



PRESSEINFORMATION

VYJUVEK®: Markteinführung der ersten Gentherapie für die Wundbehandlung der dystrophen Epidermolysis bullosa (DEB) in Deutschland

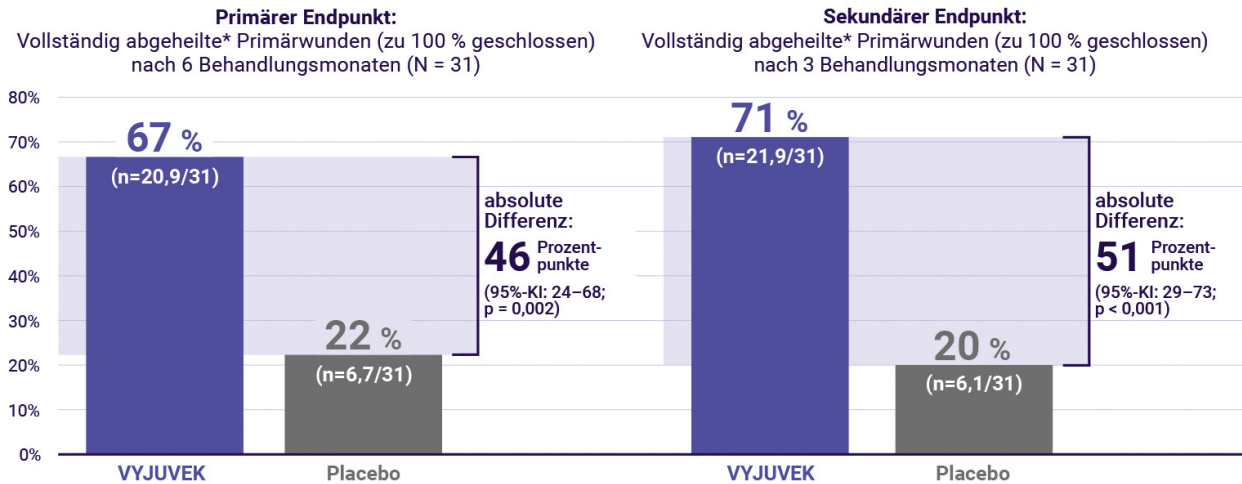
Das von Krystal Biotech entwickelte Arzneimittel ist der erste in der EU zugelassene Wirkstoff, der auf die genetische Ursache der DEB abzielt.

Berlin, 24.06.2025 - Mit der kürzlich durch die Europäische Kommission (EK) erfolgten Zulassung von **VYJUVEK®** (Beremagen geperpavec) zur Behandlung bei dystropher Epidermolysis bullosa (DEB) steht ab Sommer dieses Jahres die erste und einzige topische Gentherapie für Patient:innen in Deutschland zur Verfügung, bei denen Mutationen im Gen für die Alpha-1-Kette des Kollagens Typ VII (*COL7A1*) vorliegen.^{1,2} Wie Heike Grützmaier, General Manager DACH der Krystal Biotech Germany GmbH, Berlin, betonte, schließt das Präparat nun endlich eine Versorgungslücke für die Betroffenen, die unter oft großflächigen, schlecht heilenden Wunden leiden würden,³ denn Vyjuvek® fördert die Wundheilung durch den Einsatz des ersten korrigierenden Wirkmechanismus, der auf die genetische Ursache der DEB abzielt.^{4,5} Das von Krystal Biotech entwickelte Präparat kann ab Geburt verabreicht werden.

