

TREPaed AOP

Trial to evaluate safety of treprostinil in children below 18 years diagnosed with PAH

Programm / Ausschreibung	Life Sciences, Life Sciences, Life Science Ausschreibung 2023	Status	laufend
Projektstart	28.02.2024	Projektende	27.02.2026
Zeitraum	2024 - 2026	Projektlaufzeit	25 Monate
Projektförderung	€ 503.619		
Keywords	PAH; pädiatrisch; klinische Studie		

Projektbeschreibung

AOP Health hat eine konservierungsmittelfreie Treprostinil-Formulierung entwickelt, die in einem Einwegfläschchen bereitgestellt wird. Der Wirkstoff und die Hilfsstoffe, die in der neuen Formulierung verwendet werden, sind identisch mit denen der derzeit kommerziell erhältlichen Treprostinil-Formulierungen. Daher wird nicht erwartet, dass die Entfernung vom Konservierungsmittel Metakresol die Wirksamkeit von Treprostinil bei Kindern beeinträchtigt. Daten, die für die Verwendung anderer Treprostinil-Formulierungen berichtet wurden, werden als akzeptabel angesehen, um die Wirksamkeit von Treprostinil bei der Behandlung von PAH in der pulmonalen Hypertonie (PH) Gruppe 1 bei Kindern nachzuweisen. Da jedoch die Entfernung des Konservierungsmittels die sichere Anwendung der parenteralen Infusionslösung beeinträchtigen könnte, wird das Sicherheitsprofil der neu entwickelten konservierungsmittelfreien Treprostinil-Formulierung in einer klinischen Prüfung untersucht. Ziel ist es mindestens 20 Patient*innen von der Geburt bis unter 18 Jahren einzuschließen, die 20 Wochen lang mit dem Prüfmedikament behandelt werden. Die klinische Prüfung wird an etwa 5 Prüfzentren in Europa durchgeführt, darunter mindestens ein Prüfzentrum in Österreich. Die Patienten werden bis zur Marktzulassung in der klinischen Prüfung weiterbeobachtet. Die Marktzulassung wird für Ende 2027 erwartet und somit ist das geplante Studienende in Q2/2028 geplant.

Endberichtkurzfassung

The TREPaed project evaluates the safety and tolerability of a preservative-free treprostinil formulation in children below 18 years of age diagnosed with pulmonary arterial hypertension (PAH). The project addresses a high unmet medical need in a very rare and vulnerable paediatric population and supports future paediatric regulatory activities, including PUMA-related submission activities.

During the funded project period, the clinical trial was successfully initiated and substantially advanced. The TREPaed study was expanded to 7 sites across 6 countries. By the end of the approved reporting period on 27 February 2026, 14 of 20 planned patients had been enrolled, corresponding to 70% of the total recruitment target. Subsequent recruitment progress continued strongly, with 18 of 20 patients enrolled by the end of April 2026, corresponding to 90% of the total recruitment

target. This updated status reflects the current project progress at the time of final report preparation.

By the end of April 2026, approximately half of the enrolled patients had already entered the observational follow-up phase, and the first patient had been enrolled for approximately 21 months since 31 July 2024. This is particularly relevant for a safety and tolerability study, as the observational follow-up phase supports the characterisation of the longer-term safety profile in this vulnerable paediatric population.

Safety oversight was maintained throughout the project, and DSMB reviews identified no new safety concerns. Thus, the funded project phase established the clinical and operational basis for future PUMA-related activities and continued paediatric access to an appropriate treprostinil formulation.

Projektpartner

- AOP Orphan Pharmaceuticals GmbH