

Santhera und ReveraGen geben Dosisverabreichung von Vamorolone an ersten Studienteilnehmer mit Becker-Muskeldystrophie in FDA-finanzierter Phase-2-Pilotstudie bekannt

Pratteln, Schweiz, und Rockville, MD, USA, 22. August 2022 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) und ReveraGen BioPharma, Inc. geben bekannt, dass der erste Patient in einer Phase-2-Pilotstudie zur Untersuchung von Vamorolone bei Becker-Muskeldystrophie (BMD), die von der U.S.-amerikanischen Gesundheitsbehörde (FDA) finanziert wird, behandelt wurde.

Bei dieser Phase-2-Pilotstudie handelt es sich um eine randomisierte, doppelblinde, Placebo-kontrollierte Studie zur Untersuchung der Sicherheit, Verträglichkeit und explorativen klinischen Wirkung auf motorische Funktionen von Vamorolone im Vergleich zu Placebo über einen Behandlungszeitraum von 24 Wochen bei 39 Männern (im Alter von ≥ 18 und < 65 Jahren) mit BMD (ClinicalTrials.gov id: NCT05166109). Die Teilnehmer werden in zwei Gruppen randomisiert, die im Verhältnis 2:1 entweder Vamorolone 500 mg (250 mg bei einem Körpergewicht < 50 kg) täglich oder Placebo erhalten. Die klinische Studie soll an Standorten in Pittsburgh (USA) und Padua (Italien) durchgeführt werden.

Die Studie wird durch ein Fördergeld der FDA in Höhe von USD 1,2 Millionen im Rahmen ihres Programms "Clinical Studies of Orphan Products Addressing Unmet Needs of Rare Diseases (R01)" finanziert. Der Beitrag ergänzt die bestehenden Zuschüsse der National Institutes of Health (NIH) - National Institute of Arthritis and Musculoskeletal and Skin Diseases (NIAMS) und der Foundation to Eradicate Duchenne zur Durchführung einer klinischen Studie mit Vamorolone bei Erwachsenen mit BMD.

“Es gibt derzeit in keinem Land zugelassene Therapien für BMD und weder in den USA noch in Europa befinden sich Medikamente für diese Indikation in der klinischen Entwicklung”, sagte **Eric Hoffman, PhD, President und CEO von ReveraGen BioPharma**. “Vamorolone hat in der pivotalen VISION-DMD-Studie bei Duchenne-Muskeldystrophie (DMD), einer schwereren, aber verwandten Krankheit, Wirksamkeit gezeigt, und auf der Grundlage dieser Ergebnisse und seines Wirkmechanismus könnte dieses Entwicklungspräparat einen Nutzen bei BMD zeigen.”

“Für die Behandlung von BMD gibt es keine Standardempfehlungen, obwohl ein hoher ungedeckter medizinischer Bedarf besteht, und etwa einem Fünftel der BMD-Patienten werden Steroide in chronischer Dosierung verabreicht, die oft nicht gut vertragen werden”, sagte **Shabir Hasham, MD, Chief Medical Officer und Head Global Medical Affairs von Santhera**. “Vamorolone könnte einige wichtige Sicherheitsbedenken ansprechen, die zu einer schlechten Verträglichkeit oder einem frühzeitigen Abbruch der Behandlung führen, und könnte somit einen neuen therapeutischen Ansatz für die Behandlung von BMD als chronische Therapie darstellen.”

“Es hat sich gezeigt, dass Vamorolone auf Dystrophin ausgerichtete microRNAs unterdrückt und damit das Potential hat, den Dystrophinspiegel im BMD-Muskel zu erhöhen”, sagte **Paula Clemens, MD, University of Pittsburgh School of Medicine** und Leiterin dieser Studie.

