

Europäische Arzneimittelbehörde validiert Zulassungsantrag von Santhera für Vamorolone bei Duchenne-Muskeldystrophie

Pratteln, Schweiz, 31. Oktober 2022 - Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass die Europäische Arzneimittelagentur (EMA) den Zulassungsantrag (MAA) für Vamorolone zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) validiert hat. Die Validierung bestätigt, dass der Antrag vollständig ist und die Prüfung durch den Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der EMA begonnen hat.

“Der Beginn der CHMP-Prüfung unseres Antrags ist ein wichtiger Meilenstein für Patienten mit DMD und eine bedeutende Anerkennung für unser Unternehmen. Wir freuen uns darauf, während des Prüfverfahrens eng mit den Berichterstattern und dem CHMP zusammenzuarbeiten, damit Vamorolone den Patienten so bald wie möglich zur Verfügung steht“, sagte **Shabir Hasham, MD, CMO von Santhera**.

Santhera geht davon aus, dass der CHMP die Prüfung gegen Ende des Q3-2023 abschliessen und der Europäischen Kommission (EK) der EMA seine Stellungnahme zur Zulassung vorlegen wird. Vorbehältlich der Genehmigung durch die Europäische Kommission, die noch 2023 erwartet wird, würde Vamorolone in allen Mitgliedsstaaten der Europäischen Union sowie in Norwegen, Liechtenstein und Island zugelassen.

In den USA haben Santhera und ReveraGen kürzlich die Einreichung des Zulassungsantrags (NDA) für Vamorolone zur von DMD bei der Food and Drug Administration (FDA) abgeschlossen. Vorbehältlich der Genehmigung ebnet dies den Weg für eine mögliche Markteinführung im H2-2023.

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.

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 [1-5]. 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 die 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. In den bisherigen klinischen Studien war Vamorolone im Allgemeinen 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. 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 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 ein Zulassungsgesuch (NDA) und bei der europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) ein Zulassungsgesuch (MAA) für Vamorolone zur Behandlung von DMD eingereicht. 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.

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 und 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.

###