

IntraBio Inc.: IntraBio erhält Zulassung der Europäischen Kommission für AQNEURSA zur Behandlung der Niemann-Pick-Krankheit Typ C

IntraBio Inc. gab heute bekannt, dass die Europäische Kommission die Marktzulassung für AQNEURSA(Levacetylleucin) zur Behandlung neurologischer Symptome der Niemann-Pick-Krankheit Typ C (NPC) erteilt hat. Die Zulassung folgt auf eine positive Stellungnahme des Ausschusses für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA).

AQNEURSA ist in der Europäischen Union zur Behandlung von Erwachsenen und Kindern ab 6 Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 20 kg zugelassen. Die zugelassene Indikation umfasst die Verwendung in Kombination mit Miglustat oder als Monotherapie, sofern eine Unverträglichkeit gegenüber Miglustat besteht.

"Diese Zulassung ist ein wichtiger Meilenstein für die NPC-Gemeinschaft in Europa", sagte Mallory Factor, Chief Executive Officer von IntraBio. "Wir danken der EMA und der Europäischen Kommission für ihre gründliche Prüfung und die Anerkennung des klinischen Nutzens von AQNEURSA. Diese Entscheidung folgt auf jahrelange bahnbrechende wissenschaftliche Arbeit und Kooperation mit Medizinern und Patientenorganisationen. Und sie ist ein wichtiger Schritt in Richtung des besseren Zugangs zu dieser Therapie für Menschen, die von NPC betroffen sind."

Die Zulassung basiert auf Ergebnissen einer randomisierten, doppelt verblindeten, placebokontrollierten, gekreuzten Phase-III-Studie an Patienten mit NPC. In der Studie zeigte die Behandlung mit AQNEURSA verglichen mit einem Placebo und entsprechend der Scale for the Assessment and Rating of Ataxia (SARA) eine statistisch signifikante und klinisch relevante Verbesserung der neurologischen Symptome und Funktion nach 12 Behandlungswochen.¹

In der laufenden offenen Verlängerungsphase der Studie wurden die Verbesserungen, die während der anfänglichen 12-wöchigen Studie beobachtet wurden, aufrechterhalten,^{2,3} was die neuroprotektive, krankheitsverändernde Wirkung im zeitlichen Verlauf zeigt. Beobachtende Vergleiche mit einer Verlaufskontrollkohorte zeigen, dass die Behandlung mit AQNEURSA mit einem 118-prozentigen Rückgang der jährlichen Krankheitsprogression nach einem Jahr zusammenhängt, gemessen anhand der 5 Domänen umfassenden NPC Clinical Severity Scale (NPC-CSS), mit einem ähnlichen Rückgang nach zwei Jahren.^{2,3}

Professor Kyriakos Martakis, außerordentlicher Professor für Pädiatrie an der Justus Liebig Universität Gießen und ein leitender Forscher der Studie, sagte: "Die Niemann-Pick-Krankheit Typ C ist eine seltene, unaufhaltsam fortschreitende neurologische Erkrankung, die eine große Belastung für die Patienten und ihre Familien darstellt. Die Verfügbarkeit einer zugelassenen Behandlung für die neurologischen Symptome von NPC ist eine wichtige Entwicklung für Mediziner, aber vor allem für Menschen in ganz Europa, die von dieser Krankheit betroffen sind."

AQNEURSA ist als 1 g Granulat zur Herstellung einer Suspension zum Einnehmen erhältlich. Der Wirkstoff, Levacetylleucin, ist eine modifizierte Aminosäure, die an alle Gewebe, einschließlich des zentralen Nervensystems, abgegeben wird und metabolische Störungen korrigieren, die zelluläre Energieproduktion verbessern und auf die zugrundeliegenden Prozesse der neurologischen Störung abzielen soll.^{1,4}

Detaillierte Empfehlungen für die Verwendung von AQNEURSA finden Sie in der Zusammenfassung der Arzneimittelmerkmale, die auf der Website der EMA in allen offiziellen Sprachen der Europäischen Union abrufbar ist.

