

Europäische Kommission erteilt Zulassung für DAYBU® (Trofinetid) als erste und einzige Therapie für neurobehaviorale Symptome des Rett-Syndroms in der Europäischen Union

SAN DIEGO, USA – 24. August 2026 – Acadia Pharmaceuticals Inc. (Nasdaq: ACAD) hat heute bekannt gegeben, dass die Europäische Kommission (EK) die Marktzulassung für DAYBU (Trofinetid) zur Behandlung neurobehavioraler Symptome des Rett-Syndroms bei Erwachsenen sowie pädiatrischen Patienten ab fünf Jahren erteilt hat. Damit ist DAYBU das erste und einzige Arzneimittel, das in der Europäischen Union (EU) für diese Indikation zugelassen ist.

„Die Zulassung von DAYBU stellt einen wichtigen Meilenstein für die Rett-Syndrom-Gemeinschaft in der EU dar und bringt uns unserem Ziel näher, diese innovative Therapie Patientinnen und Patienten sowie Familien zugänglich zu machen, deren Behandlungsbedürfnisse seit langem in erheblichem Maße ungedeckt geblieben sind“, so Catherine Owen Adams, Chief Executive Officer von Acadia. „Für Menschen mit Rett-Syndrom, einer schwerwiegenden seltenen neurologischen Entwicklungsstörung, gab es in der EU bislang keine zugelassenen medikamentösen Behandlungsmöglichkeiten. Wir sind stolz darauf, DAYBU nun verfügbar machen zu können, und freuen uns darauf, Patientinnen und Patienten, Angehörige und Betreuungspersonen sowie medizinische Fachpersonen dabei zu unterstützen, Zugang zu dieser Behandlung zu erhalten.“

Die Marktzulassung für DAYBU in der EU stützt sich hauptsächlich auf Ergebnisse der Phase-III-Studie LAVENDER™, in der statistisch signifikante und klinisch relevante Verbesserungen bei den wesentlichen Merkmalen des Rett-Syndroms nachgewiesen wurden und zwar anhand des „Rett Syndrome Behaviour Questionnaire“ (RSBQ) und des „Clinical Global Impression–Improvement“-Skala (CGI-I).

„In meiner langjährigen klinischen Praxis mit Menschen mit Rett-Syndrom und ihren Familien erlebe ich täglich, welche enormen Herausforderungen diese komplexe Erkrankung mit sich bringt. Bislang haben die behandelnden Ärzt*innen nur die Möglichkeiten der symptomatischen Therapie. Die heutige Zulassung in der Europäischen Union ist deshalb ein besonderer Moment für die Betroffenen und ihre Familien“, so Prof. Dr. med. Bernd Wilken, Chefarzt am SPZ, Klinikum Kassel. „Erstmals gibt es Zugang zu einer gezielten Therapie für das Rett Syndrom. Diese Entscheidung bringt neue Hoffnung und Zuversicht für viele Betroffene und ihre Angehörigen.“

Mit dieser Zulassung darf DAYBU in allen 27 Mitgliedstaaten der EU sowie in Island, Liechtenstein und Norwegen in Verkehr gebracht werden. Als nächsten Schritt wird Acadia nun mit den zuständigen nationalen Behörden Verhandlungen über Preisgestaltung und Kostenerstattung aufnehmen, mit dem Ziel, DAYBU nach Möglichkeit Patientinnen und Patienten in den Ländern der EU zugänglich zu machen.

Über das Rett-Syndrom

Das Rett-Syndrom ist eine seltene und komplexe neurologische Entwicklungsstörung, die weltweit bei etwa einem von 10.000 bis 15.000 weiblichen Neugeborenen auftritt.¹⁻³ Ein Kind mit Rett-Syndrom zeigt im Allgemeinen zunächst eine normal wirkende Entwicklungsphase bis zum Alter von sechs bis 18 Monaten. Danach scheinen viele seiner Fertigkeiten nachzulassen oder zu stagnieren. Darauf folgt in der Regel eine Regressionsphase, in der das Kind seine erworbenen Kommunikationsfähigkeiten und den zielgerichteten Einsatz seiner Hände wieder verliert. Das Kind

durchläuft dann möglicherweise eine Stabilisierungsphase, in der sich zwar eine leichte Erholung der kognitiven Interessen abzeichnet, die Körperbewegungen jedoch weiterhin stark eingeschränkt bleiben. Mit zunehmendem Alter kann es bei Menschen mit Rett-Syndrom zu einer fortschreitenden Verschlechterung der motorischen Fähigkeiten kommen, die den Rest ihres Lebens andauern kann.² Das Rett-Syndrom wird in der Regel durch eine Mutation im *MECP2*-Gen verursacht.⁴ In präklinischen Studien wird angenommen, dass eine Funktionsstörung von *MECP2* zu einer Beeinträchtigung der synaptischen Kommunikation und der Plastizität des Gehirns führt, und die Defizite in der synaptischen Funktion könnten mit den Symptomen des Rett-Syndroms in Zusammenhang stehen.⁴⁻⁶

