

Pressemitteilung

## **Therapieerfolg gegen seltene „Schmetterlingskrankheit“.**

Heidelberger Biopharma-Unternehmen schließt erfolgreich IIa-Patientenstudie mit ABCB5-positiven Stammzellen ab.

Heidelberg, 11.08.2020 – Nur wenige sind davon betroffen und kaum einer konnte bisher etwas dagegen tun: Epidermolysis bullosa (EB), auch bekannt als Schmetterlingskrankheit. Weltweit leiden etwa 500.000 Personen an dieser schweren, angeborenen Hauterkrankung. Betroffene werden als "Schmetterlingskinder" bezeichnet, weil ihre Haut so verletzlich ist wie die Flügel eines Schmetterlings. Schon geringfügigste mechanische Reibung oder Belastung führt zum Ablösen der Haut, Blasenbildung, Erosionen und offenen, manchmal nie heilenden Wunden. In ihren schwersten Formen kann die EB bereits in der frühen Kindheit zum Tode führen.

Neue Hoffnung gibt eine erfolgreich abgeschlossene Studie des auf Stammzelltherapien spezialisierten Unternehmens RHEACELL. Sie wurde international mit Patientinnen und Patienten aus den USA, England, Österreich, Frankreich, Italien und Deutschland durchgeführt und von der U.S. Food and Drug Administration (FDA) und den anderen jeweils zuständigen nationalen Arzneimittelbehörden genehmigt. Ebenfalls wurde dem in der Studie verwendeten Präparat der Orphan-Drug-Status (Arzneimittel für seltene Erkrankungen) zuerkannt.

Ziel dieser Studie der Phase IIa war die Untersuchung der Wirksamkeit und Sicherheit von allogenen ABCB5-positiven mesenchymalen Stammzellen (ABCB5+ MSCs) bei Patienten mit rezessiver dystrophischer Epidermolysis bullosa (RDEB). Die ABCB5+ Stammzelltherapie konnte durch ihre antientzündliche Wirkung die Krankheitsaktivität messbar verringern, eine Besserung der lokalen Wundsituation erzielen und somit die allgemeine Krankheitssituation der Patienten deutlich verbessern.

Die klinische Studie wurde multizentrisch weltweit durchgeführt. Nachdem die Wirksamkeit und gute Verträglichkeit der Stammzellen nachgewiesen wurden, wird man nun die gewonnenen Daten für die weitere Entwicklung des Medikaments nutzen. Eine klinische Folgestudie ist bereits in Vorbereitung. Bei überzeugenden Zwischenergebnissen könnte sogar eine vorzeitige Beantragung für die Marktzulassung bei der europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) in Betracht gezogen werden.

Als Ausgangsmaterial für die ABCB5+ mesenchymalen Stammzellen dient menschliche Spenderhaut, die von der TICEBA GmbH in einem patentierten Verfahren hergestellt werden. Mit diesem Verfahren können die hochreinen Stammzellen in großem Umfang vervielfacht, zuverlässig isoliert und somit als hochreines, homogenes Zelltherapeutikum [highly functional manufactured stem cells (H.F.M Stem Cells)] produziert werden. Diese ABCB5+ MSCs sind als neuartiges Zelltherapeutikum (ATMP) klassifiziert, welches unter GMP gemäß §13 Absatz 1 des Arzneimittelgesetzes (AMG) kontrolliert hergestellt wird.

Pressekontakt RHEACELL:

Dr. Christoph Ganss

RHEACELL GmbH & Co. KG  
Im Neuenheimer Feld 517  
D-69120 Heidelberg  
Tel. +49(0)6221.718330  
Fax +49(0)6221.7183329  
[media@rheacell.com](mailto:media@rheacell.com)  
[www.rheacell.com](http://www.rheacell.com)

### **RHEACELL GmbH & Co. KG**

RHEACELL widmet sich der Arzneimittelentwicklung basierend auf entzündungshemmenden ABCB5-positiven mesenchymalen Stammzellen. Ein wesentlicher Bestandteil des Forschungsprogramms von RHEACELL ist die Entwicklung neuer und innovativer Therapieansätze und die Überprüfung dieser in klinischen Studien. Mit dem Ziel, dass Patienten neue Therapieoptionen für bisher nicht oder nur unzureichend behandelbare Krankheiten zur Verfügung stehen.

Im Rahmen der Entwicklung von stammzellbasierten Arzneimitteln kommen mehrere exklusive Patente des Boston Children's Hospital (Lehrkrankenhaus der Harvard Medical School, Boston, Massachusetts) zum Einsatz, für die RHEACELL Lizenznehmer ist. Als wissenschaftlicher Berater fungiert Prof. Dr. Markus Frank, Professor für Pädiatrie und Dermatologie an der Harvard Medical School, der über eine besondere Expertise in der Stammzellforschung verfügt.

RHEACELL führt mehrere nationale und internationale multizentrische klinische Studien durch. RHEACELL hält den Orphan-Drug- Status (Arzneimittel für seltene Erkrankungen) durch die Europäische Arzneimittel-Behörde (EMA) und die US-amerikanischen Gesundheitsbehörde (FDA) für die Behandlung von Epidermolysis Bullosa (EB) und für die Limbale Stammzellendefizienz (LSCD). Von der FDA hat RHEACELL auch den „Fast Track Status“ für die LSCD erhalten.

Die RHEACELL ist ein gemeinsames Unternehmen der Müller Holding und der TICEBA. Getragen wird das Entwicklungsprogramm von RHEACELL durch Kapital der Müller Holding in Höhe von 60 Millionen Euro und durch das wissenschaftlich-technische und regulatorische Know-how der TICEBA.

Aktuell sucht RHEACELL Investoren oder Partner für die erfolgreiche Durchführung der nächsten klinischen Entwicklungsphasen bis zur Zulassung.

RHEACELL GmbH & Co. KG  
Im Neuenheimer Feld 517  
D-69120 Heidelberg  
Tel. +49(0)6221.718330  
Fax +49(0)6221.7183329  
[media@rheacell.com](mailto:media@rheacell.com)  
[www.rheacell.com](http://www.rheacell.com)