

+++ MEDIZIN-TELEGRAMM +++

PTC Therapeutics erhält positives CHMP-Votum für Sephience™ (Sepiapterin) zur Behandlung von Kindern und Erwachsenen mit Phenylketonurie (PKU)

- Zulassungsempfehlung umfasst das gesamte Spektrum von PKU-Patienten -
- Vorbereitungen für die Markteinführung in Europa im Gange -

5. Mai 2025 - PTC Therapeutics, Inc. gab am 25. April 2025 bekannt, dass der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) eine positive Stellungnahme zum Zulassungsantrag für Sephience™ (Sepiapterin) zur Behandlung von Kindern und Erwachsenen mit Phenylketonurie (PKU) abgegeben hat. Die Empfehlung umfasst eine breite Indikation für alle Altersgruppen und Schweregrade der Erkrankung.

„Diese positive Stellungnahme ist eine großartige Nachricht für die PKU-Patienten in Europa, für die nach wie vor ein erheblicher ungedeckter medizinischer Bedarf besteht“, sagte Matthew B. Klein, M.D., Chief Executive Officer von PTC Therapeutics. „Wir freuen uns darauf, die Markteinführung in Europa unmittelbar nach der Zulassung durch die Europäische Kommission einzuleiten. Die bisher gesammelten Daten belegen das Potenzial für eine verträgliche und wirksame Behandlung, die nicht nur den Phenylalaninspiegel senkt, sondern auch eine Liberalisierung der Ernährung ermöglicht, selbst bei Patienten mit den schwersten Subtypen der Krankheit.“

PTC geht davon aus, dass die Europäische Kommission die Genehmigung für das Inverkehrbringen von Sephience in etwa zwei Monaten erteilen wird. Die Entscheidung gilt für alle 27 Mitgliedstaaten der Europäischen Union sowie für Island, Norwegen und Liechtenstein.

Der Zulassungsantrag (NDA) für Sepiapterin wird derzeit ebenfalls von der US-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA) geprüft, wobei der 29. Juli 2025 als Zieldatum für die Entscheidung im Rahmen des Prescription Drug User Fee Act (PDUFA) gilt. Ebenfalls erfolgt die Prüfung von Zulassungsanträgen in mehreren weiteren Ländern, darunter Japan und Brasilien.

Über Sephience™ (Sepiapterin)

Sephience, eine orale Formulierung von synthetischem Sepiapterin, hat einen dualen Wirkmechanismus zur Steigerung der Aktivität des Enzyms Phenylalaninhydroxylase (PAH). Zum einen ist Sephience eine Vorläuferverbindung, die rasch absorbiert und intrazellulär in Tetrahydrobiopterin (BH4), einen entscheidenden Kofaktor der PAH, umgewandelt wird. Zum anderen hat Sephience auch einen unabhängigen pharmakologischen Chaperoneffekt, der die PAH-Fehlfaltung korrigiert und so die Funktion des Enzyms verbessert. Durch diesen dualen Wirkmechanismus senkt Sephience wirksam den Phenylalanin (Phe)-Spiegel im Blut und hat das Potenzial für die Behandlung eines breiten Spektrums von PKU-Patienten.

Über Phenylketonurie

Phenylketonurie (PKU) ist eine seltene, vererbte Stoffwechselerkrankung, die das Gehirn betrifft. Sie wird durch einen Gendefekt verursacht, der zur Bildung des Enzyms beiträgt, das zum Abbau von Phenylalanin (Phe) benötigt wird. Bleibt die Krankheit unbehandelt oder wird sie unzureichend behandelt, kann sich Phe – eine essenzielle Aminosäure, die in allen Proteinen und den meisten Nahrungsmitteln enthalten ist – im Körper in schädlichen Mengen anreichern. Dies führt zu schweren und irreversiblen Behinderungen, wie dauerhafter geistiger Behinderung, Krampfanfällen, Entwicklungsverzögerungen, Gedächtnisverlust sowie Verhaltens- und emotionalen Problemen. Symptome bei Neugeborenen mit PKU nimmt man zunächst nicht wahr, aber die Symptome sind in der Regel fortschreitend, und die durch toxische Phe-Konzentrationen in den ersten Lebensjahren verursachten Schäden sind irreversibel. Die Diagnose von PKU wird in der Regel im Rahmen von Neugeborenen-Screening-Programmen gestellt. Weltweit leben schätzungsweise 58.000 Menschen mit PKU.

Über PTC Therapeutics

PTC ist ein globales biopharmazeutisches Unternehmen, das Medikamente erforscht, entwickelt und vermarktet, die Kindern und Erwachsenen mit seltenen Erkrankungen zugutekommen. Die Fähigkeit von PTC, neue Therapien zu entwickeln und Produkte weltweit zu vermarkten, ist die Grundlage für Investitionen in eine robuste und breit gefächerte Pipeline innovativer Medikamente. Um mehr über PTC zu erfahren, besuchen Sie uns bitte unter www.ptcbio.de. Die deutsche Niederlassung von PTC Therapeutics hat ihren Sitz in Frankfurt am Main.

Quelle

PTC Therapeutics - WARREN, N.J., April 25, 2025

[+++ MEDIZIN-TELEGRAMM +++](#)