

JAMA Neurology veröffentlicht positive zulassungsrelevante klinische Studie mit Vamorolone bei Duchenne-Muskeldystrophie

- Ergebnisse der VISION-DMD-Studie, welche die Wirksamkeit und Sicherheit von Vamorolone im Vergleich zu Placebo und zur Standardbehandlung mit Prednison zeigen, wurden in [JAMA Neurology](#) veröffentlicht
- Sicherheitsanalyse zu Knochenbiomarkern und Wachstum zeigte keine negativen Auswirkungen von Vamorolone
- Einreichung der Zulassungsanträge für Vamorolone bei der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) und der U.S.-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA) sollen im Q3-2022 bzw. Q4-2022 abgeschlossen werden

Pratteln, Schweiz, und Rockville, MD, USA, 1. September 2022 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) und ReveraGen (US: Privat) geben bekannt, dass die Fachzeitschrift JAMA Neurology die positiven Ergebnisse zu Wirksamkeit und Sicherheit nach einer 24-wöchigen Therapie mit Vamorolone, einem Prüfpräparat zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD), in der VISION-DMD-Studie veröffentlicht hat. Vamorolone erreichte den primären Endpunkt mit einer im Vergleich zu Placebo statistisch signifikanten und klinisch relevanten Verbesserung der Zeit bis zum Aufstehen vom Boden, dem ersten funktionellen Meilenstein, der sich bei kleinen Kindern mit DMD verschlechtert. Konsistente Ergebnisse über mehrere sekundäre Endpunkte hinweg unterstützen die Ergebnisse des primären Endpunkts. Die relative Wirksamkeit von Vamorolone 6 mg/kg/Tag war bei den primären und sekundären Wirksamkeitsendpunkten vergleichbar mit der von Prednison 0,75 mg/kg/Tag. Über den 24-wöchigen Behandlungszeitraum wurden mit Vamorolone keine negativen Auswirkungen auf Biomarker der Knochengesundheit und kein Verlust des linearen Wachstums beobachtet. Vamorolone war im Allgemeinen sicher und gut verträglich. Die am häufigsten gemeldeten unerwünschten Ereignisse im Vergleich zu Placebo waren cushingoide Merkmale, Erbrechen und Vitamin-D-Mangel. Unerwünschte Ereignisse waren im Allgemeinen von leichtem bis mittlerem Schweregrad.

“Die Daten aus der VISION-DMD-Studie bestätigen uns in unserem Bestreben, eine steroidähnliche Behandlung zu entwickeln, bei der die Wirksamkeit herkömmlicher Kortikosteroide beibehalten wird und einige der Toxizitäten, die allzu oft zum vorzeitigen Abbruch der Behandlung bei Kindern mit DMD führen, reduziert werden können”, sagte **Eric Hoffman, PhD, Professor of Pharmaceutical Sciences, Binghamton University - SUNY, und CEO von ReveraGen.**

“Kortikosteroide sind nach wie vor ein Eckpfeiler der Behandlung für viele Kinder mit Duchenne-Muskeldystrophie, und die zur VISION-DMD-Studie veröffentlichten Daten stellen einen wichtigen Fortschritt in der Entwicklung zusätzlicher Behandlungsmöglichkeiten für diese Patienten dar”, sagte **Michela Guglieri, MD, Senior Clinical Lecturer und Consultant Neurologist, Newcastle University.**

“Vamorolone wurde als potenzielle erste dissoziative Steroidtherapie entwickelt”, sagte **Shabir Hasham, MD, Chief Medical Officer von Santhera.** “Diese zulassungsrelevanten Daten sowie weitere Daten, die im Jahr 2022 an wissenschaftlichen Kongressen vorgestellt werden, definieren weiterhin das differenzierte Sicherheitsprofil von Vamorolone.”

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

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 [2-5]. Dieser Mechanismus hat das Potenzial, die Wirksamkeit von den Sicherheitsbedenken gegenüber Steroiden, wie z. B. den negativen Auswirkungen auf die Knochengesundheit und das Wachstum, zu entkoppeln. Daher könnte Vamorolone eine Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden, der derzeitigen Standardtherapie für Kinder und Jugendliche mit DMD, darstellen. 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.

Literaturverweise:

- [1] Guglieri M et al (2022). JAMA Neurol. Online veröffentlicht am 29.08.2022. 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
- [3] Guglieri, 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 Duchenne-Muskeldystrophie

Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine seltene, vererbte, X-Chromosom-gebundene Krankheit, die fast ausschliesslich Knaben betrifft. Kennzeichnend für DMD ist eine Entzündung, die bei der Geburt oder kurz danach auftritt. Diese Entzündung führt zu einer Fibrose der Muskulatur und äussert sich klinisch durch fortschreitende Muskeldegeneration und -schwäche. Wichtige Meilensteine der Krankheit sind der Verlust der Gehfähigkeit, der Verlust der Selbsternährung, der Beginn einer Atmungsunterstützung und die Entwicklung einer Kardiomyopathie. DMD reduziert die Lebenserwartung aufgrund von respiratorischem und/oder kardialen Versagen auf vor dem vierten Lebensjahrzehnt.

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 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.

###