

DAYBU® (Trofinetide) vom CHMP für die Zulassung in der Europäischen Union empfohlen

– Die Entscheidung der Europäischen Kommission wird in den kommenden Monaten erwartet.

– Im Falle einer Zulassung wird DAYBU® die erste Behandlung von neurobehavioralen Symptomen des Rett-Syndroms in der Europäischen Union sein.

SAN DIEGO--([BUSINESS WIRE](#))--Acadia Pharmaceuticals Inc. (Nasdaq: ACAD) gab heute bekannt, dass der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) nach Abschluss eines Wiederprüfungsverfahrens eine positive Stellungnahme abgegeben hat, in der eine Marktzulassung von DAYBU® (Trofinetide) zur Behandlung neurobehavioraler Symptome des Rett-Syndroms bei Erwachsenen sowie bei pädiatrischen Patientinnen und Patienten ab einem Alter von fünf Jahren empfohlen wird. Im Falle einer Zulassung durch die Europäische Kommission wäre DAYBU® die erste in der Europäischen Union zugelassene Therapie für diese Indikation.

„Die positive Stellungnahme des CHMP hinsichtlich DAYBU® ist ein wichtiger Meilenstein auf unserem Weg, diese innovative Therapie in die Europäische Union zu bringen, wo es bislang keine speziell für die neurobehavioralen Symptome dieser schwerwiegenden Erkrankung zugelassenen Therapien gibt“, sagte Catherine Owen Adams, Chief Executive Officer von Acadia. „Wir setzen uns dafür ein, das Leben von Patientinnen und Patienten, Betreuungspersonen und der gesamten Rett-Gemeinschaft spürbar zu verbessern, indem wir diesen erheblichen ungedeckten Bedarf adressieren. Wir sind sehr erfreut über das Ergebnis des Wiederprüfungsverfahrens.“

Die Empfehlung des CHMP stützt sich primär auf die Ergebnisse der Phase-III-Studie LAVENDER™, die statistisch signifikante und klinisch relevante Verbesserungen bei den Leitsymptomen des Rett-Syndroms, gemessen anhand des „Rett Syndrome Behaviour Questionnaire“ (RSBQ) und der „Clinical Global Impression–Improvement“-Skala (CGI-I), nachgewiesen hat. Wichtig ist, dass diese Ergebnisse darauf hindeuten, dass durch die Behandlung einige der belastendsten Aspekte des Rett-Syndroms angegangen werden können, die die Lebensqualität der Patientinnen und Patienten sowie ihrer Betreuungspersonen erheblich beeinträchtigen.

„Seit Jahrzehnten steht Familien in Europa, die vom Rett-Syndrom betroffen sind, kein Arzneimittel zur Verfügung, das speziell für die Behandlung der neurobehavioralen Symptome dieser Erkrankung zugelassen ist – trotz der tiefgreifenden Auswirkungen dieser Symptome auf nahezu alle Bereiche des täglichen Lebens“, sagte Pedro Rocha, Präsident von Rett Syndrome Europe. „Die positive Stellungnahme des CHMP bedeutet Hoffnung für Tausende von Menschen in der Europäischen Union, die mit dieser verheerenden Erkrankung leben, ebenso wie für ihre Familien und Betreuungspersonen.“

Nach der Empfehlung des CHMP wird die Europäische Kommission die Stellungnahme prüfen und voraussichtlich in den kommenden Monaten eine endgültige Entscheidung treffen. Eine etwaige Zulassung von DAYBU® würde für alle 27 EU-Mitgliedstaaten sowie für Island, Lichtenstein und Norwegen gelten.

