

Sephience™ (Sepiapterin) erhält Marktzulassung von der Europäischen Kommission für die Behandlung von Kindern und Erwachsenen mit Phenylketonurie (PKU)

Breite Indikation, die alle Altersgruppen und Schweregrade einschließt

Einführung soll in Deutschland gestartet werden

3. Juli 2025 - PTC Therapeutics, Inc. gab am 23.06.2025 bekannt, dass Sephience™ (Sepiapterin) von der Europäischen Kommission die Zulassung für die Behandlung von Hyperphenylalaninämie (HPA) bei erwachsenen und pädiatrischen Patienten mit Phenylketonurie (PKU) erhalten hat. Die Zulassung umfasst eine breite Indikation, die alle Altersgruppen und Schweregrade einschließt.

„Die europäische Zulassung von Sephience™ ist ein großer Schritt in unseren Bemühungen, diese gut verträgliche und hochwirksame Therapie Kindern und Erwachsenen, die von PKU betroffen sind, weltweit zur Verfügung zu stellen“, sagte Dr. Matthew B. Klein, Chief Executive Officer von PTC Therapeutics. „Die breite Indikation zeigt das Potenzial von Sephience™, alle wichtigen PKU-Patientensegmente abzudecken und hat so das Potential zum neuen Standard in der Versorgung zu werden.“

Die europäische Zulassung basiert auf den hoch signifikanten Ergebnissen der Phase-3-APHENITY-Studie und zudem auf den Daten zum anhaltenden Behandlungseffekt und der Verträglichkeit sowie der Möglichkeit der Studienteilnehmer, ihre Ernährung in der APHENITY-Langzeitverlängerungsstudie zu liberalisieren.

Die Marktzulassung gilt für alle 27 Mitgliedstaaten der Europäischen Union sowie Island, Norwegen und Liechtenstein. Die europäische Markteinführung von Sephience™ wird im Juli in Deutschland eingeleitet. Eine New Drug Application (NDA) für Sepiapterin ist im Zeitplan für das FDA-Zieldatum am 29. Juli 2025. Die Überprüfung von Zulassungsanträgen läuft in mehreren anderen Ländern, darunter Japan und Brasilien.

Über Sephience™ (Sepiapterin)

Sephience™ (Sepiapterin) ist zugelassen für die Behandlung von Hyperphenylalaninämie (HPA) bei erwachsenen und pädiatrischen Patienten mit Phenylketonurie (PKU). Sephience™ ist ein natürlicher Vorläufer des enzymatischen Co-Faktors BH4, ein kritischer Co-Faktor der Phenylalaninhydroxylase (PAH). Sephience™ wirkt als duales pharmakologisches Chaperon (Sepiapterin und BH4 haben jeweils eine eigene Bindungsaffinität zu PAH-Varianten), und so auch auf PAH-Varianten, die häufig bei PKU vorkommen und als unempfindlich gegenüber BH4 bekannt sind. Es verbessert die Aktivität des defekten PAH-Enzyms durch eine hohe intrazelluläre Konzentration von BH4. Durch die Verbesserung der Stabilität des fehlgefalteten PAH-Enzyms und die Erhöhung der intrazellulären Konzentrationen von BH4 kann Sephience™ die Blut-Phe-Spiegel effektiv senken. Sephience™ (Sepiapterin) ist im Europäischen Wirtschaftsraum zugelassen.

Über Phenylketonurie

Phenylketonurie (PKU) ist eine seltene, erbliche Stoffwechselerkrankung, die das Gehirn betrifft. Sie wird durch einen Defekt im Gen verursacht, das hilft, das Enzym zu erzeugen, das benötigt wird, um Phenylalanin (Phe) abzubauen. Wenn sie unbehandelt oder ungenügend kontrolliert bleibt, kann sich Phe – eine essenzielle Aminosäure, die in allen Proteinen und den meisten Lebensmitteln vorkommt – in schädlichen Mengen im Körper ansammeln. Dies verursacht schwere und irreversible Behinderungen, wie permanente geistige Behinderung, Anfälle, verzögerte Entwicklung, Gedächtnisverlust sowie Verhaltens- und emotionale Probleme. Neugeborene mit PKU haben zunächst keine sichtbaren Symptome, aber die Symptome sind in der Regel fortschreitend, und die durch toxische Phe-Werte in den ersten Lebensjahren verursachten Schäden sind irreversibel. Die Diagnose von PKU erfolgt in der Regel während des Neugeborenen Screenings. Es wird geschätzt, dass weltweit etwa 58.000 Menschen mit PKU leben.

Quelle

PTC Therapeutics, Inc. - WARREN, N.J., 23. Juni 2025