

Neue Entwicklungen zur Gentherapie UX111 bei MPS IIIA (Sanfilippo-Syndrom Typ A)



Stand: Juli 2025

Die Firma **Ultragenyx** entwickelt eine Gentherapie namens **UX111** (auch unter dem Namen ABO-102 bekannt), die speziell für Kinder mit **MPS IIIA (Sanfilippo-Syndrom Typ A)** gedacht ist. Diese Therapie wird in Form einer **einmaligen Infusion** verabreicht und soll das defekte Gen ersetzen, das für das Fortschreiten der Krankheit verantwortlich ist.

Was hat die US-Zulassungsbehörde (FDA) im Juli 2025 entschieden?

Die amerikanische Gesundheitsbehörde **FDA** hat Ultragenyx im Juli 2025 ein offizielles Schreiben geschickt – ein sogenannter „**Complete Response Letter**“. Das bedeutet:

- **Die Therapie wurde noch nicht zugelassen**, weil die FDA noch **weitere Informationen zur Herstellung und Qualitätssicherung** verlangt.
- Die **klinischen Studienergebnisse** wurden **nicht beanstandet**. Im Gegenteil: Die Behörde bestätigte, dass die bisher vorgelegten Daten zur Entwicklung der Kinder und zu biologischen Markern **sehr überzeugend** seien.
- Ultragenyx arbeitet nun mit Hochdruck daran, die noch offenen Punkte zu klären und **die Therapie bis spätestens 2026 erneut zur Zulassung einzureichen**. Eine Entscheidung der FDA könnte dann **im Laufe des Jahres 2026** folgen.

Was zeigen die bisherigen Studien?

In mehreren Studien – darunter eine große Studie namens **Transpher A** – wurde UX111 bereits an betroffenen Kindern getestet. Die bisherigen Ergebnisse sind sehr ermutigend:

- **Behandelte Kinder entwickelten sich kognitiv deutlich besser** als unbehandelte Kinder gleichen Alters.
- Auch bei der **Kommunikation, bei motorischen Fähigkeiten** (z. B. Feinmotorik) und im allgemeinen Verhalten zeigten sich **positive Veränderungen**.
- Ein wichtiger krankheitstypischer Wert im Gehirnwasser – das sogenannte **Heparansulfat** – **sank bei allen behandelten Kindern deutlich ab**. Dieser Wert ist ein biologischer Marker für den Krankheitsverlauf.

- Bei **älteren Kindern** (zwischen etwa 5 und 15 Jahren) zeigten sich **Hinweise auf einen stabilen Erhalt von Fähigkeiten**: z. B. beim Gehen, Sprechen und selbstständigen Essen. Das könnte bedeuten, dass die Therapie dazu beiträgt, den weiteren Abbau dieser Fähigkeiten zu verlangsamen oder sogar zu stoppen.

Zusammenfassung – was wissen wir bisher?

Bereich **Aktueller Stand**

Wirkung Deutliche Verbesserungen bei Denken, Sprache und Bewegung – vor allem bei jüngeren Kindern

Biomarker Krankheitszeichen im Gehirnwasser (Heparansulfat) gehen stark zurück

Sicherheit Bisher gut verträglich

Zulassung Noch ausstehend, weil es Nachfragen zur Produktion gibt – erneuter Antrag bis Ende 2025 geplant

Erwartung Mögliche Zulassung der Therapie in den USA ab 2026