

RHEACELL gibt FDA-Genehmigung für Phase-3-Studie bei therapieresistenten, nicht heilenden CVU bekannt

- FDA genehmigt verblindete, multizentrische Phase-3-Studie ([NCT06489028](#)) zur Untersuchung der Sicherheit und Wirksamkeit des Stammzelltherapeutikums allo-APZ2-CVU bei chronisch-venösen Ulzera.
- Die Studie wird an über 100 Standorten durchgeführt und soll voraussichtlich 250 Patientinnen und Patienten einschließen.
- Allo-APZ2-CVU ist der erste Stammzelltherapie-Kandidat seiner Art. Er nutzt ABCB5-positive mesenchymale Stammzellen zur Behandlung von schweren immun- und entzündungsbedingten Erkrankungen, für die ein hoher medizinischer Bedarf besteht.

Heidelberg, 24.09.2024 – [RHEACELL](#) gab heute bekannt, dass die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA (Food and Drug Administration, „FDA“) die Durchführung der verblindeten, multizentrischen, weltweiten Phase-3-Studie ([NCT06489028](#)) des Unternehmens zur Untersuchung der Sicherheit und Wirksamkeit von allo-APZ2-CVU bei Patientinnen und Patienten mit chronisch-venösen Ulzera (CVU) genehmigt hat. Allo-APZ2-CVU ist der erste Stammzelltherapie-Kandidat seiner Art. Er nutzt ABCB5-positive mesenchymale Stammzellen (MSCs) zur Behandlung von Patientinnen und Patienten mit schweren immun- und entzündungsbedingten Erkrankungen, für die ein hoher medizinischer Bedarf besteht, einschließlich CVU und Epidermolysis bullosa.

Die Genehmigung durch die FDA basiert auf ersten positiven Ergebnissen einer Phase-2b-Studie des Unternehmens ([NCT04971161](#)), in der allo-APZ2-CVU bei Patientinnen und Patienten mit therapieresistenten CVU untersucht wurde, sowie auf einer nationalen Marktgenehmigung in Deutschland durch das Paul-Ehrlich-Institut (PEI) für therapieresistente CVU. Die Phase-2-Studie zeigte ein vorteilhaftes Sicherheitsprofil und vorläufige Ergebnisse zur Wirksamkeit von allo-APZ2-CVU.

In einer geplanten Zwischenanalyse empfahl ein unverblindetes unabhängiges Datenüberwachungskomitee (independent data monitoring committee, „IDMC“) die unveränderte Fortführung der Studie, da es mit der gewählten Dosisgruppe für allo-APZ2-CVU möglich war, die angenommene Effektgröße im Vergleich zu Placebo zu erreichen oder zu übertreffen (ursprüngliche Annahme: 15% Wundverschluss im Placeboarm vs. 45% Wundverschluss im Dosisarm).

„Wenn Patientinnen und Patienten auf die Standardtherapie für CVU nicht ansprechen, sind die kurativen Behandlungsmöglichkeiten ausgeschöpft und die Wunden bleiben oft jahrelang bestehen, was zu einer erheblichen Einschränkung

der Lebensqualität führt. Die Genehmigung unserer Phase-3-Studie mit allo-APZ2-CVU ist ein wichtiger Schritt auf dem Weg zur Bereitstellung dringend benötigter Behandlungsmöglichkeiten," sagte Dr. Christoph Ganss, Gründer und CEO von RHEACELL. „Wir glauben, dass unsere innovative Technologie das Potenzial hat, mehrere schwere Immun- und Entzündungskrankheiten zu behandeln, und diese Genehmigung ist ein weiterer Beweis für das Potenzial unserer ABCB5+ MSCs.“

Die zulassungsrelevante, doppelblinde, multizentrische, internationale klinische Phase-3-Studie soll die Wirksamkeit und Sicherheit von allo-APZ2-CVU bei der Wundheilung von therapieresistenten, nicht heilenden CVU untersuchen. Die Studie wird an mehr als 100 Standorten durchgeführt und soll 250 Patienten einschließen. Der primäre Endpunkt der Studie ist der Wundverschluss. Sekundäre Endpunkte sind unter anderem die Zeit bis zum Wundverschluss, die Dauer des Wundverschlusses und die Lebensqualität.

