

Ad-hoc-Mitteilung gemäss Art. 53 KR

## **Santhera und ReveraGen schliessen Einreichung des NDA-Zulassungsantrags bei der FDA für Vamorolone bei Duchenne-Muskeldystrophie ab**

**Pratteln, Schweiz, und Rockville, MD, USA, 27. Oktober 2022 - Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) und ReveraGen BioPharma, Inc. geben bekannt, dass sie die schrittweise Einreichung des Zulassungsantrags (NDA) bei der U.S.-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA) für Vamorolone zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) abgeschlossen haben. Vorbehältlich der Genehmigung soll Vamorolone den Patienten in den USA im H2-2023 zur Verfügung stehen.**

Im Zentrum des NDA-Antrags stehen positive Daten aus der zulassungsrelevanten Phase-2b-Studie VISION-DMD, die (1) einen 24-wöchigen Zeitraum zum Nachweis der Wirksamkeit und Sicherheit von Vamorolone (2 und 6 mg/kg/Tag) im Vergleich zu Prednison (0,75 mg/kg/Tag) und Placebo umfasste, gefolgt von (2) einem 24-wöchigen Zeitraum zur Beurteilung der Aufrechterhaltung der Wirksamkeit und zur Erhebung zusätzlicher längerfristiger Daten zur Sicherheit und Verträglichkeit [1]. Darüber hinaus umfasst der Zulassungsantrag Daten aus vier offenen Studien (einschliesslich Anschlussstudie), in denen Vamorolone in Dosierungen zwischen 2 und 6 mg/kg/Tag über einen Behandlungszeitraum von insgesamt bis zu 30 Monaten verabreicht wurde [2], sowie eine externe Vergleichsstudie.

“Der Abschluss der NDA-Antragseinreichung für Vamorolone ist ein wichtiger Schritt auf dem Weg zu unserem Ziel, dieses Prüfpräparat für Patienten mit DMD verfügbar zu machen, und stellt einen wichtigen Meilenstein für Santhera dar”, sagte **Dario Eklund, CEO von Santhera**. “Wir freuen uns auf eine enge Zusammenarbeit mit den U.S.-Zulassungsbehörden, um die Genehmigung von Vamorolone voranzutreiben.”

“Wir möchten den Studienteilnehmern, ihren Familien und Betreuern sowie den Prüffärzten und dem Studienpersonal unseren tiefsten Dank aussprechen. Ihr unermüdliches Engagement hat es uns ermöglicht, diesen Meilenstein zu erreichen”, sagte **Eric Hoffman, PhD, President und CEO von ReveraGen BioPharma**. “Eine Zulassung vorausgesetzt, wird Vamorolone derzeitige Behandlungsstandards bei DMD ergänzen, mit dem Potenzial, den ungedeckten medizinischen Bedarf anzusprechen und eine Mehrheit der Duchenne-Patienten bereits in jungen Jahren zu behandeln.”

Mit der Fertigstellung der schrittweisen NDA-Einreichung haben Santhera und ReveraGen auch eine vorrangige Prüfung (priority review) beantragt. In der Regel teilt die FDA innerhalb von 60 Tagen nach Eingang des Dossiers mit, ob eine vorrangige Prüfung gewährt wird. Eine vorrangige Prüfung bedeutet, dass die FDA anstrebt, innerhalb von sechs Monaten über den Antrag zu entscheiden (im Vergleich zu zehn Monaten bei einem Standardverfahren), was einen voraussichtlichen Zulassungstermin bereits Mitte 2023 bedeuten könnte.

In Europa hat Santhera im September 2022 bei der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) für Vamorolone einen Antrag auf Zulassung in der Europäischen Union sowie in Norwegen, Liechtenstein und Island eingereicht.

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.

### Über Vamorolone

Vamorolone ist ein Wirkstoffkandidat, dessen Wirkungsweise darauf beruht, dass er an denselben Rezeptor wie Kortikosteroide bindet, aber dessen nachgeschaltete Aktivität verändert, und der daher als dissoziativer Entzündungshemmer gilt [2-5]. Dieser Mechanismus hat das Potenzial, die Wirksamkeit von den Sicherheitsbedenken gegenüber Steroiden zu entkoppeln. Daher könnte Vamorolone eine Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden, der derzeitigen die Standardtherapie für Kinder und Jugendliche mit DMD, darstellen. In der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie erreichte Vamorolone den primären Endpunkt Geschwindigkeit der Aufstehbewegung (TTSTAND) im Vergleich zu Placebo ( $p=0,002$ ) nach 24 Behandlungswochen und zeigte ein günstiges Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil. In den bisherigen klinischen Studien war Vamorolone im Allgemeinen sicher und gut verträglich. 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. Vamorolone ist ein Prüfpräparat und derzeit von keiner Gesundheitsbehörde für die Anwendung zugelassen.

#### Referenzen:

- [1] Guglieri M et al (2022). JAMA Neurol. Published online August 29, 2022. doi:10.1001/jamaneurol.2022.2480. [Link](#).
- [2] Mah JK et al (2022). JAMA Netw Open. 2022;5(1):e2144178. doi:10.1001/jamanetworkopen.2021.44178. [Link](#).
- [3] Guglieri M et al (2022) JAMA. doi:10.1001/jama.2022.4315
- [4] Heier CR et al (2019). Life Science Alliance DOI: 10.26508
- [5] 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. Das Unternehmen 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. Santhera hat bei der amerikanischen Arzneimittelbehörde FDA ein Zulassungsgesuch (NDA) und bei der europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) ein Zulassungsgesuch (MAA) für Vamorolone zur Behandlung von DMD eingereicht. Die klinische 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 von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) an die Chiesi-Gruppe auslizenziiert. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte [www.santhera.com](http://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](http://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](mailto:public-relations@santhera.com) oder

Eva Kalias, Head Investor Relations & Communications

Telefon: +41 79 875 27 80

[eva.kalias@santhera.com](mailto:eva.kalias@santhera.com)

#### **ReveraGen BioPharma**

Eric Hoffman, PhD, President and CEO

Telefon: + 1 240-672-0295

[eric.hoffman@reveragen.com](mailto: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.

###