

Santhera erhält positive endgültige NICE-Empfehlung für AGAMREE® (Vamorolon) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie

- *Santhera hat mit den Vorbereitungen für die Markteinführung von AGAMREE® im Vereinigten Königreich begonnen und erwartet die ersten Verkäufe in diesem Quartal*

Pratteln, Schweiz, 16. Januar 2025 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass das National Institute for Health and Care Excellence (NICE) eine positive endgültige Leitlinie herausgegeben hat, die AGAMREE® (Vamorolon) für die Anwendung im National Health Service (NHS) in England, Wales und Nordirland zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab 4 Jahren empfiehlt.

Dies folgt auf die Bestätigung, dass keine Einsprüche gegen die am 10. Dezember 2024 bekannt gegebene Empfehlung der Final Draft Guidance (FDG) eingegangen sind. Im Anschluss daran hat Santhera bereits mit den Aktivitäten im Hinblick auf die Lancierung von AGAMREE im Vereinigten Königreich begonnen und erwartet erste Umsätze im laufenden Quartal.

AGAMREE ist das erste und einzige Arzneimittel für DMD, das in der EU, den USA und dem Vereinigten Königreich vollständig zugelassen wurde. Diese Empfehlung folgt auf die Zulassung von AGAMREE durch die Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) am 11. Januar 2024, die, ebenso wie die European Medicines Agency (EMA), klinisch wichtige Verträglichkeitsvorteile in Bezug auf die Aufrechterhaltung des normalen Knochenstoffwechsels, der Knochendichte und des Knochenwachstums im Vergleich zu Standardkortikosteroiden sowie eine ähnliche Wirksamkeit in klinischen Studien bestätigte.

Die endgültige Leitlinie ist auf der NICE-Website verfügbar: www.nice.org.uk/guidance/TA1031

Für weitere Informationen über AGAMREE im Vereinigten Königreich einschliesslich Schottland: [Summary of Product Characteristics](#)

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.

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.*

Literaturverweise:

- [1] Dang UJ et al. (2024) Neurology 2024;102:e208112. doi.org/10.1212/WNL.0000000000208112. [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 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) und im Vereinigten Königreich von der Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) 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

Elodie Denjean, General Manager UK, France & Benelux

elodie.denjean@santhera.com

Tel. +44 7437 865600

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

Santhera erhält positive endgültige NICE-Empfehlung für AGAMREE® (Vamorolon)
zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie
16. Januar 2025 / Seite 3 von 3

Aussagen verlassen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit Verträgen oder Investitionsentscheidungen. Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung ab, diese zukunftsgerichteten Aussagen zu aktualisieren.

###