

## Schmetterlingskinder

Medical Application of rhSOD in the Orphan Skin Disease Epidermolysis bullosa "Schmetterlingskinder"

|                                 |                                                              |                        |               |
|---------------------------------|--------------------------------------------------------------|------------------------|---------------|
| <b>Programm / Ausschreibung</b> | BASIS, Seltene Erkrankungen, Seltene Erkrankungen 2015 2. AS | <b>Status</b>          | abgeschlossen |
| <b>Projektstart</b>             | 01.02.2017                                                   | <b>Projektende</b>     | 31.03.2018    |
| <b>Zeitraum</b>                 | 2017 - 2018                                                  | <b>Projektlaufzeit</b> | 14 Monate     |
| <b>Keywords</b>                 |                                                              |                        |               |

### Projektbeschreibung

Epidermolysis bullosa (EB) ist eine angeborene und derzeit noch nicht heilbare seltene Hauterkrankung. Sie äußert sich in Form einer folgenschweren Schwächung des Hautgewebsverbundes wodurch die Epidermis und Schleimhaut der betroffenen Personen so verletzlich ist, wie die Flügel eines Schmetterlings. Die bereits unter leichter Druckeinwirkung auftretenden und sich vergrößernden Blasen führen in EB-Patienten zu erheblichen Verletzungen der Haut und verschlimmern den Krankheitszustand der Patienten über die Zeit zunehmend. Zudem existiert in der Wundbehandlung von EB noch kein therapeutischer Standard. Die Etablierung dessen, gemeinsam mit einer raschen und effizienten Verbesserung der Schmerzversorgung stellt im Verlauf der individuellen Erkrankung derzeit das größte medizinische Bedürfnis der „Schmetterlingskinder“ dar.

SCARLETRED zielt im Rahmen dieses Projektes daher auf die Etablierung eines modernen multi-therapeutischen Ansatzes in EB ab. Hierfür wird die rekombinante humane Superoxid Dismutase (rhSOD), als wundheilungsfördernder und schmerzhemmender Wirkstoff zielgerichtet in der Indikation EB präklinisch an genetischen Mausmodellen getestet und klinisch weiterentwickelt. In vorangegangenen topischen Arzneimittelstudien konnte für rhSOD bereits eine hohe Verträglichkeit, Sicherheit und ein breites therapeutisches Potential in der Behandlung von akuten und chronischen Hauterkrankungen aufgezeigt werden. Insbesondere in Zusammenhang mit einem ausgeprägten epidermalen Defekt der Haubbarriere, wodurch die Anwendung in EB als sehr vielversprechend gilt. Auf dieser Datenlage basierend soll nun einen rasche Pilotierung des therapeutischen Konzepts und danach eine klinischen Phase I/II Studie in EB erfolgen. SCARLETRED verfügt zudem bereits über ausreichend Arzneimittelsubstanz, in der für klinische Studien maßgeblichen GMP-Qualität. Im Rahmen einer exklusiven industriellen Kooperation mit dem Hersteller Polymun soll auch eine neue und vollständig bio-degradierbaren Formulierung technisch und medizinisch mit dem EB-Haus Salzburg weiterentwickelt und kontaktfreie Hautbildanalyseprozesse etabliert werden.

### Projektpartner

- SCARLETRED Holding GmbH