



Ultragenyx annuncia l'approvazione da parte dell'AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco) del rimborso di Evkeeza® (evinacumab) per i pazienti pediatrici di età pari a 6 mesi con ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH)

Milano, 8 ottobre 2025 – Ultragenyx Pharmaceutical Inc. (NASDAQ: RARE), azienda biofarmaceutica focalizzata sullo sviluppo e la commercializzazione di nuove terapie per malattie genetiche rare e ultra-rare, ha annunciato oggi che l'AIFA (Agenzia Italiana del Farmaco) ha esteso il rimborso di Evkeeza® (evinacumab) per il trattamento di pazienti pediatrici a partire dai 6 mesi di età affetti da ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH) (Gazzetta Ufficiale n. 230 del 3 ottobre 2023 – Determina 1230-2025). L'HoFH è una rara malattia ereditaria che, se non trattata, può causare livelli estremamente elevati di colesterolo legato alle lipoproteine a bassa densità (LDL-C), portando a una malattia cardiovascolare aggressiva e precoce.

"L'estensione del rimborso di Evkeeza ai bambini dai 6 mesi in su rappresenta una svolta nel trattamento dell'ipercolesterolemia familiare omozigote. Questa opzione terapeutica, grazie al suo profilo di sicurezza e alla comprovata efficacia, ha il potenziale per essere fondamentale nella prevenzione dell'aterosclerosi, anche in età infantile", ha affermato il **prof. Alberico Catapano, presidente della Società Italiana per lo Studio dell'Aterosclerosi (SISA)**.

Evkeeza è stato approvato a giugno 2021 dalla Commissione Europea (CE) ed è rimborsato in Italia come coadiuvante della dieta e di altre terapie ipolipemizzante per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici dai 12 anni in su affetti da HoFH da ottobre 2023 (Gazzetta Ufficiale n. 252 del 27 ottobre 2023). Il trattamento è ora rimborsabile e disponibile per la prescrizione come coadiuvante della dieta e di altre terapie ipocolesterolemizzanti per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 6 mesi affetti da HoFH.

"Siamo orgogliosi di annunciare il rimborso di Evkeeza in Italia per tutti i pazienti di età pari o superiore a 6 mesi affetti da HoFH e siamo grati all'incredibile comunità di pazienti e operatori sanitari di tutto il Paese che ci ha aiutato a rendere disponibile questo trattamento", ha dichiarato **Antonio Cozzolino, country director per l'Italia di Ultragenyx**. "Non vediamo l'ora di continuare a collaborare con le associazioni di pazienti, la comunità scientifica e la pubblica amministrazione per rendere questo trattamento potenzialmente in grado di cambiare la vita alle persone affette da questa grave malattia".

Informazioni sull'ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH)

L'HoFH è una forma devastante di ipercolesterolemia ereditaria, che colpisce 1 persona su 300.000 a livello globale. L'HoFH si verifica quando vengono ereditate due copie dei geni che causano l'ipercolesterolemia familiare (FH), una da ciascun genitore, con conseguenti livelli pericolosamente elevati (>10 mmol/L) di LDL-C, o colesterolo cattivo. I pazienti con HoFH sono a rischio di malattia aterosclerotica prematura ed eventi cardiaci in età precoce.

Informazioni su Evkeeza (evinacumab)

Evinacumab, il principio attivo del farmaco, si lega a una proteina presente nell'organismo chiamata ANGPTL3 e ne blocca gli effetti. ANGPTL3 è coinvolta nel controllo dei livelli di colesterolo e bloccandone il suo effetto, si riduce il livello di colesterolo nel sangue. Il farmaco viene somministrato tramite infusione una volta al mese (ogni 4 settimane).

Evkeeza è approvato dall'Agenzia Europea per i Medicinali (EMA) come coadiuvante della dieta e di altre terapie ipocolesterolemiche basate sulle lipoproteine a bassa densità (LDL-C) per il trattamento di pazienti adulti e pediatrici di età pari o superiore a 6 mesi affetti da ipercolesterolemia familiare omozigote (HoFH). Gli effetti di Evkeeza sulla morbilità e mortalità cardiovascolare non sono stati determinati.

Regeneron Pharmaceuticals, Inc. ha scoperto e sviluppato Evkeeza e commercializza il prodotto per l'HoFH negli Stati Uniti con il nome generico evinacumab-dgnb, con dgnb come suffisso designato in conformità con le linee guida per l'industria sulla denominazione non proprietaria dei prodotti biologici emesse dalla FDA. Ultragenyx è responsabile dello sviluppo e della commercializzazione nei paesi al di fuori degli Stati Uniti.

