

Santhera und ReveraGen kündigen Präsentationen zur langfristigen Wirksamkeit und Knochengesundheit bei DMD unter Vamorolone-Behandlung am 2022 World Muscle Society Congress an

Pratteln, Schweiz, und Rockville, MD, USA, 10. Oktober 2022 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) und ReveraGen BioPharma, Inc. geben die Präsentation von Daten zur langfristigen Wirksamkeit, Verträglichkeit und Auswirkungen von Vamorolone auf die Knochengesundheit bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) über eine Behandlungsdauer von 2,5 Jahren bekannt.

Die Daten werden am 2022 World Muscle Society (WMS) Congress, der vom 11. bis 15. Oktober 2022 in Halifax, Nova Scotia, Kanada, stattfinden wird, wie folgt vorgestellt:

Flash-Poster-Präsentationen

The spine fracture burden in boys with DMD treated with the novel dissociative steroid vamorolone versus deflazacort and prednisone – Leanne Ward, MD, 12. Oktober, 14:40-14:45 ADT, #FP.03

Results of a double-blind cross-over trial of vamorolone in Duchenne muscular dystrophy (DMD) – Eric Hoffman, PhD, 14. Oktober, 14:40-14:45 ADT, #FP.27

Posters

Vamorolone's impact on height and body mass index in patients with Duchenne muscular dystrophy (DMD) – Ward L et al, 12. Oktober, 16:00-17:30 ADT, #P.71

Result of daily regimens of prednisone, deflazacort, and vamorolone on motor function in patients with Duchenne muscular dystrophy – McDonald C et al, 14. Oktober, 14:30-16:00 ADT, #P.133

Die Präsentationen und Poster werden ab 11. Oktober 16:00 ADT unter diesem [Link](#) verfügbar sein.

"Die Daten, die unsere akademischen Kooperationspartner vorstellen werden, fördern das Verständnis für das Potenzial eines dissoziativen Steroids wie Vamorolone bei der Erhaltung der Muskelkraft und sprechen gleichzeitig wichtige Sicherheitsbedenken bei der Behandlung von DMD an", sagte **Shabir Hasham, MD, Chief Medical Officer von Santhera.**

Santhera ist mit einem wissenschaftlichen Ausstellungsstand vor Ort (Stand Nr. 4 im Ballsaal), wo medizinische Vertreter des Unternehmens während der gesamten Konferenz anwesend sein werden.

Über Vamorolone

Vamorolone ist ein Wirkstoffkandidat, der an denselben Rezeptor wie Kortikosteroide bindet, aber dessen nachgeschaltete Aktivität verändert. Aufgrund dieser Wirkungsweise gilt er als dissoziativer Entzündungshemmer [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.

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 Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) einen Zulassungsantrag (MAA) für Vamorolone bei DMD eingereicht und rechnet mit dem Abschluss der entsprechenden Einreichung des Zulassungsantrags (NDA) bei der U.S.-amerikanischen Arzneimittelbehörde (FDA) im vierten Quartal 2022. 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 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.

###