Zu den Symptomen des Rett-Syndroms können auch die Entwicklung stereotyper Handbewegungen, wie z. B. Reiben der Hände und Klatschen, sowie Gangstörungen gehören.⁷ Die meisten Menschen mit Rett-Syndrom erreichen das Erwachsenenalter und benötigen rund um die Uhr intensive Betreuung.^{1,8} Das Rett-Syndrom geht mit erheblichen physischen, psychischen, sozialen und wirtschaftlichen Belastungen einher, die die Lebensqualität der Patienten wie auch ihrer Betreuungspersonen erheblich beeinträchtigen.⁹⁻¹¹

Über DAYBU® (Trofinetid)

Beim Rett-Syndrom sind die Konzentrationen des insulinähnlichen Wachstumsfaktors 1 (IGF-1) im Gehirn niedriger als normal, was vermutlich die Funktion der Nervenzellen beeinträchtigt. IGF-1 ist ein Hormon, das für die normale Entwicklung und Funktion des Nervensystems wichtig ist. Der Wirkstoff von DAYBU (Trofinetid) besteht aus einem von IGF-1 abgeleiteten Molekül.

Trofinetid ist in den Vereinigten Staaten unter den Namen DAYBUE® und DAYBUE STIX®, in Kanada unter dem Namen DAYBUE® und in der Europäischen Union unter dem Namen DAYBU® zugelassen.

Über Acadia Pharmaceuticals

Acadia hat es sich zur Aufgabe gemacht, wissenschaftliches Potenzial in sinnvolle Innovationen umzusetzen, die für unterversorgte Patientengruppen mit neurologischen Krankheitsbildern und seltenen Erkrankungen weltweit einen entscheidenden Unterschied machen. Unser Produktportfolio umfasst die ersten und einzigen von der FDA zugelassenen Behandlungen für Parkinson-Psychosen und das Rett-Syndrom. Wir entwickeln die nächste Generation therapeutischer Fortschritte mit einer soliden und vielfältigen Pipeline, die Programme im mittleren bis späten Entwicklungsstadium zur Behandlung von Psychosen bei Alzheimer-Patienten und bei Lewy-Körper-Demenz umfasst, sowie Programme in früheren Entwicklungsstadien, die auf andere, bislang unzureichend bediente Patientenbedürfnisse ausgerichtet sind. Wir bei Acadia sind dafür da, den Unterschied für sie zu machen. Weitere Informationen finden Sie bei uns unter acadia.com. Folgen Sie uns gerne auch bei [LinkedIn](#) und [X](#).

Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Medienmitteilung enthält zukunftsgerichtete Aussagen im Sinne des Private Securities Litigation Reform Act von 1995. Zukunftsgerichtete Aussagen umfassen alle Aussagen, die keine historischen Tatsachen darstellen, und können an Begriffen wie „kann“, „wird“, „sollte“, „könnte“, „würde“, „erwartet“, „plant“, „geht davon aus“, „glaubt“, „potenziell“ und ähnlichen Formulierungen (einschließlich deren Verneinungen) erkannt werden, die der Kennzeichnung zukunftsgerichteter Aussagen dienen. Die in dieser Medienmitteilung enthaltenen zukunftsgerichteten Aussagen umfassen unter anderem Aussagen über die Bedeutung von DAYBU als Behandlung der

