

Ad-hoc-Mitteilung gemäss Art. 53 KR

Fünffjahresdaten zu AGAMREE® (Vamorolon) bei Patienten mit DMD zeigen ein verbessertes Sicherheitsprofil bei vergleichbarer Wirksamkeit wie bei der Standardbehandlung mit Kortikosteroiden

- Vergleichbare Langzeitwirksamkeit wie bei der Standardtherapie mit Kortikosteroiden über 5 Jahre
- Normales Wachstum bleibt erhalten, im Gegensatz zur Wachstumshemmung, die bei der Standardbehandlung mit Kortikosteroiden häufig auftritt
- Deutlich geringere Rate an Wirbelkörperfrakturen unter AGAMREE
- Geringere Inzidenz von Katarakten als normalerweise bei DMD-Patienten unter Kortikosteroidbehandlung beobachtet

Pratteln, Schweiz, 4. November 2025 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) hat heute positive Topline-Ergebnisse einer Analyse von Langzeitdaten veröffentlicht; darunter erste Bewertungen aus der laufenden, offenen, multizentrischen GUARDIAN-Studie zur Bewertung von AGAMREE® (Vamorolon) bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD).

Die Langzeitanalyse umfasste Patienten, die zuvor noch keine Kortikosteroide erhalten hatten und im Alter zwischen vier und sieben Jahren in klinischen Studien mit der Behandlung mit AGAMREE begonnen hatten und diese im Rahmen verschiedener Zugangsprogramme, darunter die GUARDIAN-Studie, fortsetzten. Es wurden Daten von bis zu 110 Patienten analysiert, wobei die Patientenzahlen je nach Datenverfügbarkeit variierten. In dieser Langzeitanalyse hatten die Patienten AGAMREE bis zu acht Jahre lang erhalten, mit einer medianen Nachbeobachtungszeit von etwa fünf Jahren. Die meisten Patienten erhielten während des Beobachtungszeitraums in der klinischen Praxis weiterhin höhere Dosen (4–6 mg/kg/Tag).

Die mit AGAMREE behandelten Patienten behielten ihre motorischen Funktionen über einen längeren Nachbeobachtungszeitraum bei und zeigten eine dauerhafte Wirksamkeit, gemessen an der Zeit bis zum Verlust der Gehfähigkeit, die mit der Standardbehandlung mit Kortikosteroiden vergleichbar war ($p = 0,91$). In vorab festgelegten Subgruppenanalysen wurden keine Unterschiede im Vergleich zu täglich verabreichtem Deflazacort oder Prednison beobachtet.

Wichtig ist, dass die Daten weiterhin ein differenziertes Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil im Vergleich zu herkömmlichen Kortikosteroiden belegen. Bei den mit AGAMREE behandelten Patienten trat eine deutlich geringere Rate an Wirbelkörperfrakturen auf ($p = 0,0061$), sie hielten ein normales Wachstum aufrecht ohne die bei der Standardbehandlung mit Kortikosteroiden beobachtete Wachstumsverzögerung ($p < 0,0001$) und zeigten weniger Fälle von Katarakten als die mit Glukokortikoiden behandelten Patienten, darunter eine deutlich geringere Inzidenz im Vergleich zu Deflazacort ($p < 0,015$). Darüber hinaus wurden bis heute keine Fälle von Glaukom beobachtet. Im Durchschnitt unterschieden sich die Veränderungen des BMI oder des Gewichts bei gleicher Körpergröße nicht, und es wurden keine neuen Sicherheitssignale beobachtet.

Die detaillierten Ergebnisse werden im ersten Quartal 2026 auf einer grossen internationalen wissenschaftlichen Konferenz vorgestellt. Entsprechend der üblichen wissenschaftlichen Praxis werden die vollständigen Daten nach der Konferenzpräsentation öffentlich zugänglich gemacht, sobald die Organisatoren ihren Überprüfungs- und Präsentationsprozess abgeschlossen haben. Darüber hinaus sind für die nächsten drei Jahre weitere Auswertungen der GUARDIAN-Studie geplant, die sich auf ein breiteres Spektrum von Wirksamkeits- und Sicherheitsergebnissen konzentrieren, darunter

Fünffjahresdaten zu AGAMREE® (Vamorolon) bei Patienten mit DMD zeigen ein verbessertes Sicherheitsprofil bei vergleichbarer Wirksamkeit wie bei der Standardbehandlung mit Kortikosteroiden

4. November 2025 / Seite 2 von 3

Bewertungen der Funktion der oberen Extremitäten, der Pubertätsentwicklung, der Augengesundheit und der Herzfunktion sowie anderer relevanter Parameter.

Nachdem wir die Daten mit den Mitgliedern unseres wissenschaftlichen Lenkungsausschusses, allesamt KOLs im Bereich DMD, geteilt haben, sind wir von deren Reaktion sehr ermutigt.

