



Farmaci, Prix Galien Italia a Krystal Biotech per la prima terapia genica in una malattia rara

Descrizione

(Adnkronos) Krystal Biotech ha annunciato di aver ricevuto il prestigioso Prix Galien Italia 2025 nella categoria Medicinali per terapia avanzata (Atmp) per Vyjuvek® (beremagene geperpavec o B-vec), la prima e unica terapia genica approvata in Europa in grado di modificare il decorso della Epidermolisi bollosa distrofica (Deb), una grave malattia genetica rara della pelle solitamente presente alla nascita. Vincere il Prix Galien Italia, il più importante premio in ambito biomedico e farmacologico del nostro Paese, rappresenta un riconoscimento al nostro impegno nella ricerca genetica in aree terapeutiche con elevati bisogni medici non soddisfatti dichiara Hassan Bruneo, Vice President, Head of Market Access EU & General Manager Italy di Krystal Biotech Siamo onorati e orgogliosi di ricevere questo Premio prestigioso che conferma la solidità della nostra ricerca e la nostra capacità di sviluppare terapie avanzate che stanno trasformando il trattamento delle malattie genetiche. Stiamo collaborando con le autorità regolatorie per rendere presto disponibile Vyjuvek® in Italia.

Il Prix Galien ricorda l'azienda in una nota "un'iniziativa nata in Francia 50 anni fa con l'obiettivo di valorizzare le più importanti innovazioni di scienziati, ricercatori e aziende nel campo della ricerca farmaceutica. Il premio oggi considerato come l'equivalente del premio Nobel per il settore farmaceutico e come il più alto tributo alla ricerca e allo sviluppo in questo campo. Secondo il Board scientifico indipendente che ha assegnato il premio, beremagene geperpavec rappresenta la prima terapia genica topica che agisce direttamente sulla causa genetica dell'epidermolisi bollosa distrofica, una malattia rara, grave della pelle. Agendo sulla causa della malattia ristabilisce la giunzione dermo-epidermica e consente una guarigione duratura delle ferite cutanee e una significativa riduzione della severità delle nuove lesioni. Può pertanto modificare la storia naturale della malattia, rendendo quasi normale la vita dei pazienti che ne sono affetti.

L'Epidermolisi bollosa distrofica illustra la biotech "una grave malattia genetica rara che si manifesta dalla nascita caratterizzata da fragilità meccanica dei tessuti epiteliali, che porta a formazione di vesciche e ferite cutanee ed extra-cutanee. È causata da mutazioni nel gene della catena alfa 1 del collagene di tipo VII (Col7A1), che codifica il collagene di tipo VII (Col7), una proteina fondamentale per sostenere e strutturare gli strati della pelle.

Nei pazienti con Deb questa proteina Ã" completamente assente o difettosa, causando il distacco tra epidermide e derma con la formazione di ferite cutanee che guariscono difficilmente e che spesso diventano croniche. Queste ferite possono portare a complicanze gravi e potenzialmente letali, come continue infezioni, sepsi e carcinomi cutanei. A causa di questa malattia, che Ã" solitamente presente alla nascita, circa il 40% dei pazienti muore entro i 20 anni e il 72% entro i 30 anni. Nei casi piÃ¹ avanzati il deterioramento della pelle porta a gravi deformitÃ , soprattutto a livello delle mani e dei piedi, alla perdita della vista e a un carcinoma a cellule squamose (un tipo di cancro della pelle) insolitamente aggressivo. Prima di VyjuvekÂ® non esistevano trattamenti curativi o disease modifying approvati in grado di ripristinare il meccanismo di cicatrizzazione delle ferite; pertanto, la gestione dei pazienti affetti da Deb si limitava a trattamenti sintomatici e alla medicazione delle ferite tramite bendaggi.

Beremagene geperpavec Ã" la prima e unica terapia genica approvata in Europa in grado di modificare la storia naturale della malattia e il suo decorso. Ã? una terapia topica che utilizza un vettore virale geneticamente modificato â?? il virus herpes-simplex di tipo 1 (Hsv-1) con deficit di replicazione â?? per far produrre alle cellule la proteina del collagene umano di tipo VII (Col7) che nei pazienti con Deb Ã" completamente assente o difettosa. Agisce quindi direttamente sulla causa della Deb ristabilendo la giunzione normalizzata tra epidermide e derma, consentendo una guarigione duratura di vesciche e ferite. Frutto della ricerca di Krystal Biotech â?? conclude la nota â?? la terapia genica Ã" stata approvato dalla Commissione europea ad aprile 2025 per il trattamento delle ferite nei pazienti con epidermolisi bollosa distrofica con mutazione/i nel gene della catena alfa 1 del collagene di tipo VII (Col7A1) dalla nascita.

â??

salute

webinfo@adnkronos.com (Web Info)

Categoria

1. Comunicati

Tag

1. Ultimora

Data di creazione

Ottobre 15, 2025

Autore

redazione