neurobehavioralen Symptome des Rett-Syndroms bei Erwachsenen und pädiatrischen Patientinnen und Patienten ab fünf Jahren, den erwarteten Nutzen von DAYBU für Patientinnen und Patienten, Betreuungspersonen, medizinische Fachpersonen und die Rett-Syndrom-Gemeinschaft, den klinischen Nutzen von DAYBU, die Möglichkeit für Patientinnen und Patienten, Zugang zu DAYBU zu erhalten, sowie unsere Erwartungen hinsichtlich künftiger Preis- und Kostenerstattungsverhandlungen, einschließlich unserer Fähigkeit, rechtzeitig eine Preisfestsetzung und Kostenerstattung für DAYBU in den EU-Mitgliedstaaten, Island, Liechtenstein und Norwegen zu erreichen. Zukunftsgerichtete Aussagen unterliegen bekannten und unbekannten Risiken, Unsicherheiten, Annahmen und anderen Faktoren, die dazu führen können, dass unsere tatsächlichen Ergebnisse, Leistungen oder Erfolge wesentlich und nachteilig von den in unseren zukunftsgerichteten Aussagen erwarteten oder implizierten Ergebnissen abweichen. Zu diesen Risiken, Unsicherheiten und anderen Faktoren gehören unter anderem die mit Preis- und Kostenerstattungsverhandlungen verbundenen Unsicherheiten, unsere Abhängigkeit von der weiterhin erfolgreichen Vermarktung unserer Produkte und unsere Fähigkeit, den Absatz unserer Produkte aufrechtzuerhalten oder zu steigern, unsere Fähigkeit, die erforderlichen behördlichen Zulassungen für die Vermarktung unserer Produkte und Produktkandidaten zu erhalten, die Marktakzeptanz unserer Produkte im Falle ihrer Zulassung sowie unsere Fähigkeit, die geltenden Gesetze und Vorschriften weiterhin einzuhalten. Angesichts dieser Risiken und Unsicherheiten sollten Sie sich nicht unangemessen auf diese zukunftsgerichteten Aussagen verlassen. Eine Erörterung dieser und weiterer Risiken, Unsicherheiten und anderer Faktoren, die dazu führen können, dass unsere tatsächlichen Ergebnisse, Leistungen oder Erfolge abweichen, finden Sie in unserem Quartalsbericht auf Form 10-Q für den am 30. Juni 2026 endenden Berichtszeitraum, der am 5. August 2026 eingereicht wurde, sowie in unseren nachfolgenden, von Zeit zu Zeit bei der Securities and Exchange Commission eingereichten Unterlagen. Die hierin enthaltenen zukunftsgerichteten Aussagen beziehen sich auf den Stand zum Datum dieser Medienmitteilung. Wir übernehmen keine Verpflichtung, sie nach diesem Datum zu aktualisieren, sofern dies nicht gesetzlich vorgeschrieben ist.

Literaturhinweise

¹ Fu C, Armstrong D, Marsh E, et al. Consensus guidelines on managing Rett syndrome across the lifespan. *BMJ Paediatrics Open*. 2020;4:e000717.

² Kyle SM, Vashi N, Justice MJ. Rett syndrome: a neurological disorder with metabolic components. *Open Biol*. 2018; 8:170216.

³ May DM, Neul JL, Satija A, et al. Real-world clinical management of individuals with Rett syndrome: a physician survey. *J Med Econ*. 2023;26(1):1570-1580.

⁴ Amir RE, Van den Veyver IB, Wan M, et al. Rett syndrome is caused by mutations in X-linked MECP2, encoding methyl-CpG-binding protein 2. *Nat Genet*. 1999; 23(2):185-188.

⁵ Fukuda T, Itoh M, Ichikawa T, et al. Delayed maturation of neuronal architecture and synaptogenesis in cerebral cortex of Mecp2-deficient mice. *J Neuropathol Exp Neurol*. 2005; 64(6):537-544.

⁶ Asaka Y, Jugloff DG, Zhang L, et al. Hippocampal synaptic plasticity is impaired in the Mecp2-null mouse model of Rett syndrome. *Neurobiol Dis*. 2006; 21(1):217-227.

⁷ Neul JL, Kaufmann WE, Glaze DG, et al. Rett syndrome: revised diagnostic criteria and nomenclature. *Ann Neurol*. 2010; 68(6):944-950.

⁸ Tarquinio DO, Hou W, Neul JL, et al. The changing face of survival in Rett syndrome and MECP2-related disorders. *Pediatr Neurol*. 2015; 53(5):402-411.

⁹ Prange EO, Beisang A, Pehlivan D, et al. Expert Consensus on Real-World Use of Trofinetide for Rett Syndrome Using a Modified Delphi Method. *Annals of the Child Neurology Society*. 2026; 38–51.

¹⁰ Kaufmann WE, Percy AK, Neul JL, et al. Burden of illness in Rett syndrome: initial evaluation of a disorder-specific caregiver survey. *Orphanet J Rare Dis*. 2024;19(1):296.

¹¹ Gold WA, Percy AK, Neul JL, et al. Rett syndrome. *Nat Rev Dis Primers*. 2024;10(1):84.

Ansprechpartner für Investoren:

Acadia Pharmaceuticals Inc.

Al Kildani

(858) 261-2872

ir@acadia-pharm.com

Acadia Pharmaceuticals Inc.

Jessica Tieszen

(858) 261-2950

ir@acadia-pharm.com

Ansprechpartner für Medien:

Acadia Pharmaceuticals Inc.

Deb Kazenelson

(818) 395-3043

media@acadia-pharm.com