

Santhera lanciert AGAMREE® (Vamorolon) in Deutschland als erstem Markt für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie

- *AGAMREE® ist das einzige in der Europäischen Union (EU) zugelassene Medikament zur Behandlung von allen Patienten ab 4 Jahren mit DMD und die erste DMD-Behandlung, die in allen drei Regionen (USA, EU, UK) zugelassen ist*
- *Dies ist die erste kommerzielle Einführung von AGAMREE® weltweit*

Pratteln, Schweiz, 15. Januar 2024 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt die Markteinführung von AGAMREE® (Vamorolon) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab dem Alter von 4 Jahren, unabhängig von der zugrundeliegenden Mutation und der Gehfähigkeit, in Deutschland bekannt.

AGAMREE® das erste und einzige in der EU uneingeschränkt zugelassene Arzneimittel für DMD und, nach der Zulassung in den USA im Oktober letzten Jahres und im vereinigten Königreich (UK) in der vergangenen Woche, ist es die erste zugelassene Behandlung für Patienten mit dieser Krankheit in allen drei Gebieten.

“Wir freuen uns sehr, dass AGAMREE nun in Deutschland, dem ersten Land weltweit, für die Behandlung von DMD im Markt verfügbar ist”, sagte **Dario Eklund, CEO von Santhera**. “Dieser wichtige Meilenstein steht für Santhera’s Engagement, dem medizinischen Bedarf bei DMD nachzukommen und eine sichere und wirksame Behandlung für DMD-Patienten anzubieten. Für Santhera markiert diese Einführung einen bedeutenden Fortschritt, da das Unternehmen nun in die Phase der Kommerzialisierung eintritt. Parallel dazu, arbeiten wir weiter an der eigenen stufenweisen Markteinführung in den grossen europäischen Ländern und sind in Diskussion mit Vertriebspartnern für andere Regionen.”

Silvia Hornkamp, Geschäftsführung von der Deutschen Duchenne-Stiftung, kommentierte: “Wir freuen uns, dass Santhera seit so vielen Jahren immer wieder in die Duchenne Forschung investiert hat. Nun ist es soweit—mit dem neuen Medikament AGAMREE können Patienten, die an Duchenne-Muskeldystrophie erkrankt sind, mit einer nebenwirkungsarmen Alternative zu Steroiden versorgt werden. Es ist ein Gewinn für unsere erkrankten Kinder, die bisher aufgrund der dauerhaften Steroid Einnahme mit vielen Nebenwirkungen belastet sind.”

Diese Markteinführung folgt der Zulassung von AGAMREE® durch die Europäische Kommission am 18. Dezember 2023 für alle 27 EU-Mitgliedstaaten sowie Island, Liechtenstein und Norwegen. Im Rahmen der Zulassung anerkannte die Europäische Arzneimittelagentur (EMA) 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, bei gleichzeitig ähnlicher Wirksamkeit. Patienten, die mit AGAMREE oder Placebo behandelt wurden, zeigten ein normales und vergleichbares Wachstum, während bei Kindern, die mit Prednison behandelt wurden, Wachstumsverzögerungen beobachtet wurden. Zudem behielten Patienten, die von einem Standardkortikosteroid auf AGAMREE umgestellt wurden, den Wirksamkeitsvorteil bei, während sie ihr Wachstum und ihre Knochengesundheit wiedererlangten.

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

Weitere Informationen über AGAMREE in der Europäischen Union finden Sie in der [Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels \(SmPC\)](#) [1].

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 (11β-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 in den USA, Europa und in UK für die Anwendung zugelassen.

Literaturverweise:

- [1] Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels (SmPC). [Deutsch](#). [English](#).
- [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), in der EU von der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) und im Vereinigten Königreich von der Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) zugelassen. 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.

###