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
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.

Projektpartner

- AOP Orphan Pharmaceuticals GmbH