INFORMAZIONI IMPORTANTI SULLA SICUREZZA DI EVKEEZA (evinacumab)

Gli effetti collaterali più comuni possono includere sintomi del raffreddore comune, come naso che cola (rinofaringite) e, nei bambini dai 5 agli 11 anni, sensazione di stanchezza (affaticamento). Evkeeza può causare gravi reazioni allergiche. Informi immediatamente il medico o l'infermiere se manifesta sintomi di una grave reazione allergica: gonfiore, principalmente di labbra, lingua o gola, che rende difficile deglutire o respirare, problemi respiratori o respiro sibilante, sensazione di vertigini o svenimento, eruzione cutanea, orticaria, prurito. La flebo verrà interrotta immediatamente e potrebbe essere necessario assumere altri medicinali per controllare la reazione.

Non deve assumere Evkeeza se è allergico a evinacumab o a uno qualsiasi degli altri ingredienti di questo medicinale. Informi immediatamente il medico o l'infermiere se manifesta sintomi di una grave reazione allergica.

Informi il medico se sta assumendo, ha recentemente assunto o potrebbe assumere altri medicinali.

Evkeeza non è raccomandato per i bambini di età inferiore ai 6 mesi perché non ci sono ancora informazioni sufficienti sul suo utilizzo in questo gruppo di pazienti.

Se è incinta, pensa di poterlo essere o sta pianificando una gravidanza, chiedi consiglio al medico prima di assumere questo medicinale. Evkeeza può danneggiare il feto. Informi immediatamente il medico in caso di gravidanza durante il trattamento con Evkeeza. Se è in età fertile, deve usare un metodo contraccettivo efficace per evitare una gravidanza. Usi un metodo contraccettivo efficace durante il trattamento con Evkeeza e usi un metodo contraccettivo efficace per almeno 5 mesi dopo l'ultima dose di Evkeeza. Consulti il medico per conoscere il metodo contraccettivo più adatto a lei durante questo periodo.

Se sta allattando o sta pianificando di allattare, chiedi consiglio al medico prima di assumere questo medicinale. Non è noto se Evkeeza passi nel latte materno.

È possibile che Evkeeza possa provocare vertigini e stanchezza e possa influire sulla capacità di andare in bicicletta, guidare o utilizzare utensili o macchinari. Se ritiene di esserne affetto, non vada in bicicletta, non guidi e non utilizzi macchinari e informi il medico.

Questo medicinale contiene 30 mg di prolina per ml. La prolina può essere dannosa per i pazienti affetti da iperprolinemia, una rara malattia genetica in cui la prolina si accumula nell'organismo. Se lei (o suo figlio) soffre di iperprolinemia, non usi questo medicinale a meno che non sia stato raccomandato dal medico.

Questo medicinale contiene 1 mg di polisorbato 80 per ml. I polisorbati possono causare reazioni allergiche. Informi il medico se lei (o suo figlio) soffre di allergie note.

Se manifesta un qualsiasi effetto indesiderato, si rivolga al medico o all'infermiere. Segnalando gli effetti indesiderati, può contribuire a fornire maggiori informazioni sulla sicurezza di questo medicinale.

Si prega di consultare le informazioni complete sul prodotto, inclusi il [Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto](#) e il Foglio Illustrativo: Informazioni per il paziente.

Informazioni su Ultragenyx Pharmaceutical Inc.

Ultragenyx è un'azienda biofarmaceutica impegnata a offrire ai pazienti prodotti innovativi per il trattamento di gravi malattie genetiche rare e ultra-rare. L'azienda ha creato un portafoglio diversificato di terapie approvate e prodotti candidati all'approvazione, volti ad affrontare malattie con un elevato bisogno medico insoddisfatto e una biologia di trattamento chiara, per le quali in genere non esistono terapie approvate per la malattia di base.

L'azienda è guidata da un team dirigenziale esperto nello sviluppo e nella commercializzazione di terapie per malattie rare. La strategia di Ultragenyx si basa sullo sviluppo di farmaci efficienti in termini di tempi e costi, con l'obiettivo di fornire terapie sicure ed efficaci ai pazienti con la massima urgenza.