Über allo-APZ2-CVU-III

Die zulassungsrelevante, doppelblinde, Placebo kontrollierte, internationale, multizentrische Phase-III-Studie allo-APZ2-CVU-III ([NCT06489028](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT06489028)), untersucht die Wirksamkeit und Sicherheit von allo-APZ2-CVU bei der Wundheilung therapieresistenter, nicht heilender CVU. Die Studie schließt an erste positive Ergebnisse und ein günstiges Sicherheitsprofil der vorangegangenen Phase-2b-Studie allo-APZ2-CVU-II ([NCT04971161](https://clinicaltrials.gov/ct2/show/study/NCT04971161)) mit allo-APZ2-CVU bei CVU an. Insgesamt wird die Studie an mehr als 100 Standorten in 12 Ländern durchgeführt, darunter die USA, Europa und Großbritannien.

Über ABCB5-positive mesenchymale Stammzellen

In den klinischen Programmen der RHEACELL werden ABCB5-positive mesenchymale Stammzellen aus der Haut zur Behandlung von immun- und entzündungsbedingten Erkrankungen eingesetzt. Diese Zellen besitzen einzigartige immunmodulierende Eigenschaften. Unter anderem sind sie in der Lage, Interleukin (IL)-1RA freizusetzen, ein Molekül, das an den IL-1-Rezeptor bindet und die Freisetzung von IL-1 β hemmt. Dadurch wird die überschießende Immunantwort gedämpft und der Phänotyp der Makrophagen von einem entzündungsfördernden M1-Phänotyp in einen wundheilenden M2-Phänotyp überführt. Auf diese Weise wird der natürliche Heilungsprozess des Körpers unterstützt. Je nach Art der Erkrankung können ABCB5+-MSZ topisch auf die Wunde oder intravenös verabreicht werden, um eine systemische Reaktion zu erzielen.^{1,2.}

Über Chronisch-venöse Ulzera

Chronisch-venöse Ulzera (CVU) entstehen als Folge eines gestörten venösen Abflusses in den unteren Extremitäten, vorwiegend ausgelöst durch venösen Rückfluss oder eine Obstruktion der Beinvenen. Der erhöhte Venendruck verursacht

1 Vander Beken S, et al. Newly Defined ATP-Binding Cassette Subfamily B Member 5 Positive Dermal Mesenchymal Stem Cells Promote Healing of Chronic Iron-Overload Wounds via Secretion of Interleukin-1 Receptor Antagonist. *Stem Cells*. 2019 Aug;37(8):1057-1074.

2 Kerstan A et al. *JID Innovations* 2022;2:100067.

Mikrozirkulationsstörungen, die über eine Kaskade von pathophysiologischen Ereignissen schließlich zu einem Abbau von Gewebe und zur Entstehung schmerzhafter Wunden führen. Bei chronischen Wunden ist die Wundheilung durch einen persistierenden Entzündungszustand beeinträchtigt, der den Übergang in die nächste Wundheilungsphase verhindert. In Deutschland liegt die Prävalenz von floriden chronischen Ulzerationen bei 0,7 % der Bevölkerung. (1) CVU machen einen Großteil der chronischen Wunden aus. Die Lebensqualität der Betroffenen ist durch aufwändige, wiederholte Wundbehandlungen und Schmerzen erheblich eingeschränkt. Vor allem für schwer betroffene Patienten mit therapierefraktären Verläufen, gab es bislang keine adäquaten Therapiemöglichkeiten^{3,4,5,6}.

Über RHEACELL

Mit mehr als 20 Jahren Erfahrung sind wir ein führendes, integratives biopharmazeutisches Stammzellunternehmen mit zurzeit zwei Zulassungsstudien (EU, US) 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.

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

Pressekontakt:

Daniela Weis
RHEACELL GmbH & Co. KG
Im Neuenheimer Feld 517
69120 Heidelberg
T +49 6221 71833-0
F +49 6221 71833-291
E media@rheacell.com

3 Augustin M, Rustenbach SJ, Debus ES et al. Quality of care in chronic leg ulcer in the community: introduction of quality indicators and a scoring system. *Dermatology* 2011; 222(4):321-9.

4 Herberger K, Rustenbach SJ, Haartje O et al. Quality of life and satisfaction of patients with leg ulcers – results of a community-based study. *Vasa* 2011; 40(2):131-8.

5 Persoon A, Heinen MM, van der Vleuten CJ et al. Leg ulcers: a review of their impact on daily life. *J Clin Nurse* 2004; 13(3):341-54.

6 Finlayson K, Edwards H, Courtney M. The impact of psychosocial factors on adherence to compression therapy to prevent recurrence of venous leg ulcers. *J Clin Nurs* 2010; 19(9-10):1289-97.