Über das Rett-Syndrom

Das Rett-Syndrom ist eine seltene und komplexe neurologische Entwicklungsstörung, die weltweit bei etwa einem von 10.000 bis 15.000 weiblichen Neugeborenen auftritt.^{1–3} Ein Kind mit Rett-Syndrom zeigt in der Regel zunächst eine Phase normal wirkender Entwicklung bis zum Alter von sechs bis 18 Monaten; danach scheinen viele seiner erlernten Fähigkeiten zu stagnieren oder sich zu reduzieren. Darauf folgt in der Regel eine Regressionsphase, in der das Kind seine erworbenen Kommunikationsfähigkeiten und die zielgerichtete Handfunktion wieder verliert. Das Kind durchläuft dann möglicherweise eine Stabilisierungsphase, in der sich zwar eine leichte Erholung der kognitiven Interessen abzeichnet, die Körperbewegungen jedoch weiterhin stark eingeschränkt bleiben. Mit zunehmendem Alter kann es bei Menschen mit Rett-Syndrom zu fortschreitender Verschlechterung der motorischen Fähigkeiten kommen, die den Rest ihres Lebens andauern kann.² Das Rett-Syndrom wird in der Regel durch eine Mutation im *MECP2*-Gen verursacht.⁴ In präklinischen Studien wird angenommen, dass eine Störung der MeCP2-Funktion zu Beeinträchtigung der synaptischen Kommunikation und Neuroplastizität führt und die Defizite in der synaptischen Funktion mit den Symptomen des Rett-Syndroms in Zusammenhang stehen können.^{4–6}

Zu den Merkmalen des Rett-Syndroms können auch die Entwicklung von stereotypen Handbewegungen, wie z.B. Reiben der Hände und Klatschen, sowie Gangstörungen gehören.⁷ Die meisten Menschen mit Rett-Syndrom erreichen das Erwachsenenalter und benötigen intensive Betreuung rund um die Uhr.^{1,8}

Über DAYBU®

DAYBU® (Trofinetide) ist ein synthetisches Analogon des N-terminalen Tripeptids des insulinähnlichen Wachstumsfaktors 1 (Insulin-like Growth Factor 1).

Über Acadia Pharmaceuticals

Acadia hat es sich zur Aufgabe gemacht, wissenschaftliches Potenzial in sinnvolle Innovationen umzusetzen, die für unterversorgte Gemeinschaften von Betroffenen mit neurologischen Krankheitsbildern und seltenen Erkrankungen weltweit einen entscheidenden Unterschied machen. Unser Produktportfolio umfasst die ersten und einzigen von der FDA zugelassenen Behandlungen für Parkinson-Psychosen und das Rett-Syndrom. Wir entwickeln die nächste Generation therapeutischer Fortschritte mit einer soliden und vielfältigen Pipeline, die Programme im mittleren bis späten Entwicklungsstadium zur Behandlung von Psychosen bei Alzheimer-Patienten und bei Lewy-Körper-Demenz umfasst, sowie Programme in früheren Entwicklungsstadien, die auf andere, bislang unzureichend adressierte Bedürfnisse von Patientinnen und Patienten ausgerichtet sind. Bei Acadia setzen wir uns dafür ein, für die Betroffenen einen Unterschied zu machen. Weitere Informationen finden Sie unter [acadia.com](https://www.acadia.com). Folgen Sie uns auf [LinkedIn](#) sowie [X](#).

Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Medienmitteilung enthält zukunftsgerichtete Aussagen im Sinne des Private Securities Litigation Reform Act von 1995. Zukunftsgerichtete Aussagen umfassen alle Aussagen, die keine historischen Tatsachen darstellen, und können durch Begriffe wie „kann“, „wird“, „sollte“, „könnte“, „würde“, „beabsichtigt“, „erwartet“, „plant“, „antizipiert“, „glaubt“, „schätzt“, „prognostiziert“, „Potenzial“, „Ausblick“, „fortsetzen“ sowie ähnliche Ausdrücke (einschließlich deren Verneinung) identifiziert werden, die dazu bestimmt sind, zukunftsgerichtete Aussagen kenntlich zu machen.

Zu den in dieser Medienmitteilung enthaltenen zukunftsgerichteten Aussagen gehören unter anderem Aussagen über die erwartete oder mögliche Zulassung von Trofinetide bzw. DAYBU® durch die Europäische Kommission, einschließlich des möglichen Zeitpunkts einer solchen Zulassung, sowie – im Falle einer Zulassung – über den potenziellen Nutzen von Trofinetide zur Behandlung der neurobehavioralen Symptome des Rett-Syndroms und die Bedeutung von Trofinetide für Patientinnen und Patienten, Betreuungspersonen und die Rett-Gemeinschaft.