Die topische, wiederholt einsetzbare Gentherapie nutzt ein nicht-integrierendes und nicht-replizierendes Herpes-simplex-Virus (HSV-1) als Vektor. Durch die Einbringung des Gens *COL7A1* in Keratinozyten und Fibroblasten in den behandelten Wunden ermöglicht VYJUVEK® diesen die Produktion von funktionalem Kollagen Typ VII. Daraus werden die bei DEB fehlenden Verankerungsfibrillen zwischen Epidermis und Dermis gebildet und so die Haut stabilisiert, was die Wundheilung begünstigt. So heilten in der doppelblinden und randomisierten Zulassungsstudie unter Behandlung mit VYJUVEK® signifikant mehr Wunden vollständig* ab als unter Placebo.⁵

Meilenstein in der DEB-Therapie

Wie Prof. Dr. Cristina Has, Ärztliche Leitung Epidermolysis bullosa-Zentrum, Universitätsklinikum Freiburg, Klinik für Dermatologie erläuterte, wurden in den zur Zulassung führenden, doppelt verblindeten Studien DEB-Patient:innen randomisiert sowohl mit VYJUVEK® (B-VEC, Beremagen geperpavec) als auch Placebo behandelt, und zwar jeweils in paarweise zugeordneten, einander möglichst ähnlichen Wunden. Dieser Ansatz sei gewählt worden, um einerseits eine ausreichende Zahl von Wunden rekrutieren zu können (da DEB sehr selten ist) und andererseits Patient:innen mit hohem Leidensdruck die vielversprechende Therapie nicht vorzuenthalten. Alle Patient:innen dienten so als ihre eigene Kontrollgruppe. Als primärer Endpunkt wurden die laut Prüfplandefinition* nach 6 Behandlungsmonaten vollständig abgeheilten Wunden betrachtet, als ein zentraler sekundärer Endpunkt die nach 3 Behandlungsmonaten vollständig abgeheilten Wunden. Die Ergebnisse zeigten für beide Endpunkte eine klare Überlegenheit für VYJUVEK® gegenüber Placebo.⁵



Zentrale Ergebnisse der Zulassungsstudie zu VYJUVEK® (B-VEC, Beremagen geperpavec): Unter Behandlung mit Vyjuvek® heilten signifikant mehr Wunden ab und blieben länger geschlossen als unter Placebo⁵

Darüber hinaus habe Vyjuvek® ein günstiges Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil gezeigt und es seien keine klinisch relevanten Reaktionen auf den HSV-1-Vektor beobachtet worden.

„Wir freuen uns, Patient:innen mit DEB die erste Behandlung anbieten zu können, die korrigierend am Gendefekt ansetzt und damit zu einer relevanten Verbesserung der Lebensqualität beiträgt. VYJUVEK® wirkt direkt am Ausgangspunkt der komplexen Pathophysiologie der DEB und ist damit ein Meilenstein der DEB-Behandlung. Gleichzeitig ist die Therapie nicht invasiv und erstaunlich einfach anzuwenden, selbst bei Säuglingen und Kleinkindern,“ so die zu den wenigen weltweit renommierten Expert:innen für DEB zählende Prof. Has. VYJUVEK® kann zu Hause oder in medizinischen Einrichtungen angewendet werden, wobei die Verabreichung auch durch die Patient:innen selbst oder durch pflegende Angehörige und Bezugspersonen erfolgen kann, sofern dies nach ärztlichem Ermessen fachgerecht durchgeführt werden kann.

Hoher Leidensdruck für die Betroffenen

Wie sehr die äußerst schmerzhafteste und belastende Erkrankung DEB die Betroffenen ein Leben lang tagtäglich fordert, verdeutlichte die an dystropher Epidermolysis bullosa erkrankte Leticia Cimesa. „Es gab immer wieder Situationen, in denen ich wirklich verzweifelt war, und ich dachte, ich würde in einem Albtraum leben. Das, was ich am meisten hasse, sind die Reinigung der Wunden und das Verbundenwerden. Die Schmerzen sind so stark, und die Prozedur dauert jedes Mal mehrere Stunden.“ Wie die Neunzehnjährige, die seit August letzten Jahres im Rahmen eines individuellen Heilversuchs mit Beremagen geperpavec behandelt wird, berichtete, habe sie über Jahre alles versucht, und immer wieder gehofft, eine chronische Wunde zu schließen, die nun unter der neuen Therapie abgeheilt sei. „Meine Haut ist besser nach stabiler – und das hat mir so viel mehr Selbstbewusstsein und Positivität gegeben.“

Über Epidermolysis bullosa (DEB)