AQNEURSA wurde während seiner Entwicklung als Arzneimittel für seltene Leiden ausgewiesen.

AQNEURSA (Levacetylleucin) ist in den Vereinigten Staaten zugelassen und für die Behandlung neurologischer Symptome der Niemann-Pick-Krankheit Typ C (NPC) bei Erwachsenen und pädiatrischen Patienten mit einem Körpergewicht von 15 kg indiziert, und in der Europäischen Union für die Behandlung neurologischer Symptome der Niemann-Pick-Krankheit Typ C bei Erwachsenen und Kindern ab 6 Jahren mit einem Körpergewicht von mindestens 20 kg, entweder in Kombination mit Miglustat oder als Monotherapie, sofern eine Unverträglichkeit gegenüber Miglustat besteht.^{5,6} Die am häufigsten gemeldete Nebenwirkung von AQNEURSA war Flatulenz.

Über die Niemann-Pick-Krankheit Typ C

Die Niemann-Pick-Krankheit Typ C (NPC) ist eine seltene (1:100.000 Lebendgeburten), frühzeitig tödlich verlaufende, autosomal-rezessive lysosomale Speicherkrankheit.⁷ Die Krankheit äußert sich durch systemische, psychiatrische und neurologische Symptome, darunter zerebelläre Ataxie. NPC ist chronisch und progressiv und zeichnet sich durch eine rasche Degeneration des Kleinhirns und wichtiger Organsysteme aus, was die Lebensqualität stark beeinträchtigt.⁸⁻¹⁰

Über IntraBio

IntraBio Inc. ist ein globales biopharmazeutisches Unternehmen, das zielgerichtete Therapien für seltene und häufige neurologische Krankheiten, neurologische Entwicklungsstörungen und mitochondriale Erkrankungen entwickelt und vermarktet. Die Plattformtechnologien von IntraBio sind das Ergebnis jahrzehntelanger Forschung und Zusammenarbeit mit Universitäten und Institutionen weltweit und nutzen das Fachwissen der wissenschaftlichen Gründer der Universität Oxford und der Universität München.

Heute verkündete IntraBio zudem gesondert die Ergebnisse einer randomisierten, doppelt verblindeten, placebokontrollierten, gekreuzten Phase-III-Studie an Patienten mit Ataxia-Telangiectasia (A-T), einer neurodegenerativen Krankheit ohne zugelassene Behandlung, die etwa 1 von 70.000 Menschen betrifft. Angesichts dieser Ergebnisse plant IntraBio die umgehende Einreichung der Zulassungsanträge bei der US Food and

Drug Administration (FDA) und der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) sowie weiteren globalen Regulierungsbehörden.

Weitere Informationen über IntraBio finden Sie auf der Website des Unternehmens unter intrabio.com und auf LinkedIn (@IntraBio-Inc).

WICHTIGE SICHERHEITSHINWEISE FÜR DIE USA

Embryo-fötale Toxizität

- Basierend auf den Ergebnissen von Reproduktionsstudien an Tieren kann AQNEURSA bei Verabreichung während der Schwangerschaft zu Embryo-Fötus-Schäden führen. Die Entscheidung über die Fortsetzung oder den Abbruch der Behandlung mit AQNEURSA während der Schwangerschaft sollte unter Berücksichtigung des Bedarfs der Frau an AQNEURSA, der potenziellen Risiken des Arzneimittels für den Fötus und der potenziellen nachteiligen Folgen einer unbehandelten Erkrankung der Mutter getroffen werden.

Schwangerschaft und Stillzeit

- Bei Frauen im gebärfähigen Alter ist vor Beginn der Behandlung mit AQNEURSA sicherzustellen, dass sie nicht schwanger sind. Frauen im gebärfähigen Alter sollten während der Behandlung mit AQNEURSA und für 7 Tage nach der letzten Dosis, wenn AQNEURSA abgesetzt wird, eine wirksame Verhütungsmethode anwenden.
- Es liegen keine Daten über das Vorhandensein von Levacetylleucin oder seinen Metaboliten in der Muttermilch oder in Tiermilch, über die Auswirkungen auf gestillte Säuglinge oder über die Auswirkungen auf die Milchproduktion vor. Die Vorteile des Stillens für die Entwicklung und Gesundheit sollten zusammen mit dem klinischen Bedarf der Mutter an AQNEURSA und den möglichen nachteiligen Auswirkungen von Levacetylleucin oder der Grunderkrankung der Mutter auf den gestillten Säugling berücksichtigt werden.