Per maggiori informazioni su Ultragenyx, visitare il sito web dell'azienda all'indirizzo: www.ultragenyx.eu/it

Dichiarazioni previsionali di Ultragenyx e utilizzo dei media digitali

Ad eccezione delle informazioni storiche qui contenute, gli argomenti esposti nel presente comunicato stampa, incluse le dichiarazioni relative alle aspettative e alle proiezioni di Ultragenyx in merito ai suoi futuri risultati operativi e alla performance finanziaria, alle previste riduzioni di costi o spese, alla tempistica, ai progressi e ai piani per i suoi programmi clinici e studi clinici, alle future interazioni con le autorità regolatorie e alle componenti e tempistiche delle richieste di autorizzazione, costituiscono dichiarazioni previsionali ai sensi delle disposizioni "safe harbor" del Private Securities Litigation Reform Act del 1995. Tali dichiarazioni previsionali comportano rischi e incertezze sostanziali che potrebbero far sì che i programmi di sviluppo clinico dell'azienda, il successo commerciale dei suoi prodotti e candidati, la continua collaborazione con terze parti, i risultati, le performance o i traguardi futuri differiscano significativamente da quelli espressi o impliciti nelle dichiarazioni previsionali. Tali rischi e incertezze includono, tra gli altri, rischi correlati all'affidamento a partner terzi per svolgere determinate attività per conto della Società; la possibilità che qualsiasi licenza o accordo di collaborazione, incluso l'accordo di collaborazione di

Ultragenyx con Regeneron per commercializzare Evkeeza al di fuori degli Stati Uniti, venga rescisso; incertezza e potenziali ritardi correlati allo sviluppo clinico dei farmaci; incertezze e imprevedibilità nell'ottenere l'approvazione normativa per i prodotti candidati della Società e l'ambito di tale potenziale approvazione normativa; opportunità di mercato inferiori al previsto per i prodotti e i prodotti candidati della Società; fluttuazioni nei modelli di acquisto o distribuzione da parte di distributori e farmacie specializzate; concorrenza ai prodotti e ai prodotti candidati della Società; potenziali effetti collaterali indesiderati o gravi dai prodotti o dai prodotti candidati della Società; capacità della Società di gestire efficacemente l'espansione della sua organizzazione commerciale; accettazione sul mercato dei prodotti attuali o futuri della Società; incertezze relative alla copertura assicurativa e allo stato di rimborso dei prodotti appena approvati; rischi di produzione e interruzioni della catena di fornitura; concorrenza di altre terapie o prodotti; e altre questioni che potrebbero influire sulla sufficienza della liquidità disponibile, delle disponibilità liquide e degli investimenti a breve termine per finanziare le operazioni, sui futuri risultati operativi e sulla performance finanziaria della Società, sulla tempistica delle attività di sperimentazione clinica e sulla comunicazione dei relativi risultati, nonché sulla disponibilità o sul potenziale commerciale dei prodotti e dei prodotti candidati di Ultragenyx. Ultragenyx non si assume alcun obbligo di aggiornare o rivedere alcuna dichiarazione previsionale.

Per un'ulteriore descrizione dei rischi e delle incertezze che potrebbero far sì che i risultati effettivi differiscano da quelli espressi in queste dichiarazioni previsionali, nonché sui rischi relativi all'attività di Ultragenyx in generale, si rimanda alla Relazione Trimestrale di Ultragenyx sul Modulo 10-Q depositata presso la Securities and Exchange Commission (SEC) il 6 agosto 2025 e alle successive relazioni periodiche depositate presso la SEC.

Oltre ai documenti depositati presso la SEC, ai comunicati stampa e alle conference call pubbliche, Ultragenyx utilizza il proprio sito web dedicato alle relazioni con gli investitori e i social media per pubblicare informazioni importanti sulla società, comprese informazioni che potrebbero essere considerate rilevanti per gli investitori, e per adempiere agli obblighi di informativa previsti dal Regolamento FD. Informazioni finanziarie e di altro tipo su Ultragenyx vengono regolarmente pubblicate e sono accessibili sul sito web dedicato alle relazioni con gli investitori di Ultragenyx (<https://ir.ultragenyx.com/>) e sul sito web LinkedIn (<https://www.linkedin.com/company/ultragenyx-pharmaceutical-inc-/>).

Ufficio Stampa:

Roudie Shafie, EMEA Communications
rshafie@ultragenyx.com
+44 07402863140