

## Forschungserfolg bei Rare Disease

### **RHEACELL erhält positives Signal für beschleunigtes Stammzell-Entwicklungsprogramm bei seltener Schmetterlingskrankheit**

**Heidelberg, 28. Februar 2024. Am 29.02.2024 findet weltweit der Rare Disease Day statt, um mehr Aufmerksamkeit für seltene Erkrankungen zu schaffen. Lediglich 5% der rund 6.000 bis 10.000 bekannten seltenen Erkrankungen sind aktuell behandelbar. Die Erforschung und Entwicklung zielgerichteter Therapieansätze ist aufwändig, sodass viele Unternehmen angesichts geringer Patientenzahlen den finanziellen Aufwand scheuen. Aufgrund des hohen medizinischen Bedarfs suchen daher Zulassungsbehörden den Schulterchluss mit Arzneimittelherstellern, die an sogenannten Orphan Drugs forschen. Das biopharmazeutische Unternehmen RHEACELL hat seitens der FDA positive Rückmeldungen erhalten für einen sogenannten Fast-Track-Begutachtungsprozess für ihr innovatives Stammzelltherapeutikum (ABCB5+ mesenchymalen Stammzellen) zur Behandlung der seltenen pädiatrischen Erkrankung der Epidermolysis bullosa (EB). Für die auch als Schmetterlingskrankheit bezeichnete genetische Hautkrankheit gibt es bislang keine Heilung.**

In Europa gelten Krankheiten als selten, wenn nicht mehr als fünf von 10.000 Menschen davon betroffen sind. Außerdem muss die Erkrankung chronisch und lebensbedrohlich sein. Viele davon beginnen bereits im Kindes- und Jugendalter. Mit rund 500.000 Menschen weltweit gehört auch die Epidermolysis bullosa (EB) zu den seltenen Erkrankungen, die nicht nur die Lebensqualität der Betroffenen massiv beeinträchtigt, sondern im schlimmsten Fall auch tödlich enden kann.<sup>1</sup>

EB umfasst ein heterogenes Spektrum genetischer Hauterkrankungen, bei denen die Haut so verletzlich ist wie die Flügel eines Schmetterlings. Selbst geringfügige mechanische Beanspruchung oder Reibungen können zu Blasenbildung mit schmerzhaften chronischen Wunden an Haut und Schleimhaut führen.<sup>2</sup> Bei schweren Formen kann es zu Entzündungen oder starker Narbenbildung an inneren Organen wie dem Magen-Darm-Trakt kommen.<sup>1</sup> Erosionen und Vernarbungen der Speiseröhre können das Schlucken fester Nahrung erschweren bzw. unmöglich machen, mit daraus resultierender Unterernährung und Wachstumseinschränkung.<sup>3</sup> Des Weiteren kann der Verlust von Finger- oder Zehennägeln sowie die

Bankverbindung:  
Heidelberger Volksbank eG  
Konto - Nr. 48143806  
BLZ 672 900 00  
IBAN: DE06 6729 0000 0048 1438 06  
BIC/SWIFT-Code: GENODE61HD1

Vertretungsberechtigter Geschäftsführer:  
Dr. med. Christoph Ganss

Registergericht:  
Amtsgericht Heidelberg  
HRB 704596

Ust-IdNR.: DE 287172027

<sup>1</sup> Rashidghamat E. et al. (2017). Novel and emerging therapies in the treatment of recessive dystrophic epidermolysis bullosa. *Intractable & Rare Diseases Research* 6:6-20. DOI: 10.5582/irdr.2017.01005

<sup>2</sup> Bardhan A. et al. (2020). Epidermolysis bullosa. *Nature Reviews Disease Primers* 6:78. DOI: 10.1038/s41572-020-0210-0

<sup>3</sup> Shinkuma, S. (2015). Dystrophic epidermolysis bullosa: A review. *Clinical, Cosmetic and Investigational Dermatology* (8):275–284. DOI: 10.2147/CCID.S54681

Verschmelzung von Fingern und Zehen zu erheblichen Funktionsstörungen und damit zu einer schweren Behinderung führen.<sup>3</sup> EB-Patienten weisen zudem ein erhöhtes Tumorrisiko sowie eine deutlich erhöhte Sterblichkeitsrate auf.<sup>4</sup>

### **Förderung regenerativer Therapieansätze: Zulassungsbehörde sieht Potenzial in Stammzelltherapeutikum**

Stammzellbasierte, regenerative Therapieansätze gewinnen gerade bei bisher nicht heilbaren Erkrankungen immer mehr an Bedeutung. Das biopharmazeutische Unternehmen RHEACELL widmet sich seit über 15 Jahren der Arzneimittelentwicklung basierend auf entzündungshemmenden ABCB5-positiven mesenchymalen Stammzellen für Patienten, die an schweren immun- und entzündungsbedingten Krankheiten leiden, für die es zurzeit keine adäquaten Behandlungsmöglichkeiten gibt.

