

Ad-hoc-Mitteilung gemäss Art. 53 KR

## **Santhera und ReveraGen geben FDA Annahme des Zulassungsantrags für Vamorolone bei Duchenne-Muskeldystrophie bekannt**

**Pratteln, Schweiz, und Rockville, MD, USA, 9. Januar 2023 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) und ReveraGen BioPharma, Inc. geben bekannt, dass die US-amerikanische Gesundheitsbehörde FDA (Food and Drug Administration) den Zulassungsantrag (NDA) für Vamorolone zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) zur Einreichung angenommen hat. Die FDA hat den 26. Oktober 2023 als Zieldatum für die Umsetzung des Prescription Drug User Fee Act (PDUFA) festgelegt.**

Das PDUFA-Datum ist das Zieldatum für den Abschluss der Antragsprüfung durch die FDA. Ausserdem hat die FDA erklärt, dass sie derzeit nicht plant, eine Sitzung des beratenden Ausschusses abzuhalten, um den Antrag zu erörtern. Vorbehältlich der Genehmigung plant Santhera die Markteinführung von Vamorolone in den USA im Q4-2023.

“Wir freuen uns sehr, dass die FDA Santhera’s Vamorolone-NDA zur Einreichung akzeptiert hat. Wir sind überzeugt, dass dieses Produkt einen klaren medizinischen Bedarf anspricht, und für Santhera ist das Erreichen dieses wichtigen Meilensteins von zentraler Bedeutung für unseren zukünftigen Erfolg”, sagte **Dario Eklund, CEO von Santhera**. “Wir freuen uns auf eine enge Zusammenarbeit mit den US-Behörden, um die Zulassung von Vamorolone voranzutreiben.”

“Dies ist eine aufregende Zeit für die Duchenne-Gemeinschaft, denn die im Rahmen des klinischen Studienprogramms gewonnenen Daten deuten darauf hin, dass Vamorolone das Potenzial hat, relevante Aspekte in der Patientenversorgung anzugehen, die auch die Behandlungsergebnisse verbessern könnten”, sagte **Eric Hoffman, PhD, President und CEO von ReveraGen BioPharma**. “Im Falle einer Zulassung wird Vamorolone eine zusätzliche Behandlungsoption zu den derzeitigen Behandlungsstandards bei DMD darstellen, mit dem Potenzial, einem unerfüllten medizinischen Bedarf nachzukommen und einen Grossteil der Duchenne-Patienten bereits im frühen Alter zu behandeln.”

Der NDA-Antrag für Vamorolone wurde durch klinische Daten aus der positiven zulassungsrelevanten Phase-2b-Studie VISION-DMD unterstützt, die den primären Endpunkt mit statistischer Signifikanz gegenüber Placebo erreichte [1]. Das Datenpaket umfasste zudem Daten aus vier offenen Studien (einschliesslich Anschlussphase), in denen Vamorolone in Dosierungen zwischen 2 und 6 mg/kg/Tag über einen Gesamtbehandlungszeitraum von bis zu 30 Monaten verabreicht wurde [2].

In Europa wurde ein Zulassungsgesuch (MAA) für Vamorolone in der Europäischen Union von der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) validiert und ist derzeit in Prüfung.

Vamorolone hat in den USA und in Europa den Orphan-Drug-Status für DMD erhalten und wurde von der FDA als "Fast Track" und "Rare Pediatric Disease" sowie von der britischen MHRA als "Promising Innovative Medicine" (PIM) für DMD anerkannt.

## Über Vamorolone

Vamorolone ist ein Wirkstoffkandidat, dessen Wirkungsweise darauf beruht, dass er an denselben Rezeptor wie Kortikosteroide bindet, aber dessen nachgeschaltete Aktivität verändert, und der daher als dissoziativer Entzündungshemmer gilt [2-5]. Dieser Mechanismus hat das Potenzial, die Wirksamkeit von den Sicherheitsbedenken gegenüber Steroiden zu entkoppeln. Daher könnte Vamorolone eine Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden, der derzeitigen Standardtherapie für Kinder und Jugendliche mit DMD, darstellen. In der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie erreichte Vamorolone 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]. 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. Vamorolone ist ein Prüfpräparat und derzeit von keiner Gesundheitsbehörde für die Anwendung zugelassen.

### Referenzen:

- [1] Guglieri M et al (2022). JAMA Neurol. Published online August 29, 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. [Link](#).
- [3] Guglieri M 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

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 und pulmonale Erkrankungen mit hohem medizinischem Bedarf konzentriert. Das Unternehmen 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. Santhera hat bei der amerikanischen Arzneimittelbehörde FDA einen Zulassungsantrag (NDA) und bei der europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) ein Zulassungsgesuch (MAA) in Überprüfung für Vamorolone zur Behandlung von DMD. 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 von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) an die Chiesi-Gruppe auslizenziiert. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte [www.santhera.com](http://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](http://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](mailto:public-relations@santhera.com) oder  
Eva Kalias, Head Investor Relations & Communications  
Telefon: +41 79 875 27 80  
[eva.kalias@santhera.com](mailto:eva.kalias@santhera.com)

#### **ReveraGen BioPharma**

Eric Hoffman, PhD, President und CEO  
Telefon: + 1 240-672-0295  
[eric.hoffman@reveragen.com](mailto: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.

###