

Santhera's AGAMREE® (Vamorolon) erhält die Zulassung in der Europäischen Union zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie

- *Europäische Kommission (EC) erteilt Marktzulassung für AGAMREE® zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab 4 Jahren*
- *AGAMREE® ist die einzige in der Europäischen Union (EU) zugelassene Therapie zur Behandlung von DMD und das erste sowohl in den USA als auch in der EU zugelassene DMD-Medikament*
- *Erste kommerzielle Markteinführung von AGAMREE® in Deutschland voraussichtlich in Q1-2024*
- *EMA erkennt Sicherheitsvorteile von AGAMREE® in Bezug auf die Erhaltung der Knochengesundheit und des Wachstums im Vergleich zu Standard-Kortikosteroiden an*

Pratteln, Schweiz, 18. Dezember 2023 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass AGAMREE® (Vamorolon) in der Europäischen Union (EU) für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab 4 Jahren zugelassen wurde, unabhängig von der zugrunde liegenden Mutation und der Gehfähigkeit. Die Europäische Arzneimittelagentur (EMA) erkannte klinisch wichtige Sicherheitsvorteile von AGAMREE im Hinblick auf die Aufrechterhaltung eines normalen Knochenstoffwechsels, einer normalen Knochendichte und eines normalen Knochenwachstums im Vergleich zu den Standardkortikosteroiden an, bei gleichzeitig ähnlicher Wirksamkeit [1]. Patienten, die von einem Standardkortikosteroid auf AGAMREE umgestellt wurden, behielten zudem den Wirksamkeitsvorteil bei, während sie ihr Wachstum und ihre Knochengesundheit wiedererlangten.

Damit ist AGAMREE® zur Behandlung von Patienten mit DMD das erste und einzige in der EU uneingeschränkt zugelassene Medikament und, nach der Zulassung durch die U.S.-amerikanische Food and Drug Administration (FDA) im Oktober, das erste sowohl in den USA als auch in der EU zugelassene Arzneimittel.

“Wir sind hocherfreut über die Zulassung von AGAMREE für Patienten in der EU, die das günstige Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil im Vergleich zu herkömmlichen Kortikosteroiden hervorhebt, einschliesslich der Vorteile für die Knochengesundheit und das Wachstum”, sagte **Dario Eklund, CEO von Santhera**. “Unser Team konzentriert sich nun darauf, sicherzustellen, dass AGAMREE den Duchenne-Patienten so bald wie möglich zur Verfügung steht, wobei die erste kommerzielle Markteinführung für Deutschland im Q1-2024 geplant ist.”

“Die World Duchenne Organization freut sich, dass die Entwicklung von AGAMREE, die schon früh von vielen Duchenne-Patienten-Organisationen bei der Finanzierung, dem Design der klinischen Studien, der Datenerhebung und der Rekrutierung massgeblich unterstützt wurde, jetzt zur ersten uneingeschränkten Marktzulassung in der Europäischen Union für die Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie geführt hat”, sagte **Elizabeth Vroom, Vorsitzende der World Duchenne Organization**.

Die Zulassung durch die Europäische Kommission stützte sich auf Daten aus der positiven VISION-DMD-Zulassungsstudie und drei offenen Studien, in denen Vamorolon in Dosierungen zwischen 2 und 6 mg/kg/Tag über eine Gesamtbehandlungsdauer von bis zu 30 Monaten verabreicht wurde. In der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie behielten die mit Vamorolon behandelten Jungen im Durchschnitt ein ähnliches Wachstum wie die mit Placebo behandelten, während bei mit Prednison behandelten Jungen im Durchschnitt ein Wachstumsrückgang zu verzeichnen war. Bei der Umstellung von Prednison auf Vamorolon nach 24 Wochen Behandlung nahmen diese Jungen bis zum Ende der Studie im Durchschnitt wieder an Grösse zu.

Im Gegensatz zu Kortikosteroiden führte Vamorolon in den klinischen Studien nach 48 Wochen weder zu einer Verringerung des Knochenstoffwechsels, gemessen durch Knochenbiomarker, noch zu einer signifikanten Verringerung der Knochenmineralisierung in der Wirbelsäule, gemessen durch Dual-Energy X-Ray Absorptiometry (DXA).

Santhera wird weiterhin Daten sammeln, um die langfristige Wirksamkeit und die breit abgestützten Sicherheitsunterschiede von Vamorolon zu charakterisieren.

Der Entscheid der Europäischen Kommission folgte auf die positive Stellungnahme des Ausschusses für Humanarzneimittel (CHMP) für AGAMREE, die am 13. Oktober 2023 bekannt gegeben wurde. Die Marktzulassung wird in allen 27 EU-Mitgliedsstaaten sowie in Island, Liechtenstein und Norwegen gültig sein, wobei Santhera die Markteinführung in Deutschland im Q1-2024 plant.

Santhera gab am 27. Oktober 2023 bekannt, dass die FDA AGAMREE als orale Suspension 40 mg/ml in den USA für die Behandlung von DMD bei Patienten ab 2 Jahren zugelassen hat. Catalyst Pharmaceuticals besitzt eine Exklusivlizenz für AGAMREE in Nordamerika und plant die Markteinführung des Produkts in den USA im Q1-2024.