Prof. Eugenio Mercuri, Professor für Pädiatrie und Kinderneuropsychiatrie an der Università Cattolica del Sacro Cuore, kommentierte: *„Diese Daten liefern wichtige Belege dafür, dass eine Langzeitbehandlung mit Vamorolon eine dauerhafte Wirksamkeit mit einer erheblichen Verringerung des Risikos von Wirbelsäulenfrakturen und einer Verbesserung der Körpergröße bietet, im Gegensatz zu dem, was bei herkömmlichen Steroiden beobachtet wird.“*

Prof. Francesco Muntoni, Professor für Neurologie am University College London, sagte: *„Diese vorläufigen Daten sind ermutigend. Besonders beruhigend ist es zu sehen, dass die Kinder weiter wachsen, ohne dass dies einen offensichtlichen Einfluss auf die Wirksamkeit der Behandlung hat. Kinder, die mit anderen Kortikosteroiden behandelt werden, leiden häufig unter einer erheblichen Wachstumsverzögerung, was sich erheblich auf ihre Lebensqualität auswirkt.“*

Prof. Craig McDonald, Professor für Physikalische Medizin und Rehabilitation sowie Pädiatrie an der UC Davis, fügte hinzu: *„Es ist erfreulich, dass die Langzeitwirksamkeit mit der anderer Kortikosteroide vergleichbar ist und die Daten zu Körpergröße und Knochengesundheit mit anderen Vamorolon-Studien übereinstimmen. Diese Daten zeigen nun eindeutig die Vorteile einer frühzeitigen Behandlung und der Fortsetzung der Behandlung mit wirksamen Dosen von Vamorolon. Interessanterweise könnten die Vorteile, die wir bei der Erhaltung der Muskelfunktion, der Körpergröße und einer besseren Knochengesundheit sehen, auch wichtige Auswirkungen auf ältere DMD-Patienten haben, beispielsweise auf die Funktion der oberen Extremitäten und die Atemfunktion. Ich freue mich auf die weitere Datenerhebung im Rahmen der GUARDIAN-Studie.“*

Shabir Hasham, Chief Medical Officer von Santhera, sagte: *„Wir freuen uns sehr, der DMD-Gemeinschaft eine Kortikosteroid-Behandlungsoption anbieten zu können, die langfristige Vorteile bietet und das Auftreten einiger der schwerwiegendsten Nebenwirkungen, die häufig zu einer Dosisreduktion oder zum Absetzen der Behandlung führen, deutlich reduziert. Eine besser für die Langzeitanwendung geeignete Behandlung wird umso wichtiger, je mehr andere DMD-Therapien in Kombination mit Kortikosteroiden verfügbar werden. Darüber hinaus wird die GUARDIAN-Studie weiterhin wichtige Daten zur Wirksamkeit und Sicherheit über ein breiteres Spektrum von Ergebnissen hinweg sammeln, da die Patienten älter werden und länger in Behandlung bleiben, und wir freuen uns darauf, diese Ergebnisse der Duchenne-Fachwelt mitzuteilen.“*

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 (11 β -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.

Fünfjahresdaten zu AGAMREE® (Vamorolon) bei Patienten mit DMD zeigen ein verbessertes Sicherheitsprofil bei vergleichbarer Wirksamkeit wie bei der Standardbehandlung mit Kortikosteroiden

4. November 2025 / Seite 3 von 3

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].

▼ *Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dadurch können neue Informationen über die Sicherheit schnell ermittelt werden. Gesundheitsfachleute werden gebeten, alle vermuteten Nebenwirkungen zu melden.*

Referenzen:

- [1] Gordey Foundation
- [2] Dang UJ et al. (2024) Neurology 2024;102:e208112. doi.org/10.1212/WNL.0000000000208112. [Link](#).
- [3] Guglieri M et al (2022). JAMA Neurol. 2022;79(10):1005-1014. doi:10.1001/jamaneurol.2022.2480 [Link](#).
- [4] Liu X et al (2020). Proc Natl Acad Sci USA 117:24285-24293
- [5] Heier CR et al (2019). Life Science Alliance DOI: 10.26508
- [6] Ward et al., WMS 2022, FP.27 – Poster 71. [Link](#).
- [7] Hasham et al., MDA 2022 Posterpräsentation. [Link](#).

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein Schweizer Spezialpharmaunternehmen, das sich auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für seltene neuromuskuläre Erkrankungen mit hohem ungedecktem medizinischem Bedarf konzentriert. Das Unternehmen hat eine exklusive Lizenz von ReveraGen für alle Indikationen weltweit für AGAMREE® (Vamorolon), ein dissoziatives Steroid mit neuartigem Wirkmechanismus, das in einer entscheidenden Studie an Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) als Alternative zu Standard-Kortikosteroiden untersucht wurde. AGAMREE zur Behandlung von DMD ist in den USA von der Food and Drug Administration (FDA), in der EU von der European Commission (EC), im Vereinigten Königreich von der Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency (MHRA), in China von der National Medical Products Administration (NMPA) und in Hongkong von der Department of Health (DoH) und in Kanada von Health Canada zugelassen. Santhera hat die Rechte an AGAMREE für Nordamerika an Catalyst Pharmaceuticals und für China und bestimmte Länder in Südostasien an Sperogenix Therapeutics lizenziert. Weitere Informationen finden Sie unter www.santhera.com.

AGAMREE® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

Santhera

Catherine Isted, CFO:

ICR Healthcare:

IR@santhera.com

Santhera@icrhealthcare.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 Veröffentlichung kann bestimmte zukunftsgerichtete Aussagen über das Unternehmen und seine Geschäftstätigkeit enthalten. Solche Aussagen beinhalten bestimmte Risiken, Ungewissheiten und andere Faktoren, die dazu führen können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die Finanzlage, die Leistung oder die Erfolge des Unternehmens wesentlich von den in solchen Aussagen ausdrücklich oder implizit genannten abweichen. Leser sollten sich daher nicht übermäßig auf diese Aussagen verlassen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit Vertrags- oder Investitionsentscheidungen. Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung zur Aktualisierung dieser zukunftsgerichteten Aussagen ab.

###