzazione all'immissione in commercio in circostanze eccezionali[*] per XOLREMDIÂ® (mavorixafor) in pazienti di età pari o superiore a 12 anni per il trattamento della sindrome WHIM (verruche, ipogammaglobulinemia, infezioni e mielocatessi) al fine di aumentare il numero di neutrofili e linfociti maturi circolanti.[1]

Il parere positivo del CHMP rappresenta un importante traguardo normativo per i pazienti affetti dalla sindrome WHIM, per i quali attualmente non esistono altre opzioni terapeutiche autorizzate.[2] La condizione causata da una disfunzione del recettore delle chemochine (CXCR4), che compromette il rilascio dei globuli bianchi dal midollo osseo nella circolazione, portando a infezioni ricorrenti e/o gravi.

La Commissione europea (CE) esaminerà ora la raccomandazione del CHMP, e la decisione finale è prevista per il secondo trimestre del 2026.

Siamo lieti di assistere a questo importante traguardo normativo per i pazienti affetti dalla sindrome WHIM, ha dichiarato Janneke van der Kamp, Chief Executive Officer di Norgine. Noi di Norgine abbiamo sviluppato una profonda esperienza nella fornitura di farmaci rari e specialistici in Europa, Australia e Nuova Zelanda, e il parere positivo del CHMP su mavorixafor riflette il tipo di innovazione che la nostra organizzazione si propone di offrire ai pazienti che ne hanno bisogno.

Il parere positivo del CHMP su mavorixafor Ã¨ supportato dai risultati dello studio clinico pivotale di fase 3 (4WHIM), uno studio multicentrico globale, randomizzato, in doppio cieco, controllato con placebo, della durata di 52 settimane, che ha valutato lâ€™efficacia e la sicurezza di mavorixafor in 31 persone di etÃ pari o superiore a 12 anni con diagnosi di sindrome WHIM.[3]

Norgine e X4 Pharmaceuticals hanno stipulato un accordo di licenza e fornitura nel gennaio 2025, in base al quale Norgine commercializzerÃ mavorixafor in Europa, Australia e Nuova Zelanda previa approvazione normativa. Tutte le autorizzazioni allâ€™immissione in commercio nei territori concessi in licenza saranno trasferite a Norgine. Una volta completato il trasferimento, Norgine sarÃ responsabile di tutte le attivitÃ di accesso al mercato e di commercializzazione nei territori concessi in licenza. X4 produrrÃ e fornirÃ mavorixafor a Norgine.

Informazioni sulla sindrome WHIM

La sindrome WHIM Ã¨ una rarissima malattia che combina immunodeficienza primaria e neutropenia cronica, ed Ã¨ 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 Mavorixafor

Mavorixafor Ã¨ un antagonista selettivo del recettore 4 della chemochina CXC (CXCR4) che si lega al recettore CXCR4, impedendone lâ€™interazione con CXCL12,1 attualmente approvato negli Stati Uniti con il nome commerciale XOLREMDIÃ® per il trattamento della sindrome WHIM.3

Informazioni su Norgine

Norgine Ã¨ unâ€™azienda farmaceutica di medie dimensioni con sede nellâ€™UE che conta 1.500 dipendenti e genera un fatturato annuo di circa 650 milioni di dollari. In Norgine, lâ€™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 perchÃ© crediamo che ogni scoperta scientifica meriti di raggiungere i pazienti che ne hanno bisogno.

Utilizziamo le nostre capacitÃ innovative di sviluppo, commercializzazione e produzione, nonchÃ© 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 dellâ€™EMA di â€œcircostanze eccezionaliâ€: Un tipo di autorizzazione allâ€™immissione in commercio concessa ai farmaci per i quali il richiedente non Ã¨ in grado di fornire

dati completi sull'efficacia e la sicurezza in normali condizioni d'uso, perché la patologia da trattare è rara o perché la raccolta di informazioni complete non è possibile o non è etica.

[1] XOLREMDI® (mavorixafor) Parere del CHMP[2] Sindrome WHIM Sintomi, cause, trattamento | NORD, consultato nel febbraio 2026[3] Badolato R, Alsina L, Azar A, et al. Studio randomizzato di fase 3 su mavorixafor, un antagonista CXCR4, per la sindrome WHIM. Blood. 2024;144(1):35-45.

Logo https://mma.prnewswire.com/media/2846726/5826695/Norgine_Logo.jpg

View original content:<https://www.prnewswire.com/it/comunicati-stampa/norgine-accoglie-con-favore-il-parere-positivo-del-chmp-che-raccomanda-lapprovazione-di-mavorixafor-nellunione-europea-per-la-sindrome-whim-302700234.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. Adnkronos e Immediapress non sono responsabili per i contenuti dei comunicati trasmessi

[immediapress/pr-newswire](https://www.immediapress.com/pr-newswire)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. ImmediaPress

Data di creazione

Febbraio 28, 2026

Autore

redazione