Nach einem sogenannten ‚RPDD-Voucher‘ der FDA im Dezember 2023 (Rare Pediatric Disease Priority Review Voucher) erhielt RHEACELL nun im Februar 2024 einen ‚Regenerative Medicine Advanced Therapy (RMAT)-Fast-Track‘-Prozess für ihr Stammzelltherapeutikum. Damit möchte die amerikanische Arzneimittelbehörde die Entwicklung von regenerativen Therapien für Krankheiten mit hohem medizinischem Bedarf vorantreiben, um Kindern mit der seltenen, lebensbedrohlichen Schmetterlingskrankheit zeitnah eine therapeutische Option ermöglichen zu können.

*„Die positive Einschätzung der FDA für eine Beschleunigung unseres klinischen Entwicklungsprogramms für die Schmetterlingskrankheit ist für Betroffene angesichts ihres enormen Leidensdrucks von großer Bedeutung. Es ist aber auch eine wichtige Bestätigung für das therapeutische Konzept der regenerativen, antientzündlichen ABCB5+ MSCs als neue vielversprechende Therapieoption bei Rare Diseases, welches wir nun nach erfolgreicher Phase 2a-Studie mit Hochdruck weiterentwickeln werden“,* freute sich Dr. Christoph Ganss, Arzt, Mitbegründer und Geschäftsführer von RHEACELL über die jüngste Rückmeldung der FDA.

---

<sup>4</sup> Mittapalli VR. et al. (2016). Injury-Driven Stiffening of the Dermis Expedites Skin Carcinoma Progression. Cancer Research 76:940-51. DOI: 10.1158/0008-5472.CAN-15-1348



Copyright: Adobe Stock, 162822802

*Bildunterschrift: Rare Disease Day am 29.2.2024 – Hoffnung beginnt mit Forschung: RHEACELL erhält positives Signal für beschleunigtes Stammzell-Entwicklungsprogramm zur Behandlung der seltenen Schmetterlingskrankheit, einer genetischen Hauterkrankung mit massiver Beeinträchtigung der Lebensqualität, für die es bislang keine Heilung gibt.*

**PRESSEKONTAKT:**

Dr. med. Christoph Ganss  
RHEACELL GmbH & Co. KG  
Im Neuenheimer Feld 517  
69120 Heidelberg

T +49 6221 71833-0  
F +49 6221 71833-291  
E [media@rheacell.com](mailto:media@rheacell.com)

## Über RHEACELL

Mit mehr als 15 Jahren Erfahrung sind wir ein führendes, integratives biopharmazeutisches Stammzellunternehmen mit Zulassungsstudien mit Sitz in Heidelberg, Deutschland. Wir konzentrieren uns auf innovative Stammzelltherapien für Patienten, die an schweren immun- und entzündungsbedingten Krankheiten leiden, einen sehr hohen Leidensdruck haben und für die es zurzeit keine adäquaten Behandlungsmöglichkeiten gibt und wollen eine neue und innovative Behandlungsmethode für diese Patienten anbieten.

Unsere ABCB5+ mesenchymalen Stromazellen, als reiner Wirkstoff, können das Leben dieser Patienten, z.B. bei Epidermolysis bullosa, entscheidend verbessern und haben das Potenzial, einen echten Wendepunkt im Behandlungskonzept für diese Erkrankungen darzustellen.

Wir entwickeln klinische Forschungsprogramme Hand in Hand mit weltweit führenden Experten und konzentrieren uns dabei auf Patienten mit ungedecktem medizinischem Bedarf, z.B. bei seltenen pädiatrischen und dermatologischen Erkrankungen, die mit systemischen Entzündungen einhergehen und/oder auf diesen beruhen.

Basierend auf dem Wirkprinzip und den relevanten Wirksamkeitstests verfügt RHEACELL über eine umfangreiche Pipeline, um die klinische Entwicklung und den Marktzugang auf andere seltene Krankheiten auszuweiten. Wir führen mehrere nationale und internationale multizentrische klinische Studien durch.

Die gezielte Bekämpfung von Entzündungen durch unsere innovative, von uns entwickelte Stammzelltherapie ermöglicht betroffenem Gewebe die Wiederherstellung der normalen physiologischen Funktion.

In unserer Arzneimittelproduktion haben wir auf der Grundlage validierter Sicherheits- und Wirksamkeitstests von der Produktion bis zur Freigabe des Arzneimittels die volle Kontrolle über alle entscheidenden Schritte, um beste pharmazeutische Qualität zu gewährleisten. Unser GMP-zertifizierter Herstellungsprozess ist jederzeit skalierbar, um die weltweite Nachfrage zu bedienen.

Wir verfügen über einen weltweiten IP-Schutz durch ein umfassendes Patentportfolio für ABCB5, das RHEACELL exklusiv vom Children's and Women's Hospital, Harvard Medical School, Boston, lizenziert hat. Mehrere dieser Patente sind Miteigentum von RHEACELL.