

Santhera gibt Veröffentlichung von Daten zur Wirksamkeit, Sicherheit und Verträglichkeit von Vamorolon (AGAMREE®) bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie in *Neurology* bekannt

- *Die Resultate von 112 DMD-Patienten über die Studiendauer von 48 Wochen bestätigen die Aufrechterhaltung der Wirksamkeit und die Vorteile bei Sicherheit und Verträglichkeit der Behandlung mit Vamorolon*
- *AGAMREE® hat bei Patienten, die von der Standardbehandlung mit Kortikosteroiden umgestellt wurden, Sicherheitsvorteile in Bezug auf die Wiederherstellung der Knochengesundheit und des Wachstums gezeigt*
- *Im Rahmen von klinischen Studien und Zugangsprogrammen wurden inzwischen mehr als 200 Patienten bis zu 84 Monate lang mit Vamorolon behandelt*
- *AGAMREE® ist das einzige in der Europäischen Union (EU) zugelassene Medikament zur Behandlung aller DMD-Patienten ab einem Alter von 4 Jahren [1] und die erste in den USA, der EU und Grossbritannien zugelassene DMD-Therapie*

Pratteln, Schweiz, 14. Februar 2024 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt die Veröffentlichung der Publikation "*Efficacy and Safety of Vamorolone Over 48 Weeks in Boys With Duchenne Muscular Dystrophy*" in der Fachzeitschrift *Neurology* [2] bekannt. Die Veröffentlichung berichtet über die Ergebnisse der 48-wöchigen Behandlung mit Vamorolon bei Patienten mit DMD in der VISION-DMD Studie. Sie bestätigt das langfristige Wirksamkeits- und Sicherheitsprofil sowie die im Allgemeinen gute Verträglichkeit von Vamorolon, in Übereinstimmung mit den Studienergebnissen nach 24 Wochen, die zuvor in *JAMA Neurology* [3] veröffentlicht wurden.

Die Veröffentlichung in *Neurology* besagt:

“Vamorolon ist ein dissoziatives Kortikosteroid, das selektiv an den Glukokortikoidrezeptor bindet und im Vergleich zu Prednison bei Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) eine ähnliche Wirksamkeit und geringere Sicherheitsbedenken gezeigt hat [3]. Diese Studie [VISION-DMD] wurde durchgeführt, um die Wirksamkeit und Sicherheit von Vamorolon über einen Zeitraum von 48 Wochen zu beurteilen und um Crossover-Teilnehmer zu untersuchen (Prednison zu Vamorolon; Placebo zu Vamorolon).

Insgesamt wurden 121 Teilnehmer mit DMD randomisiert. Vamorolon in einer Dosis von 6 mg/kg/d zeigte eine anhaltende Verbesserung für alle motorischen Messparameter bis Woche 48 (z.B. für den primären Endpunkt, der Geschwindigkeit der Aufstehbewegung [TTSTAND], in Woche 24 0,052 Aufstehbewegungen/Sekunde [kleinster quadratischer Mittelwert/LSM, Standardabweichung/SE 0,0130] gegenüber LSM 0,0446 [SE 0,0138] in Woche 48). Nach 48 Wochen zeigte Vamorolon in einer Dosis von 2 mg/kg/d ähnliche Verbesserungen wie 6 mg/kg/d für das North Star Ambulatory Assessment (NSAA) (Vamorolon 6 mg/kg/d-Vamorolon 2 mg/kg/d LSM [SE] 0,49 [1,14]; 95% CI -1,80 bis 2,78, p=0,67), aber weniger Verbesserungen für andere motorische Ergebnisse. Die Placebo-zu-Vamorolon wechselnde Gruppe (6 mg/kg/d) zeigte nach 20 Behandlungswochen rasche Verbesserungen, die sich dem Nutzen einer 48-wöchigen 6 mg/kg/d-Vamorolon-Behandlung für TTSTAND, Zeit zum Laufen/Gehen über 10 m und NSAA annäherten. Nach der Umstellung von Prednison auf 6 mg/kg/d Vamorolon kam es bei diesen

Patienten zu einer signifikanten Verbesserung des linearen Wachstums, und zu einer raschen Umkehrung des Prednison-induzierten Rückgangs der Biomarker für den Knochenumsatz in beiden Umstellungsgruppen. Nach 24 Behandlungswochen kam es zu einem Anstieg des BMI, der sich dann in beiden Vamorolon-Gruppen stabilisierte.

Die Verbesserungen der motorischen Ergebnisse, die mit 6 mg/kg/d Vamorolon nach 24 Behandlungswochen beobachtet wurden, blieben auch nach 48 Behandlungswochen erhalten. Vamorolon in einer Dosis von 6 mg/kg/d zeigte eine bessere Aufrechterhaltung der Wirkung im Vergleich zu Vamorolon in einer Dosis von 2 mg/kg/d für die meisten (3/5) motorischen Ergebnisse. Die knochenschädigenden Wirkungen von Prednison (Wachstumsverzögerung und Rückgang der Knochenbiomarker im Serum) waren reversibel, nachdem die Behandlung auf Vamorolon umgestellt wurde.“

AGAMREE® ist das erste und einzige Arzneimittel für DMD, das in der EU uneingeschränkt zugelassen wurde. Nach der Zulassung in den USA im vergangenen Oktober und in Grossbritannien im Januar ist es die erste zugelassene Behandlung für Patienten mit dieser Krankheit in allen drei Gebieten.

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 [3-5]. 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 [3-5].

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 [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 Vamorolon im Gegensatz zu Kortikosteroiden das Wachstum nicht einschränkt [6] und keine negativen Auswirkungen auf den Knochenstoffwechsel hat, was durch normale Serummarker für Knochenbildung und -resorption belegt wird [7].

AGAMREE (Vamorolon), ein Arzneimittel für seltene Leiden, ist in den USA ([prescribing information](#)), der Europäischen Union ([Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels](#)) und im Vereinigten Königreich für die Anwendung zugelassen.

Literaturverweise:

- [1] Geltende Arzneimittelkennzeichnung: Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels (SmPC). [Deutsch](#). [English](#).
- [2] Dang UJ et al. (2024) *Neurology* 2024;102:e208112. doi.org/10.1212/WNL.0000000000208112. [Link](#).
- [3] Guglieri M et al (2022). *JAMA Neurol.* 2022;79(10):1005-1014. doi:10.1001/jamaneurol.2022.2480. [Link](#).
- [4] Liu X et al (2020). *Proc Natl Acad Sci USA* 117:24285-24293
- [5] Heier CR et al (2019). *Life Science Alliance* DOI: 10.26508
- [6] Ward et al., WMS 2022, FP.27 - Poster 71. [Link](#).
- [7] 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.

###