

## **Santhera informiert über den kommerziellen Rollout von AGAMREE®**

**Pratteln, Schweiz, 16. April 2025 - Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt den neuesten Fortschritt beim kommerziellen Rollout von AGAMREE® zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bekannt.**

Für AGAMREE zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) stehen nun finanzielle Mittel des National Health Service (NHS) England zur Verfügung, sodass die Verschreibung in England beginnen kann. Dies folgt auf die positive endgültige Empfehlung von NICE (National Institute for Health and Care Excellence) für AGAMREE, die am [16. Januar 2025](#) bekannt gegeben wurde, und auf die ersten Verkäufe, die bereits in Schottland und Wales erzielt wurden.

Darüber hinaus gibt Santhera bekannt, dass Kye Pharmaceuticals, Sublizenznehmer seines Vermarktungspartners Catalyst Pharmaceuticals, von Health Canada die Genehmigung für die Einreichung des Zulassungsantrags für AGAMREE mit beschleunigter Prüfung erhalten hat. Dies ebnet möglicherweise den Weg dafür, dass die Therapie bis Ende 2025 die erste zugelassene Behandlung für DMD in Kanada wird.

**Dario Eklund, CEO von Santhera, sagte:** "Ich freue mich, die neuesten Fortschritte bei der Markteinführung von AGAMREE bekannt zu geben, insbesondere im Vereinigten Königreich, wo ein erheblicher Teil unserer klinischen Studien durchgeführt wurde. Diese Studienzentren spielten eine Schlüsselrolle bei der Generierung der Daten zur Unterstützung der Zulassung. Wir sind stolz darauf, dass dieser Meilenstein den Zugang für Patienten in England, die mit DMD leben, ermöglicht."

### **Über AGAMREE® (Vamorolon)**

AGAMREE ist ein neuartiges Arzneimittel mit einem Wirkmechanismus, der auf der Bindung an denselben Rezeptor wie Glukokortikoide beruht, jedoch dessen nachgeschaltete Aktivität modifiziert. Zudem ist es kein Substrat für die 11- $\beta$ -Hydroxysteroid-Dehydrogenase (11 $\beta$ -HSD) Enzyme, die für lokal erhöhte Wirkstoffspiegel und die kortikosteroid-assoziierte Toxizität in lokalen Geweben verantwortlich sein dürften [1-4]. Dieser Mechanismus hat das Potenzial, die Wirksamkeit von den Sicherheitsbedenken gegenüber Steroiden zu entkoppeln, weshalb AGAMREE als dissoziativer Entzündungshemmer und Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden, der derzeitigen Standardtherapie für Kinder und Jugendliche mit DMD, positioniert ist [1-4].

In der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie erreichte AGAMREE den primären Endpunkt Geschwindigkeit der Aufstehbewegung (TTSTAND) im Vergleich zu Placebo ( $p=0,002$ ) nach 24 Behandlungswochen und zeigte ein günstiges Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil [1, 4]. Die am häufigsten gemeldeten Nebenwirkungen waren cushingoides Aussehen, Erbrechen, Gewichtszunahme und Reizbarkeit. Im Allgemeinen waren die Nebenwirkungen von leichtem bis mittlerem Schweregrad.

Die derzeit verfügbaren Daten zeigen, dass AGAMREE 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].

▼ *Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dadurch können neue Informationen über die Sicherheit schnell ermittelt werden. Gesundheitsfachleute werden gebeten, alle vermuteten Nebenwirkungen zu melden.*

Referenzen:

- [1] Dang UJ et al. (2024) Neurology 2024;102:e208112. doi.org/10.1212/WNL.0000000000208112. [Link](#).
- [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 Poster presentation. [Link](#).

### **Über die Duchenne-Muskeldystrophie**

Die Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine seltene, erbliche, X-chromosomale Erkrankung, die fast ausschließlich Männer betrifft. DMD ist durch eine Entzündung gekennzeichnet, die bei der Geburt oder kurz danach auftritt. Die Entzündung führt zur Fibrose der Muskeln und äußert sich klinisch durch eine fortschreitende Muskeldegeneration und -schwäche. Wichtige Meilensteine der Krankheit sind der Verlust der Gehfähigkeit, der Verlust der Selbstfütterung, der Beginn der assistierten Beatmung und die Entwicklung einer Kardiomyopathie. DMD verringert die Lebenserwartung bis vor das vierte Jahrzehnt aufgrund von Atemwegs- und/oder Herzversagen. Kortikosteroide sind der aktuelle Standard der Behandlung für DMD.

### **Über Santhera**

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein Schweizer Spezialpharmaunternehmen, das sich auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für seltene neuromuskuläre Erkrankungen mit hohem ungedecktem medizinischem Bedarf konzentriert. Das Unternehmen hat eine exklusive Lizenz von ReveraGen für alle Indikationen weltweit für AGAMREE® (Vamorolone), ein dissoziatives Steroid mit neuartigem Wirkmechanismus, das in einer entscheidenden Studie an Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) als Alternative zu Standard-Kortikosteroiden untersucht wurde. AGAMREE zur Behandlung von DMD ist in den USA von der Food and Drug Administration (FDA), in der EU von der European Medicines Agency (EMA), im Vereinigten Königreich von der Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA), in China von der National Medical Products Administration (NMPA) und in Hongkong von der Department of Health (DoH) zugelassen. Santhera hat die Rechte an AGAMREE für Nordamerika an Catalyst Pharmaceuticals und für China und bestimmte Länder in Südostasien an Sperogenix Therapeutics lizenziert. Weitere Informationen finden Sie unter [www.santhera.com](http://www.santhera.com).

AGAMREE® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.

### **Für weitere Informationen kontaktieren Sie bitte:**

Catherine Isted, Chief Financial Officer:  
ICR Healthcare:

[IR@santhera.com](mailto:IR@santhera.com)  
[Santhera@icrhealthcare.com](mailto:Santhera@icrhealthcare.com)

**Haftungsausschluss / zukunftsgerichtete Aussagen**

Diese Mitteilung stellt kein Angebot oder eine Aufforderung zur Zeichnung oder zum Kauf von Wertpapieren der Santhera Pharmaceuticals Holding AG dar. Diese Veröffentlichung kann bestimmte zukunftsgerichtete Aussagen über das Unternehmen und sein Geschäft enthalten. Solche Aussagen beinhalten bestimmte Risiken, Unsicherheiten und andere Faktoren, die dazu führen könnten, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die finanzielle Lage, die Leistung oder die Erfolge des Unternehmens erheblich von den in solchen Aussagen zum Ausdruck gebrachten oder implizierten abweichen. Leser sollten daher diesen Aussagen keine unangemessene Bedeutung beimessen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit einer Vertrags- oder Investitionsentscheidung. Das Unternehmen lehnt jegliche Verpflichtung zur Aktualisierung dieser zukunftsgerichteten Aussagen ab.

###