Zukunftsgerichtete Aussagen unterliegen bekannten und unbekannten Risiken, Unsicherheiten, Annahmen und anderen Faktoren, die dazu führen können, dass unsere tatsächlichen Ergebnisse, Leistungen oder Erfolge wesentlich und nachteilig von den in unseren zukunftsgerichteten Aussagen ausdrücklich oder implizit dargestellten Erwartungen abweichen. Zu diesen Risiken, Unsicherheiten und anderen Faktoren gehören unter anderem die inhärente Unsicherheit bei der Entwicklung von Produktkandidaten, einschließlich der Zulassung von Trofinetide durch die Europäische Kommission; unsere Abhängigkeit von der weiterhin erfolgreichen Vermarktung unserer Produkte und unsere Fähigkeit, den Absatz unserer Produkte aufrechtzuerhalten oder zu steigern; unsere Fähigkeit, die erforderlichen behördlichen Zulassungen für die Vermarktung unserer Produkte und Produktkandidaten zu erhalten; sowie – sofern und sobald eine Zulassung erteilt wird – die Marktakzeptanz unserer Produkte und unsere Fähigkeit, weiterhin die geltenden Gesetze und Vorschriften einzuhalten.

Angesichts dieser Risiken und Unsicherheiten sollten Sie sich nicht in unangemessener Weise auf diese zukunftsgerichteten Aussagen verlassen. Eine Erörterung dieser und weiterer Risiken, Unsicherheiten und anderer Faktoren, die dazu führen können, dass unsere tatsächlichen Ergebnisse, Leistungen oder Erfolge abweichen, finden Sie in unserem Quartalsbericht auf Formblatt 10-Q für den am 31. März 2026 endenden Berichtszeitraum, der am 7. Mai 2026 eingereicht wurde, sowie in unseren späteren Einreichungen bei der U.S. Securities and Exchange Commission.

Die hierin enthaltenen zukunftsgerichteten Aussagen beziehen sich ausschließlich auf den Zeitpunkt ihrer Veröffentlichung. Wir übernehmen keine Verpflichtung, diese Aussagen nach diesem Datum zu aktualisieren, sofern dies nicht gesetzlich vorgeschrieben ist.

Literaturangaben

¹ Fu C, Armstrong D, Marsh E, et al. Consensus guidelines on managing Rett syndrome across the lifespan. *BMJ Paediatrics Open*. 2020;4:e000717.

² Kyle SM, Vashi N, Justice MJ. Rett syndrome: a neurological disorder with metabolic components. *Open Biol*. 2018; 8:170216.

³ May DM, Neul JL, Satija A, et al. Real-world clinical management of individuals with Rett syndrome: a physician survey. *J Med Econ*. 2023;26(1):1570–1580.

⁴ Amir RE, Van den Veyver IB, Wan M, et al. Rett syndrome is caused by mutations in X-linked MECP2, encoding methyl-CpG-binding protein 2. *Nat Genet*. 1999; 23(2):185-188.

⁵ Fukuda T, Itoh M, Ichikawa T, et al. Delayed maturation of neuronal architecture and synaptogenesis in cerebral cortex of Mecp2-deficient mice. *J Neuropathol Exp Neurol*. 2005; 64(6):537-544.

⁶ Asaka Y, Jugloff DG, Zhang L, et al. Hippocampal synaptic plasticity is impaired in the Mecp2-null mouse model of Rett syndrome. *Neurobiol Dis*. 2006; 21(1):217-227.

⁷ Neul JL, Kaufmann WE, Glaze DG, et al. Rett syndrome: revised diagnostic criteria and nomenclature. *Ann Neurol*. 2010; 68(6):944-950.

⁸ Tarquinio DO, Hou W, Neul JL, et al. The changing face of survival in Rett syndrome and MECP2-related disorders. *Pediatr Neurol*. 2015; 53(5):402-411.

Contacts

Ansprechpartner für Investoren:

Acadia Pharmaceuticals Inc.
Al Kildani
+1 (858) 261-2872
ir@acadia-pharm.com

Acadia Pharmaceuticals Inc.
Jessica Tieszen
+1 (858) 261-2950
ir@acadia-pharm.com

Ansprechpartner für Medien:
Acadia Pharmaceuticals Inc.
Deb Kazenelson
+1 (818) 395-3043
media@acadia-pharm.com

Source: Acadia Pharmaceuticals Inc.