

PRESS RELEASE

MetrioPharm: MP1032 erhält EMA-Orphan-Drug-Status für Duchenne-Muskeldystrophie

- Europäische Arzneimittelagentur erkennt das Potenzial von Leitwirkstoff MP1032 für die Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) an
- Einstufung ebnet den Weg für eine sicherere Langzeittherapie
- MP1032 kann Muskelfunktionen erhalten und Entzündungen reduzieren, ohne normale Zellprozesse zu stören

Zürich, 29. Juli 2025 – MetrioPharm AG, ein pharmazeutisches Unternehmen, das Medikamente für entzündliche und infektiöse Erkrankungen entwickelt, gab heute bekannt, dass nach der US-amerikanischen FDA nun auch die Europäische Arzneimittelagentur (EMA) seinem Leitwirkstoff MP1032 eine Orphan Drug Designation (ODD) für die Behandlung von Kindern mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) zuerkannt hat. Dieser Meilenstein unterstreicht das Potenzial von MP1032 als erste Therapie seiner Klasse, die die Abhängigkeit von hochdosierten Kortikosteroiden minimieren könnte. Diese Arzneimittel verursachen schwere Nebenwirkungen wie Osteoporose, Wachstumsstörungen und Stoffwechselprobleme.

Die ODD der EMA bietet wichtige Anreize, darunter Unterstützung bei der Protokollierung durch die EMA, Gebührenbefreiungen und eine bis zu 12-jährige Marktexklusivität in der EU nach der Zulassung (verlängert um zwei Jahre aufgrund des pädiatrischen Schwerpunkts von DMD). Diese behördliche Validierung baut auf überzeugenden präklinischen Daten auf, die zeigen, dass MP1032 die Muskelfunktion erhalten und Entzündungen reduzieren kann, ohne normale Zellprozesse zu stören.

„Diese zweifache ODD durch FDA und EMA sowie die ebenfalls bereits erteilte Rare Pediatric Disease Designation durch die FDA sind für MetrioPharm und die DMD-Gemeinschaft ein Meilenstein“, sagte CEO Thomas Christély. „Der einzigartige Wirkmechanismus von MP1032 – die Modulation von mitochondrialen, reaktiven Sauerstoffspezies in überaktiven Immunzellen – könnte die langfristige Behandlung von DMD revolutionieren, indem die Kortikosteroid-Dosen und damit deren Nebenwirkungen drastisch reduziert werden. Wir entwickeln MP1032 jetzt in Richtung Phase-II-Studien, arbeiten mit Patientengruppen zusammen und suchen nach Partnerschaften, um dieses Medikament Kindern als sicherere Therapieoptionen zur Verfügung zu stellen. Über DMD hinaus hat der Ansatz unserer Plattform vielversprechende Ergebnisse bei Autoimmunerkrankungen und sogar Pandemien gezeigt, wie unsere von HERA finanzierte COVID-19-Phase-IIa-Studie belegt.“

###

Über MP1032

Der führende Wirkstoffkandidat MP1032 von MetrioPharm ist ein einzigartiges kleines Molekül, das auf Überreaktionen aktivierter Immunzellen abzielt, indem es einen zentralen, natürlichen Stoffwechselprozess in aktivierten Immunzellen beeinflusst. Die Mitochondrien dieser Zellen

