

Santhera gibt die Zulassung von AGAMREE® (Vamorolon) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie in Hongkong bekannt

- *Die Gesundheitsbehörde (Department of Health, DoH) von Hongkong hat AGAMREE® für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab 4 Jahren zugelassen*
- *Vor kurzem hat China's National Medical Products Administration (NMPA) AGAMREE zugelassen*

Pratteln, Schweiz, 20. Dezember 2024 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass die Gesundheitsbehörde von Hongkong, China, AGAMREE® (Vamorolon) für die Behandlung von Patienten ab 4 Jahren zugelassen hat.

Nach der US-amerikanischen FDA, der EMEA, der MHRA und der NMPA ist die Zulassung durch das DoH von Hongkong die fünfte unabhängige Zulassung durch lokale Gesundheitsbehörden und wird Patienten mit DMD in Hongkong in naher Zukunft Zugang zu AGAMREE ermöglichen.

Gemäss der Lizenzvereinbarung zwischen den Unternehmen, die erstmals im [Januar 2022](#) bekannt gegeben wurde, hält Sperogenix die exklusiven Entwicklungs- und Vermarktungsrechte für AGAMREE bei DMD und anderen seltenen Krankheiten im Grossraum China. Diese Vereinbarung wurde im März 2023 um die Option für mehrere zusätzliche südostasiatische Länder ergänzt, namentlich Brunei, Kambodscha, Timor-Leste (Osttimor), Indonesien, Laos, Malaysia, Myanmar (Burma), die Philippinen, Singapur, Thailand und Vietnam, und zwar gegen eine Zahlung von USD 4 Millionen durch Sperogenix. Sperogenix hat diese Option im Juli 2024 ausgeübt, um diese Gebiete in die Lizenzvereinbarung aufzunehmen. Santhera liefert AGAMREE an Sperogenix sowohl für das laufende Early Access Program (EAP) als auch für die Kommerzialisierung. Sperogenix wird Santhera Lizenzgebühren im zweistelligen Prozentbereich auf den Netto-Produktumsatz sowie zusätzliche umsatzabhängige Meilensteine auf Basis der kommerziellen Verkäufe zahlen.

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-β-Hydroxysteroid-Dehydrogenase (11β-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.

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

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].

Literaturverweise:

- [1] Dang UJ et al. (2024) *Neurology* 2024;102:e208112. doi.org/10.1212/WNL.000000000208112. [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 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 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 U.S.-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA), in der EU von der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA), im Vereinigten Königreich von der Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) und in China von der National Medical Products Administration (NMPA) zugelassen. Santhera hat die Rechte an AGAMREE für Nordamerika an Catalyst Pharmaceuticals, Inc. und für China an Sperogenix Therapeutics auslizenziert. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.santhera.de.

AGAMREE® ist eine Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

public-relations@santhera.com oder
Andrew Smith, Chief Financial Officer
andrew.smith@santhera.com

Über Sperogenix Therapeutics

Sperogenix Therapeutics ist ein 2019 gegründetes Plattformunternehmen und fokussiert auf die Entwicklung und Vermarktung von Therapeutika für genetische und seltene Krankheiten in China. Sperogenix wurde 2019 gegründet und ist ein Plattformunternehmen, das sich der Entwicklung und Vermarktung von Therapeutika für genetische Krankheiten und seltene Krankheiten in China widmet.

Mit vorrangigen therapeutischen Bereichen wie neuromuskulären Erkrankungen und vererbten Stoffwechselkrankheiten widmet sich Sperogenix dem Aufbau eines innovativen Geschäftsmodells, das auf den Bereich der seltenen Krankheiten in China zugeschnitten ist, um chinesischen Ärzten und Patienten erschwingliche und zuverlässige Produkte und Dienstleistungen anzubieten. Im Jahr 2022 erhielt Sperogenix von Santhera Pharmaceuticals die exklusiven Entwicklungs- und Vermarktungsrechte für AGAMREE® für DMD und alle anderen seltenen Krankheiten in der Region Greater China (einschliesslich Hongkong, Macao und Taiwan) und der Region Südostasien sowie die Produktionsrechte in allen oben genannten Regionen unter bestimmten Bedingungen. www.sperogenix.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.

###