Nebenwirkungen

- Die häufigsten Nebenwirkungen (Häufigkeit 5 und höher als unter Placebo) sind Bauchschmerzen, Dysphagie, Infektionen der oberen Atemwege und Erbrechen.

Wechselwirkungen

- Die gleichzeitige Anwendung von AQNEURSA mit *N-Acetyl-DL-Leucin* oder *N-Acetyl-D-Leucin* ist zu vermeiden. Das D-Enantiomer N-Acetyl-D-Leucin konkurriert mit Levacetylleucin um die Aufnahme durch den Monocarboxylattransporter, was die Wirksamkeit von Levacetylleucin verringern kann.

- Bei gleichzeitiger Anwendung mit AQNEURSA sollte häufiger auf Nebenwirkungen im Zusammenhang mit P-gp-Substraten überwacht werden; AQNEURSA hemmt P-gp; die klinische Bedeutung dieses Befundes ist jedoch noch nicht vollständig geklärt.

Um VERMUTETE NEBENWIRKUNGEN zu melden, wenden Sie sich bitte an IntraBio Inc. unter 1-833-306-9677 oder an die FDA unter 1-800-FDA-1088 oder www.fda.gov/medwatch.

Bitte klicken Sie hier für die vollständigen Verschreibungsinformationen für AQNEURSA:<https://www.aqneursahcp.com/wp-content/prescribing-information.pdf>

Referenzen

1. Bremova-Ertl T, et al. N Engl J Med. 2024;390:421-431
2. Patterson, Marc C., et al. "Disease-modifying, neuroprotective effect of N-acetyl-L-leucine in adult and pediatric patients with Niemann-Pick disease type C." *Neurology* 105.1 (2025): e213589.
3. Strupp M, Patterson M, Raymond J, et al. Long-term 24-month findings of N-acetyl-L-leucine for Niemann Pick disease type C. Vorgestellt beim 11. jährlichen Kongress der Europäischen Akademie für Neurologie 2025; 21.-24. Juni 2025; Helsinki, Finnland.
4. Churchill GC, et al. *Nature* 2021;11:15812;2
5. AQNEURSA. Prescribing Information. IntraBio Inc
6. AQNEURSA. EU Summary of Product Characteristics (SmPC). IntraBio Ireland Limited.
7. Burton BK, Ellis AG, Orr B, et al. Estimating the prevalence of Niemann-Pick disease type C (NPC) in the United States. *Mol Genet Metab.* 2021;134:182-187. doi:10.1016/j.ymgme.2021.06.011
8. Geberhiwot T, et al. *Orphanet J of Rare Dis.* 2018;13:50
9. Patterson MC, et al. *Orphanet J Rare Dis.* 2013;8:12; 3. NORD. NPC Signs Symptoms. Veröffentlicht am 12. Dezember 2023. Abgerufen am 19. Mai 2024.
10. Vanier MT. *Orphanet J Rare Dis.* 2010;5:16.

Die Ausgangssprache, in der der Originaltext veröffentlicht wird, ist die offizielle und autorisierte Version. Übersetzungen werden zur besseren Verständigung mitgeliefert. Nur die Sprachversion, die im Original veröffentlicht wurde, ist rechtsgültig. Gleichen Sie deshalb Übersetzungen mit der originalen Sprachversion der Veröffentlichung ab.

Originalversion auf [businesswire.com](https://www.businesswire.com)

ansehen: <https://www.businesswire.com/news/home/20260121741127/de/>

Contacts:

Weitere Informationen:

Cass Fields

Vice-President of External Affairs

ccfields@intrabio.com

www.intrabio.com

© 2026 Business Wire