reagieren auf die Aktivierung mit einer Steigerung ihres Energiestoffwechsels, was wiederum zur Bildung überhöhter Konzentration von reaktiver Sauerstoffspezies (ROS) führt. MP1032 ist das erste entzündungshemmende Medikament seiner Klasse, das überhöhte Konzentrationen von ROS reduziert, ohne die physiologischen ROS-Spiegel anderer Zellen zu beeinträchtigen, die für die normale Zellfunktion unerlässlich sind, was zu einem ausgezeichneten Sicherheitsprofil führt. Als Monotherapie erzielt MP1032 ähnliche therapeutische Wirkungen wie Kortikosteroide (Kortison-basierte Therapeutika), jedoch ohne schwerwiegende Nebenwirkungen. Im Gegensatz zu herkömmlichen Entzündungshemmern ahmt es die Vorteile von Kortikosteroiden als Monotherapie nach, vermeidet jedoch deren Toxizität, wie in präklinischen Modellen von DMD, Multipler Sklerose, Arthritis und anderen Erkrankungen gezeigt wurde. Aufgrund seiner wirtsgerichteten Natur eignet es sich auch für Infektionskrankheiten. Phase-IIa-Daten von 131 hospitalisierten COVID-19-Patienten (veröffentlicht in [The Lancet Regional Health – Europe](#)) bestätigen die Sicherheit und Wirksamkeit gegen virale Entzündungen – unabhängig vom Erreger.

Über DMD

DMD ist die häufigste Form der Muskeldystrophie. Es handelt sich um eine genetisch bedingte Erkrankung, die durch fortschreitenden Muskelschwund gekennzeichnet ist. Die Symptome treten in der frühen Kindheit auf, in der Regel im Alter zwischen zwei und drei Jahren. Die Krankheit betrifft vor allem Jungen und führt zu schwerem Muskelschwund und Herzversagen. DMD verkürzt die Lebenserwartung erheblich. Die derzeitige Standardtherapie besteht in einer jahrzehntelangen Behandlung mit hochdosierten Kortikosteroiden, die zwar schwerwiegende Nebenwirkungen haben, aber das Fortschreiten der Krankheit deutlich verlangsamen können.

Über MetrioPharm AG

MetrioPharm ist ein privates Biotech-Unternehmen mit Hauptsitz in Zürich, Schweiz, und einer Tochtergesellschaft in Berlin, Deutschland, das sich auf die Entwicklung von Therapien mit kleinen Molekülen für entzündliche, autoimmune und infektiöse Erkrankungen spezialisiert hat. Seine ROS-modulierende Plattform hat eine robuste Pipeline hervorgebracht, darunter krankheitsspezifische Kombinationen für Multiple Sklerose, Arthritis, Sepsis, entzündliche Darmerkrankungen, Psoriasis und seltene Indikationen wie DMD als Leitindikation.

Im Bereich Infektionskrankheiten treibt MetrioPharm die Pandemievorsorge auf der Grundlage seiner erfolgreichen COVID-19-Phase-IIa-Studie voran, die mit 7,9 Millionen Euro von der Europäischen Behörde für Gesundheitsnotfallvorsorge und -reaktion (HERA) finanziert wurde. Der wirtsgerichtete Mechanismus von MP1032 zielt auf Immunüberreaktionen statt auf bestimmte Viren ab und bietet damit ein schnell wirksames Mittel gegen neu auftretende Bedrohungen. Mit einem starken Sicherheitsprofil in präklinischen und klinischen Studien ist MetrioPharm gut aufgestellt für strategische Kooperationen und weitere Meilensteine.

Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Pressemitteilung enthält zukunftsgerichtete Aussagen, die Risiken und Unsicherheiten beinhalten und der Einschätzung der MetrioPharm AG zum Zeitpunkt der Veröffentlichung entsprechen. Solche zukunftsgerichteten Aussagen sind weder Versprechen noch Garantien, sondern unterliegen zahlreichen Risiken und Unsicherheiten. Es wird keine Haftung oder Gewährleistung übernommen und es werden keine Ansprüche geltend gemacht hinsichtlich der Aktualität, Richtigkeit oder Vollständigkeit dieser Daten und Informationen, und es sollte weder ausdrücklich noch stillschweigend auf diese Daten und Informationen verlassen werden.

Kontakte

MetrioPharm

Unternehmenskommunikation & Pressearbeit

E presse@metriopharm.com

W www.metriopharm.com

akampion

Dr. Ludger Wess / Ines-Regina Buth

Geschäftsführende Gesellschafter

info@akampion.com

Tel. +49 40 88 16 59 64 /

Tel. +49 30 23 63 27 68