Über AGAMREE® (Vamorolon)

Vamorolon ist ein neuartiges Arzneimittel mit einem Wirkmechanismus, der auf der Bindung an denselben Rezeptor wie Glukokortikoide beruht, aber dessen nachgeschaltete Aktivität modifiziert und kein Substrat für die 11- β -Hydroxysteroid-Dehydrogenase (11 β -HSD) Enzyme ist, das für die lokale Erhöhung im Gewebe und die kortikosteroid-assoziierte Toxizität in lokalen Geweben verantwortlich sein dürfte, und gilt daher als dissoziativer Entzündungshemmer [2-4]. Dieser Mechanismus hat das Potenzial, die Wirksamkeit von den Sicherheitsbedenken gegenüber Steroiden zu entkoppeln. Daher könnte Vamorolon eine Alternative zu den bestehenden Glukokortikoiden, der derzeitigen Standardtherapie für Kinder und Jugendliche mit DMD, darstellen [2-4].

In der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie erreichte Vamorolon den primären Endpunkt Geschwindigkeit der Aufstehbewegung (TTSTAND) im Vergleich zu Placebo ($p=0,002$) nach 24 Behandlungswochen und zeigte ein günstiges Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil [3]. Die am häufigsten gemeldeten unerwünschten Ereignisse im Vergleich zu Placebo aus der VISION-DMD-Studie waren cushingoides Aussehen, Erbrechen und Vitamin-D-Mangel. Unerwünschte Ereignisse waren im Allgemeinen von leichtem bis mittlerem Schweregrad.

Die derzeit verfügbaren Daten zeigen, dass Vamorolon im Gegensatz zu Kortikosteroiden das Wachstum nicht einschränkt [5] und keine negativen Auswirkungen auf den Knochenstoffwechsel hat, was durch normale Serummarker für Knochenbildung und -resorption belegt wird [6].

AGAMREE (Vamorolon) hat in den USA und in Europa den Orphan-Drug-Status für DMD erhalten und wurde von der FDA als "Fast Track" und "Rare Pediatric Disease" sowie von der britischen MHRA als "Promising Innovative Medicine" (PIM) für DMD anerkannt. Vamorolon ist derzeit von keiner Gesundheitsbehörde ausserhalb der USA für die Anwendung zugelassen.

Literaturverweise:

- [1] European public assessment report (EPAR), summary of product characteristics (SmPC)
- [2] Guglieri M et al (2022). JAMA Neurol. 2022;79(10):1005-1014. doi:10.1001/jamaneurol.2022.2480. [Link](#).
- [3] Liu X et al (2020). Proc Natl Acad Sci USA 117:24285-24293
- [4] Heier CR et al (2019). Life Science Alliance DOI: 10.26508
- [5] Ward et al., WMS 2022, FP.27 - Poster 71. [Link](#).
- [6] Hasham et al., MDA 2022 Posterpräsentation. [Link](#).

Über Duchenne-Muskeldystrophie

Die Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine seltene, durch das X-Chromosom bedingte Erbkrankheit, die fast ausschliesslich Männer betrifft. DMD ist durch eine Entzündung gekennzeichnet, die bei der Geburt oder kurz danach auftritt. Die Entzündung führt zu einer Fibrose der Muskeln und äussert sich klinisch durch fortschreitende Muskeldegeneration und -schwäche. Wichtige Meilensteine der Krankheit sind der Verlust des Gehvermögens, der Verlust der Selbsternährung, der Beginn der assistierten Beatmung und die Entwicklung einer Kardiomyopathie. DMD reduziert die Lebenserwartung aufgrund von Atem- und/oder Herzversagen bis vor dem vierten Lebensjahrzehnt. Kortikosteroide sind der derzeitige Standard für die Behandlung von DMD.

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, das sich auf die Entwicklung und Vermarktung von innovativen Medikamenten für seltene neuromuskuläre und pulmonale Erkrankungen mit hohem medizinischem Bedarf spezialisiert hat. Das Unternehmen besitzt eine exklusive Lizenz von ReveraGen für alle Indikationen weltweit für AGAMREE® (Vamorolon), ein dissoziatives Steroid mit neuartiger Wirkungsweise, das in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) als Alternative zu Standardkortikosteroiden untersucht wurde. AGAMREE für die Behandlung von DMD ist in den USA von der US-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA) und in der EU von der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) zugelassen; der Zulassungsantrag (MAA) wird derzeit von der britischen Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) geprüft. Santhera hat die Rechte an Vamorolon für Nordamerika an Catalyst Pharmaceuticals und für China an Sperogenix Therapeutics auslizenziert. Die klinische Pipeline umfasst auch Lonodelestat zur Behandlung von zystischer Fibrose (CF) und anderen neutrophilen Lungenkrankheiten. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.santhera.de.

AGAMREE® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

public-relations@santhera.com oder

Eva Kalias, Head Investor Relations & Communications

Tel.: +41 79 875 27 80

eva.kalias@santhera.com

Haftungsausschluss / Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Mitteilung stellt weder ein Angebot noch eine Aufforderung zur Zeichnung oder zum Kauf von Wertpapieren der Santhera Pharmaceuticals Holding AG dar. Diese Publikation kann bestimmte zukunftsgerichtete Aussagen über das Unternehmen und seine Geschäftstätigkeit enthalten. Solche Aussagen sind mit bestimmten Risiken, Unsicherheiten und anderen Faktoren verbunden, die dazu führen können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die Finanzlage, die Leistungen oder Errungenschaften des Unternehmens wesentlich von denjenigen abweichen, die in solchen Aussagen zum Ausdruck gebracht oder impliziert werden. Die Leser sollten sich daher nicht in unangemessener Weise auf diese Aussagen verlassen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit Verträgen oder Investitionsentscheidungen. Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung ab, diese zukunftsgerichteten Aussagen zu aktualisieren.

###