

Actualités dans les CNR 2025

MAGEC Sud Bordeaux, Montpellier, Nice, Toulouse



Nouveautés thérapeutiques

- Thérapie génique topique VYJUVEK (beremagene geperpavec) chez les patients atteints d'EBD,
- Autres thérapeutiques à venir?
 - ZEVASKYN (prademagene zamikeracel) fait à partir de cellules souches du patient, modifiées ex vivo puis cultivées en feuillets et greffées sur les plaies du patient. Accord FDA.

Clinical Trial > [Lancet](#). 2025 Jul 12;406(10499):163-173. doi: 10.1016/S0140-6736(25)00778-0.

Epub 2025 Jun 23.

Prademagene zamikeracel for recessive dystrophic epidermolysis bullosa wounds (VIITAL): a two-centre, randomised, open-label, inpatient-controlled phase 3 trial

Nouveautés thérapeutiques

- Perfusion de cellules souches issues de cordon ombilical au RU.

ARTICLES · [Online first](#), 103417, August 14, 2025 · *Open Access*

Mesenchymal stromal cell infusions of umbilical cord-derived mesenchymal stromal cells in children with recessive dystrophic epidermolysis bullosa (MissionEB): a randomised, double-blind, placebo controlled, crossover, phase 3 trial with an internal phase 1 dose de-escalation phase

[Maria L. Bageta](#)^{a,e,f} · [Pablo Lopez-Balboa](#)^{a,e,f} · [Matt Bursnall](#)^b · [Rachel Glover](#)^b · [Kate Hutchence](#)^b · [Diana Papaioannou](#)^b
· et al. [Show more](#)

Etudes en cours et à venir à Nice

- Recherche fondamentale: Anomalies pigmentaires et EBS (MH)
- Revue systématique de la littérature: MAV extra crâniennes (TH et AM)
- Etudes cliniques
- Etudes thérapeutiques
 - Institutionnelles
 - Industrielles

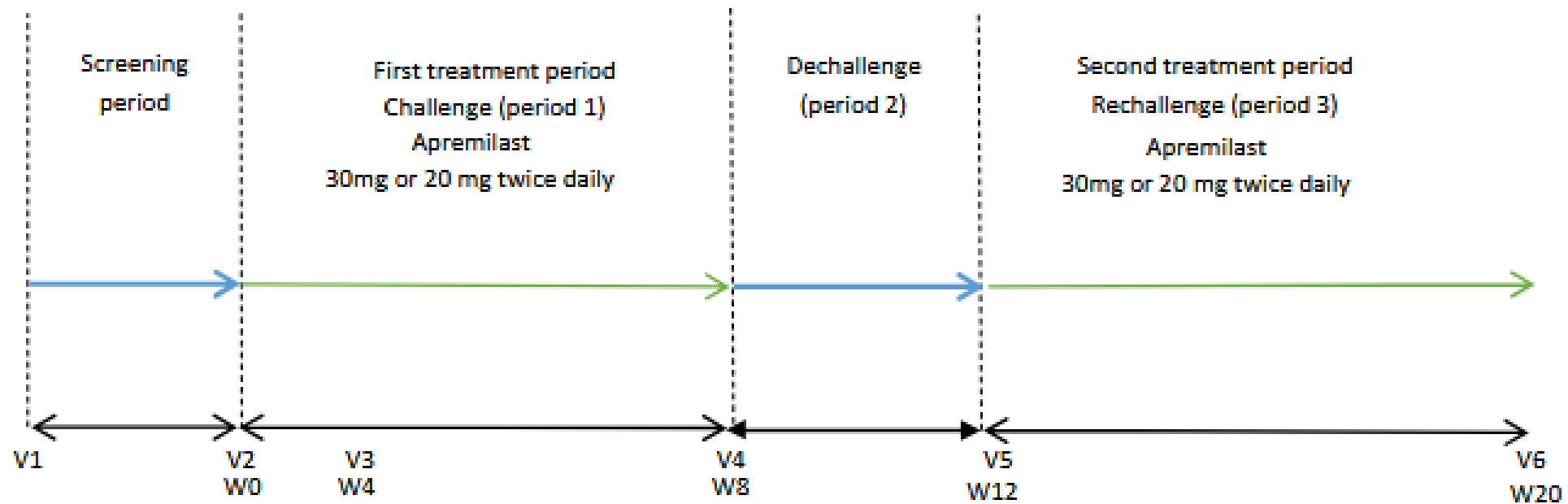
Etudes cliniques

- Médicales
 - Investigateur principal: EBUDE étude du budésonide oral chez les patients atteints d'EBDR.
 - En partenariat avec les autres CNR MAGEC Sud et Nord et la SFDP (Etude COCO, PANGAEA, CIRCLE, TTD, etc...)
- Paramédicales
 - Projet téléconsultation
 - Projet CNO

Etudes thérapeutiques

- Institutionnelles : EBULO
- Etude de l'intérêt de l'apremilast oral chez les patients de plus de 6 ans atteints d'EB généralisé.
- Etude développée à partir d'un travail clinique sur les patients atteints d'EBS, où 3 patientes avaient été traitées avec succès.
- Etude financée par DEBRA UK
- Début en juin 2025
- Objectif : 20 patients, inclus 5 sur 3 centres (St Louis, Toulouse, Nice), Necker en cours d'ouverture

- Schéma d'étude original, adapté à un faible échantillon de patients, sans placebo.
- Evaluation d'une nouvelle échelle de sévérité des patients avec forme simple d'EB.



EBASI : score				
ID	Sexe	Date de naissance :	Date du jour:	
Atteinte cutanée				
IGA 0=absent 1= faible 2= modéré 3= important 4= sévère	Tête et cou (9%)	Membres supérieurs (18%)	Tronc (36%)	Membres inférieurs (36%)
Bulles				
Erythème				
Croutes				
A score	A1	A2	A3	A4
Facteur poids (wf)	0.1	0.2	0.3	0.4
B score (A x wf)	B1 =	B2=	B3=	B4=
C score (= nombre de paumes par segment / la surface relative du segment x 100) 0= absent 1= <5 % 2=5-10 % 3=10-25% 4= 25-33% 5= 33-50%				
6= > 50%				
Regional skin score (BxC)	C1 =	C2 =	C3 =	C4=
Total = C1+C2+C3+C4= /72				

Score bulles



Score érythème



Etudes thérapeutiques

- Industrielles
 - GENEPID (ISS avec BMS): intérêt du deucravacitinib dans le traitement des patients avec génodermatoses épidermiques.
 - Etude bicentrique, ne concernant que des adultes
 - 8/10 patients inclus.
 - Echec sur ichtyoses inflammatoires, intérêt sur les patients avec EBS?
 - Rheacell: étude de l'intérêt de perfusions de cellules souches mésenchymateuses chez les patients atteints d'EBDR ou d'EBJ
 - A venir:
 - ISS en cours avec différents industriels pour repositionnement de biothérapies dans les maladies rares de la peau
 - Étude industrielle maladie de DARIER