

Ad-hoc-Mitteilung gemäss Art. 53 KR

Santhera und ReveraGen geben erfolgreiches FDA-Pre-NDA-Meeting für Vamorolone in Duchenne-Muskeldystrophie bekannt

Pratteln, Schweiz, und Rockville, MD, USA, 17. November 2021 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) und ReveraGen Biopharma (US: privat) geben den erfolgreichen Abschluss eines ersten Pre-NDA-Meetings mit der US-amerikanischen Gesundheitsbehörde (FDA) für Vamorolone zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bekannt. Die FDA befand sowohl die vorgeschlagenen klinischen Wirksamkeits- als auch die Sicherheitsdaten als ausreichend für einen NDA-Antrag. Auf der Grundlage des Fast-Track-Status für Vamorolone erachtete die FDA die Absicht, eine schrittweise NDA-Einreichung vorzunehmen, als akzeptabel. Der Beginn der NDA-Einreichung ist für das erste Quartal 2022 vorgesehen.

Der Zweck des routinemässigen Typ-B-Pre-NDA-Meetings bestand darin, die Zustimmung der FDA zur Hinlänglichkeit und Angemessenheit der klinischen Daten zur Unterstützung eines NDA-Antrags für Vamorolone zur Behandlung von DMD zu erhalten. In ihren Schlussfolgerungen aus diesem Meeting stimmte die FDA zu, dass (i) die Wirksamkeit von Vamorolone, die in der 24-wöchigen Phase der VISION-DMD-Zulassungsstudie nachgewiesen wurde, einen NDA-Antrag unterstützt und dass (ii) die Ergebnisse der 24-wöchigen doppelblinden VISION-DMD-Studienphase und der offenen Studien ausreichende Sicherheitsdaten liefern, um einen NDA-Antrag für Vamorolone zur Behandlung von DMD zu unterstützen. Die Annahme des NDA-Antrags erfolgt vorbehaltlich der Prüfung des vollständigen Antrags durch die FDA.

Basierend auf den Rückmeldungen der FDA werden Santhera und ReveraGen im ersten Quartal 2022 mit der schrittweisen NDA-Einreichung beginnen. Als Teil des Prozesses sind weitere Treffen mit der FDA vor der NDA-Einreichung geplant, um andere Teile des Antrags zu besprechen. Vamorolone hat in den USA den Orphan-Drug-Status für DMD erhalten und wurde von der FDA als Fast-Track-Medikament und als pädiatrisches Orphan-Medikament eingestuft.

Obwohl dies nicht Gegenstand des Pre-NDA-Meetings war, und unter Bezugnahme auf eine PPSR (Proposed Pediatric Study Request)-bezogene Frage, merkte die FDA in ihrer Antwort auch an, dass Vamorolone als synthetisches Steroid für andere Indikationen einen potenziellen Nutzen für die öffentliche Gesundheit haben könnte. Auf dieser Grundlage wird Santhera weiterhin mit der FDA zusammenarbeiten und Möglichkeiten für andere Indikationen als DMD prüfen.

“Wir sind sehr zufrieden mit dem positiven Ergebnis dieses ersten Pre-NDA-Meetings und freuen uns darauf, unseren NDA-Antrag zu stellen. Wir nähern uns wichtigen regulatorischen Meilensteinen auf unserem Weg, Vamorolone für Patienten verfügbar zu machen. Wir danken allen Teilnehmern, ihren Familien und Betreuern sowie den Prüfärzten und dem Studienpersonal für ihr Engagement für das Vamorolone-Programm”, sagte **Eric Hoffman, PhD, Präsident und CEO von ReveraGen BioPharma**.

“Die Rückmeldung der FDA zu unseren Einreichungsplänen ist ermutigend und ein wichtiger Schritt zur Bestätigung der Fortschritte, die wir bei der Entwicklung von Vamorolone als grundlegende Behandlungsoption für DMD gemacht haben. Wir freuen uns nun auf die Zusammenarbeit mit der FDA und anderen Zulassungsbehörden, um Vamorolone so bald als möglich zum Markteintritt zu bringen”, sagte **Dario Eklund, Chief Executive Officer von Santhera**.

Vor dem Meeting mit der FDA reichten Santhera und ReveraGen ein Datenpaket ein, in dessen Mittelpunkt die positiven 24-Wochen-Ergebnisse der zulassungsrelevanten Phase-2b-Studie VISION-DMD bei Patienten im Alter von 4 bis 7 Jahren standen. In dieser Studie zeigte Vamorolone statistisch signifikante und klinisch bedeutsame Unterschiede im Vergleich zu Placebo beim primären Wirksamkeitsendpunkt (Zeit bis zum Aufstehen / TTSTAND-Geschwindigkeit), mit durchwegs bedeutenden Wirksamkeitsergebnissen bei anderen vorab spezifizierten sekundären und explorativen Wirksamkeitsendpunkten [1, 2]. Das Informationspaket wurde durch die offenen Daten der Phase-2a-Langzeitbehandlung ergänzt, die unterstützende Informationen zur Dosis-Wirkungsbeziehung, zur Dauerhaftigkeit des Behandlungseffekts und zur langfristigen Sicherheit über einen Nachbeobachtungszeitraum von 2,5 Jahren liefern [3]. Es hat sich gezeigt, dass die Behandlung mit Vamorolone die Entwicklung der Körpergrösse bewahrt und im Vergleich zu Prednison deutlich weniger negative Auswirkungen auf die Knochengesundheit und Verhaltensänderungen hat [4-7]. In klinischen Studien erwies sich Vamorolone im Allgemeinen als 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.

Wie bereits angekündigt, löst die Unterstützung der FDA für einen NDA-Antrag für Vamorolone, basierend auf den 24-Wochen-Daten der VISION-DMD-Studie, eine Meilensteinzahlung von USD 5 Millionen an den Lizenzgeber ReveraGen aus und ermöglicht Santhera die Inanspruchnahme von CHF 5 Millionen im Rahmen der Finanzierungsvereinbarung mit Highbridge Capital Management LLC.

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 Agonist ist [8-10]. 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. Der Beginn der schrittweisen Einreichung des US-NDA-Zulassungsantrags für DMD ist für Q1-2022 geplant. 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. Vamorolone ist ein Prüfpräparat und ist derzeit von keiner Gesundheitsbehörde zugelassen.

Referenzen:

- [1] ClinicalTrials.gov-Identifizier: NCT03439670
- [2] Pressemitteilung "Santhera und ReveraGen geben positive und statistisch hochsignifikante Topline-Resultate mit Vamorolone in der VISION-DMD-Zulassungsstudie bekannt", 1. Juni 2021, [Link](#)
- [3] Pressemitteilung "Santhera und ReveraGen geben neue 2,5-Jahres-Behandlungsdaten mit Vamorolone bei Duchenne-Muskeldystrophie bekannt", 28. April 2021, [Link](#)
- [4] Hoffman E. Präsentiert auf der virtuellen PPMD-Jahreskonferenz, 22.-26. Juni 2021.
- [5] Mah JK, et al. 2021. [Manuskript in Arbeit]
- [6] Hoffman E, et al. Neurology. 2019 Sep 24; 93(13): e1312-e1323
- [7] Daten liegen vor bei ReveraGen Biopharma, Rockville, MD
- [8] Heier CR et al. (2013). EMBO Mol Med 5: 1569-1585
- [9] Reeves EKM, et al (2013). Bioorg Med Chem 21(8):2241-2249
- [10] 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.

###