

ReveraGen und Santhera geben FDA-Orphan-Finanzierungszuschuss für klinische Studie mit Vamorolone bei Becker-Muskeldystrophie bekannt

Rockville, MD, USA, und Pratteln, Schweiz, 27. September 2022 – ReveraGen Biopharma und Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) geben bekannt, dass ReveraGen von der FDA im Rahmen ihres Förderprogramms "Clinical Studies of Orphan Products Addressing Unmet Needs of Rare Diseases (R01)" einen Zuschuss in Höhe von USD 1,2 Millionen erhalten hat. Diese Fördermittel ergänzen die bestehenden Zuschüsse der National Institutes of Health, NIAMS und der Foundation to Eradicate Duchenne, um eine klinische Studie mit Vamorolone bei Erwachsenen und Kindern mit Becker-Muskeldystrophie, einer der Duchenne-Muskeldystrophie ähnlichen aber milderen Form von progressivem Muskelschwund, zu beginnen.

Vamorolone, ein dissoziatives Steroidpräparat, welches bei Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) Langzeitwirksamkeit bei geringeren Kortikosteroid-typischen Sicherheitsbedenken zeigte, wird nun in einer 24-wöchigen klinischen explorativen Studie bei Becker-Muskeldystrophie (BMD) getestet.) BMD wird durch Mutationen des DMD-Gens verursacht, weist aber einen Rest von Dystrophin-Protein in den Muskeln auf und zeigt ein unterschiedliches Auftreten und Fortschreiten der Muskelschwäche. Die Doppelblindstudie wird die Wirksamkeit und Sicherheit einer täglichen Verabreichung von Vamorolone in Bezug auf motorische Funktionen und etablierte Biomarker testen, wobei die Teilnehmer im Verhältnis 2:1 randomisiert Vamorolone oder Placebo erhalten. Die klinische Studie soll an Standorten in Padua (Italien) und Pittsburgh (USA) durchgeführt werden.

“Es gibt derzeit in keinem Land zugelassene Medikamente für BMD und es besteht ein hoher ungedeckter Bedarf”, sagte **Paula Clemens, MD, Professor an der University of Pittsburgh School of Medicine** und Co-Principal Investigator im Rahmen der Auszeichnungen der FDA, der NIH und der Foundation.

Die Wirkmechanismen von Vamorolone, die der Wirksamkeit in der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie bei der schwerwiegenderen DMD zugrunde liegen, dürften auch für die BMD von grosser Bedeutung sein. Ausserdem wird angenommen, dass Vamorolone die Dystrophin-Protein-Konzentration in BMD über die Hemmung von microRNAs erhöht, die ihrerseits das Dystrophin schädigen, und dies könnte den Wirkmechanismus speziell bei BMD ergänzen [1-3].

“Während die Entwicklungspipeline für DMD in den letzten Jahren stark erweitert wurde, gibt es nur sehr wenige klinische Studien für BMD”, sagte **Elena Pegoraro, MD, PhD, Professor of Neurology an der University of Padova, Italien**. “Kortikosteroide werden von Patienten mit BMD aufgrund ihrer Nebenwirkungen oft nicht vertragen, und die geringere Nebenwirkungsbelastung von Vamorolone, die in DMD-Studien beobachtet wurde, könnte sich für die unterversorgte BMD-Patientengemeinschaft als wichtig erweisen”, fuhr sie fort.

“Die Foundation to Eradicate Duchenne freut sich, das Vamorolone-Programm auch für Patienten mit BMD unterstützen zu können”, sagte **Joel Wood, Präsident der Foundation to Eradicate Duchenne**.

Vamorolone wurde von der US-amerikanischen ReveraGen BioPharma, Inc. entdeckt und wird in Zusammenarbeit mit Santhera entwickelt, die die weltweiten Rechte an dem Medikamentenkandidaten für alle Indikationen besitzt.

Über Vamorolone

Vamorolone ist der erste Medikamentenkandidat seiner Klasse, der an denselben Rezeptor wie Kortikosteroide bindet, aber dessen nachgeschaltete Aktivität modifiziert und somit ein dissoziativer partieller Agonist ist [4-6]. Dieser Mechanismus hat das Potenzial, die Wirksamkeit von den typischen Sicherheitsbedenken gegenüber Steroiden zu entkoppeln. Daher könnte sich Vamorolone als vielversprechende Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden erweisen, die derzeit die Standardtherapie für Kinder und Jugendliche mit DMD darstellen. In vielen Patientengruppen, in denen Kortikosteroide zur Standardbehandlung gehören oder therapeutisch vielversprechend sind, besteht ein erheblicher ungedeckter medizinischer Bedarf, aber die Nebenwirkungen schränken die Verschreibung und die Therapietreue der Patienten ein. Die Einreichung des US-Zulassungsantrags für DMD wird für Q1-2022 erwartet. Vamorolone hat in den USA und in Europa für DMD den Status eines Arzneimittels für seltene Krankheiten (Orphan Drug) erhalten und wurde von der US-amerikanischen FDA als Fast Track und Rare Pediatric Disease sowie von der britischen MHRA als Promising Innovative Medicine (PIM) für DMD eingestuft.