BMD, die zweithäufigste fortschreitende Muskelschwundkrankheit, ähnelt der DMD, verläuft aber meist milder. Sie wird durch dieselben Dystrophin-Genmutationen (Allelmutationen) wie DMD verursacht, zeigt aber einen Rest von Dystrophin-Protein im Muskel und einen variablen Beginn und Verlauf der Muskelschwäche. Zusätzliche Hinweise auf einen möglichen Nutzen von Vamorolone bei BMD basieren auf Studien an Mausmodellen, in denen Vamorolone die Dystrophin-Konzentration über die Unterdrückung von entzündungsbedingten microRNA-Signalwegen erhöhte. Auf dieser Grundlage wird erwartet, dass Vamorolone die Dystrophin-Konzentration im Muskel von BMD-Patienten erhöhen könnte [1-3].

Über Vamorolone

Vamorolone ist ein Arzneimittelkandidat mit einem Wirkmechanismus, der an denselben Rezeptor wie Kortikosteroide bindet, aber dessen nachgeschaltete Aktivität modifiziert und daher als dissoziatives entzündungshemmendes Medikament gilt [4-7]. 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 der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie erreichte Vamorolone den primären Endpunkt Zeit bis zum Aufstehen (TTSTAND velocity) im Vergleich zu Placebo ($p=0,002$) nach 24 Behandlungswochen und zeigte ein gutes Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil. Die in der VISION-DMD-Studie im Vergleich zu Placebo am häufigsten gemeldeten unerwünschten Ereignisse waren cushingoide Merkmale, Erbrechen und Vitamin-D-Mangel. Die unerwünschten Ereignisse waren in der Regel von leichtem bis mittlerem Schweregrad.

Santhera erwartet, die schrittweise Zulassungseinreichung für Vamorolone bei DMD bei der U.S.-amerikanischen FDA im vierten Quartal 2022 abzuschliessen. Vamorolone hat in den USA und in Europa den Orphan-Drug-Status für DMD erhalten und wurde von der U.S. FDA als "Fast Track" und "Rare Pediatric Disease" sowie von der britischen MHRA als "Promising Innovative Medicine" (PIM) für DMD anerkannt. Vamorolone ist ein Prüfpräparat und derzeit von keiner Gesundheitsbehörde für die Anwendung zugelassen.

Referenzen:

- [1] Hoffman EP (2020). Acta Myol. 2020 Dec 1;39(4):179-186. doi: 10.36185/2532-1900-020
- [2] Kinder TB et al (2020). Arthritis Rheumatol. 2020 Jul; 72(7):1170-1183. doi: 10.1002/art.41215
- [3] Fiorillo AA et al (2015). Cell Rep. 2015 Sep 8;12(10):1678-90. doi: 10.1016/j.celrep.2015.07.066
- [4] Mah JK et al (2022). JAMA Netw Open. 2022;5(1):e2144178. doi:10.1001/jamanetworkopen.2021.44178
- [5] Guglieri, et al (2022) JAMA. doi:10.1001/jama.2022.4315
- [6] Heier CR et al (2019). Life Science Alliance DOI: 10.26508
- [7] 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 besitzt eine exklusive Lizenz für alle Indikationen weltweit für Vamorolone, ein dissoziatives Steroid mit neuartiger Wirkungsweise, das in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit DMD als Alternative zu Standardkortikosteroiden untersucht wurde. Das Unternehmen plant, den Zulassungsantrag für Vamorolone im vierten Quartal 2022 bei der US-Zulassungsbehörde FDA einzureichen. Die klinische

Santhera und ReveraGen geben Dosisverabreichung von Vamorolone an ersten Studienteilnehmer mit Becker-Muskeldystrophie in FDA-finanzierter Phase-2-Pilotstudie bekannt
22. August 2022 / Seite 3 von 3

Pipeline umfasst auch Lonodelestat zur Behandlung von zystischer Fibrose (CF) und anderen neutrophilen Lungenkrankheiten. Santhera hat die Rechte an ihrem ersten zugelassenen Produkt, Raxone® (Idebenone), ausserhalb Nordamerikas und Frankreichs zur Behandlung der hereditären Leberschen 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 Defeat Duchenne Canada. 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 Investor Relations & Communications
Telefon: +41 79 875 27 80
eva.kalias@santhera.com

ReveraGen BioPharma

Eric Hoffman, PhD, President and CEO
Telefon: + 1 240-672-0295
eric.hoffman@reveragen.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 diesen Aussagen ausgedrückt 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.

###