

Die DIG PKU informiert



14. April 2017:

Ein neuer Therapieansatz für Hyperphenylalaninämie und Phenylketonurie?

In den letzten Tagen hat eine Online-Publikation über eine neue von der dänischen Biotech-Firma MipSalus entwickelte Methode zur Behandlung der PKU zu bemerkenswerten Diskussionen in einigen sozialen Netzwerken geführt. Auf www.genefo.com wurde behauptet, dass die Therapie in Europa bereits zugelassen sei und auf die Zulassung für die Vereinigten Staaten warte. Die ESPKU hat den geschäftsführenden Vorstand von MipSalus, Nikolas Krogh, kontaktiert. Nach seiner Aussage wurde diese Behauptung ungenehmigt veröffentlicht und ist falsch. Der Artikel wurde inzwischen berichtigt und die falsche Behauptung entfernt.

Am 18. November 2016 hat die EU-Kommission eine neue Behandlung für Hyperphenylalaninämie als Arzneimittel für seltene Leiden registriert (EU/3/16/1784). Das Mittel besteht aus Partikeln einer Plastik-ähnlichen Substanz (ein Polymer), die vom Körper nicht verdaut oder aufgenommen werden. Das Polymer wurde so gestaltet, dass es sich während der Verdauung normaler Lebensmittel selektiv an das Phenylalanin bindet und so dessen Aufnahme in den Blutkreislauf verhindert. Das Medikament und das daran gebundene Phenylalanin sollen den Körper beim Stuhlgang verlassen. So soll auch bei einer normalen Ernährung ein Anstieg des Phenylalanin-Spiegels verhindert werden.

Zum Zeitpunkt der Beantragung der Anerkennung als Arzneimittel für seltene Leiden war die Bewertung der Wirkung des Medikaments noch nicht abgeschlossen. Es wurden noch keine klinischen Studien an HPA- oder PKU-Patienten begonnen. Die Entwickler erwarten, dass die neue Behandlungsmethode in den nächsten 2 Jahren zur klinischen Erprobung kommen wird, und gehen wegen der besonderen Wirkungsweise und der erwarteten schnellen Behandlungsansprache von einem relativ kurzen klinischen Programm aus.

Auch unser wissenschaftlicher Beirat Prof. Dr. med. Peter Christian Clemens weist auf die Bedeutung dieser klinischen Studien hin. So müssen u.a. ungewollte Nebenwirkungen z.B. auf den Mikronährstoff-Haushalt ausgeschlossen und Fragen der Beständigkeit der Wirkung (zur Vermeidung von stark schwankenden Phenylalanin-Werten) beantwortet werden. Bis zum Abschluss dieser Versuche rät er von der Einnahme des Produktes außerhalb der medizinisch überwachten klinischen Studien ab.

Haftungsausschluss: Trotz sorgfältiger Recherche übernimmt die DIG PKU keine Haftung für die Vollständigkeit und inhaltliche Richtigkeit dieser Veröffentlichung.