Referenzen:

- [1] Hoffman EP. Causes of clinical variability in Duchenne and Becker muscular dystrophies and implications for exon skipping therapies. *Acta Myol.* 2020 Dec 1;39(4):179-186. doi: 10.36185/2532-1900-020. PMID: 33458572; PMCID: PMC7783439.
- [2] Kinder TB, Heier CR, Tully CB, Van der Muelen JH, Hoffman EP, Nagaraju K, Fiorillo AA. Muscle Weakness in Myositis: MicroRNA-Mediated Dystrophin Reduction in a Myositis Mouse Model and Human Muscle Biopsies. *Arthritis Rheumatol.* 2020 Jul;72(7):1170-1183. doi: 10.1002/art.41215. Epub 2020 May 31. PMID: 32009304; PMCID: PMC7384101.
- [3] Fiorillo AA, Heier CR, Novak JS, Tully CB, Brown KJ, Uaesoontrachoon K, Vila MC, Ngheim PP, Bello L, Kornegay JN, Angelini C, Partridge TA, Nagaraju K, Hoffman EP. TNF- α -Induced microRNAs Control Dystrophin Expression in Becker Muscular Dystrophy. *Cell Rep.* 2015 Sep 8;12(10):1678-90. doi: 10.1016/j.celrep.2015.07.066. Epub 2015 Aug 28. PMID: 26321630; PMCID: PMC4757433.
- [6] Heier CR et al. (2013). *EMBO Mol Med* 5: 1569–1585.
- [7] Reeves EKM, et al (2013). *Bioorg Med Chem* 21(8):2241-2249.
- [8] Liu X, et al. (2020). *Proc Natl Acad Sci USA* 117:24285-24293.

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 konzentriert. Santhera verfügt über eine exklusive Lizenz für alle Indikationen weltweit für Vamorolone, ein erstes dissoziatives Steroid mit neuartiger Wirkungsweise, das in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit DMD als Alternative zu Standardkortikosteroiden untersucht wurde. Die klinische Pipeline umfasst auch Lonodelestat (POL6014) zur Behandlung von Mukoviszidose (CF) und anderen neutrophilen Lungenkrankheiten sowie einen explorativen Gentherapie-Ansatz zur Behandlung von kongenitalen Muskeldystrophien. Santhera hat die Rechte an ihrem ersten zugelassenen Produkt, Raxone® (Idebenone), ausserhalb von Nordamerika und Frankreich zur Behandlung der Leber hereditären Optikusneuropathie (LHON) an die Chiesi Gruppe auslizenziiert. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.santhera.com.

Raxone® ist eine Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Über ReveraGen BioPharma

ReveraGen wurde 2008 gegründet, um erstklassige dissoziative steroidale Medikamente für Duchenne-Muskeldystrophie und andere chronische Entzündungskrankheiten zu entwickeln. Die Entwicklung von ReveraGens Leitsubstanz Vamorolone wurde durch Partnerschaften mit Stiftungen weltweit unterstützt, darunter die Muscular Dystrophy Association USA, Parent Project Muscular Dystrophy, Foundation to Eradicate Duchenne, Save Our Sons, JoiningJack, Action Duchenne, CureDuchenne, Ryan's Quest, Alex's Wish, DuchenneUK, Pietro's Fight, Michael's Cause, Duchenne Research Fund und Jesse's Journey. ReveraGen hat auch grosszügige Unterstützung vom US-Verteidigungsministerium CDMRP, den National Institutes of Health (NCATS, NINDS, NIAMS) und der Europäischen Kommission (Horizons 2020) erhalten. www.reveragen.com

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

Santhera

Santhera Pharmaceuticals Holding AG, Hohenrainstrasse 24, CH-4133 Pratteln
public-relations@santhera.com oder
Eva Kalias, Head External Communications
Telefon: +41 79 875 27 80
eva.kalias@santhera.com

ReveraGen BioPharma

Eric Hoffman, PhD, President und CEO
Telefon: + 1 240-672-0295
eric.hoffman@reveragen.com

Disclaimer / Forward-looking statements

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 Geschäftsaktivitäten enthalten. Solche Aussagen beinhalten bestimmte Risiken, Unsicherheiten und andere Faktoren, die dazu führen können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die finanzielle Lage, der Leistungsausweis oder die Zielerreichung des Unternehmens wesentlich von den in diesen Aussagen ausgedrückten oder implizierten Erwartungen abweichen. Die Leser sollten sich daher nicht in unangemessener Weise auf diese Aussagen verlassen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit einer Vertrags- oder Investitionsentscheidung. Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung zur Aktualisierung dieser Aussagen ab.

###