Die zu den Seltenen Erkrankungen zählende dystrophe Epidermolysis bullosa (DEB) wird aufgrund der äußerst verletzlichen Haut der Betroffenen auch als Schmetterlingskrankheit bezeichnet. Für Deutschland wurde zuletzt eine Prävalenz von ca. 12 Fällen pro Million Menschen und eine Inzidenz von ca. 16 Fällen pro Million Lebendgeburten beschrieben.⁶ DEB ist gekennzeichnet durch eine extreme Hautfragilität, Blasenbildung und Narbenbildung der Haut und der Schleimhäute. Die hohe Belastung ergibt sich vorrangig durch das Wiederaufbrechen von Wunden bis hin zu chronisch offenen Wunden in Kombination mit anhaltenden Schmerzen und Juckreiz. An DEB Erkrankte weisen eine erhöhte Sterblichkeit auf, bedingt durch chronische Entzündungen, kumulative Erkrankungen und langfristige Komplikationen wie Sepsis und Hautkrebs.



Krystal Biotech, Inc.

Krystal Biotech, Inc. (NASDAQ: KRYV) ist ein Biotechnologieunternehmen im kommerziellen Stadium, das sich auf die Entwicklung, Produktion und Vermarktung von Gentherapien zur Behandlung von Krankheiten mit hohem medizinischem Bedarf konzentriert. VYJUVEK® ist das erste marktreife Produkt des Unternehmens und im häuslichen Umfeld einsetzbare Gentherapie sowie die erste von der FDA und durch die Europäische Kommission zugelassene Gentherapie zur Behandlung der dystrophischen Epidermolysis bullosa (DEB). Das Unternehmen treibt die Entwicklung einer soliden präklinischen und klinischen Pipeline von in der Prüfung befindlichen Gentherapien in den Bereichen Atemwegserkrankungen, Onkologie, Dermatologie, Augenheilkunde und Ästhetik rasch voran. Der Hauptsitz von Krystal Biotech befindet sich in Pittsburgh im US-Bundesstaat Pennsylvania. Die Krystal Biotech Germany GmbH ist die deutsche Niederlassung mit Sitz in Berlin. Weitere Informationen finden Sie unter <http://www.krystalbio.com>. Folgen Sie @Krystal-Biotech auch auf [LinkedIn](#) und [X](#) (ehemals Twitter).

KONTAKT FÜR DIE MEDIEN:

KLARSAGEREI

Silke Schrader

silke.schrader@klarsageri.de

Tel.: 0172 90 60 656

*Als vollständig (100 %) abgeheilt wurden Wunden eingestuft, bei denen an 2 aufeinanderfolgenden Terminen im Abstand von 2 Wochen ein anhaltender Wundverschluss (Epithelneubildung ohne Drainage) beobachtet wurde.⁵

1. Krystal. Vyjuvek Fachinformation. 2025.

2. European Medicines Agency. First topical gene therapy treatment for dystrophic epidermolysis bullosa. 2025. <https://www.ema.europa.eu/en/news/first-topical-gene-therapy-treatment-dystrophic-epidermolysis-bullosa>

3. Bardhan, A., Bruckner-Tuderman, L. et al. Epidermolysis bullosa. Nature Review Disease Primers 2020; 6: 78. DOI: 10.1038/s41572-020-0210-0

4. Gurevich, I., Agarwal, P. et al. In vivo topical gene therapy for recessive dystrophic epidermolysis bullosa: a phase 1 and 2 trial. Nature Medicine 2022; 28: 780-788. DOI: 10.1038/s41591-022-01737-y

5. Guide, S. V., Gonzalez, M. E. et al. Trial of beremagene geperpavec (B-VEC) for dystrophic epidermolysis bullosa. New England Journal of Medicine 2022; 387: 2211-2219. DOI: doi:10.1056/NEJMoa2206663

6. Has, C., Hess, M. et al. Epidemiology of inherited epidermolysis bullosa in Germany. Journal of the European Academy of Dermatology and Venereology 2023; 37: 402-410. DOI: 10.1111/jdv.18637