

Santhera und ReveraGen präsentieren Daten zur Wirksamkeit und Verträglichkeit von Vamorolone an der 2022 MDA Konferenz

Pratteln, Schweiz, und Rockville, MD, USA, 15. März, 2022 - Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) und ReveraGen BioPharma, Inc. geben bekannt, dass sie an der 2022 Muscular Dystrophy Association (MDA) Clinical & Scientific Conference (13.-16. März 2022, Nashville, TN, USA) Daten zur Wirksamkeit und Verträglichkeit von Vamorolone bei Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) präsentieren werden. Die Einreichung eines schrittweisen NDA-Zulassungsantrags für Vamorolone zur Behandlung von DMD bei der US-amerikanischen Zulassungsbehörde FDA ist per Ende März geplant.

Der Nachweis der klinischen Wirksamkeit und Verträglichkeit von Vamorolone bei DMD-Patienten basiert auf den positiven Ergebnissen der zulassungsrelevanten Phase-2b-Studie VISION-DMD und zusätzlichen Phase-2a-Daten, die einen Behandlungszeitraum von bis zu 30 Monaten mit Vamorolone umfassen. In der VISION-DMD-Studie erreichte Vamorolone 6 mg/kg/Tag den primären Endpunkt in Woche 24, zeigte eine anhaltende Wirksamkeit bei mehreren Endpunkten über 48 Wochen und war gut verträglich mit einem günstigen Sicherheitsprofil. Bei Studienteilnehmern, die mit Prednison 0,75 mg/kg/Tag begannen und nach 24 Wochen auf Vamorolone 6 mg/kg/Tag umgestellt wurden, blieb die Wirksamkeit auch bei allen funktionellen Endpunkten erhalten und es wurden Verbesserungen bei mehreren Sicherheitsparametern beobachtet. Wichtig ist, dass die unter Prednison in den ersten 24 Wochen beobachtete Wachstumsverlangsamung und die negativen Auswirkungen auf Biomarker der Knochengesundheit während der Behandlung mit Vamorolone in den letzten 24 Wochen der Studie rückgängig gemacht wurden. Diese Ergebnisse stehen im Einklang mit dem längerfristigen, dauerhaften Wirksamkeits- und Sicherheitsprofil von Vamorolone und deuten auf dessen Potenzial hin, eine Alternative zur derzeitigen Standardbehandlung zu bieten. Die Langzeitanwendung von Standardkortikosteroiden ist mit einer Reihe klinisch relevanter Nebenwirkungen verbunden, die ihre Anwendung häufig einschränken und die Lebensqualität der Patienten erheblich mindern.

Die Daten werden auf der MDA-Konferenz wie folgt vorgestellt:

Präsentation

“Vamorolone versus placebo and prednisone in Duchenne muscular dystrophy: 24-week double-blind trial VBP15-004” – 16. März, 09:50-10:05 CDT, Tennessee Ballroom

Posters

“Delayed start analysis of efficacy outcomes in placebo to vamorolone crossover participants in VBP15-004” – Poster #89

“Efficacy and safety of vamorolone during 48-week treatment in patients with Duchenne Muscular Dystrophy (DMD) in VBP15-004 study” – virtuelles Poster

“Feasibility of switch from prednisone to vamorolone in patients with DMD in VBP15-004 study” – virtuelles Poster

“Vamorolone vs corticosteroid real-world experience: Comparisons of 2-year treatment with NorthStar UK Network and CINRG Duchenne Natural History Study” – virtuelles Poster

Die Abstracts sind auf der MDA-Website unter diesem [Link](#) verfügbar.

Santhera ist an der Konferenz auch mit einem **wissenschaftlichen Stand** (Stand Nr. 311 in der Ryman Hall B1-2) präsent, wo medizinische Vertreter des Unternehmens während der gesamten Konferenz anwesend sein werden.

Santhera beabsichtigt, per Ende März 2022 ein Zulassungsgesuch (NDA) für Vamorolone bei DMD bei der US FDA einzureichen (schrittweise Einreichung geplant). Vamorolone hat in den USA und in Europa den Orphan-Drug-Status für DMD erhalten und wurde von der US-amerikanischen 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 ist derzeit von keiner Gesundheitsbehörde zugelassen.

Über Vamorolone

Vamorolone ist ein Arzneimittelkandidat mit einem neuartigen Wirkmechanismus, der an denselben Rezeptor wie Kortikosteroide bindet, aber dessen nachgeschaltete Aktivität modifiziert und somit ein dissoziativer Agonist ist [1-3]. Dieser Mechanismus hat das Potenzial, die Wirksamkeit von den typischen Sicherheitsbedenken gegenüber Steroiden zu entkoppeln. Daher könnte sich Vamorolone als vielversprechende Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden erweisen, die derzeit 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 gutes Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil. Im Vergleich zu Prednison zeigte Vamorolone eine vergleichbare Wirksamkeit, Verbesserungen bei mehreren Sicherheitsparametern (einschliesslich einer Umkehrung der während der Prednison-Behandlung beobachteten Wachstumsbeeinträchtigung und einer Verringerung der Verhaltensänderungen) und war mit weniger unerwünschten Ereignissen verbunden. 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.

Literaturverweise:

- [1] Heier CR et al. (2013). EMBO Mol Med 5: 1569-1585.
- [2] Reeves EKM, et al (2013). Bioorg Med Chem 21(8):2241-2249.
- [3] 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 spezialisiert hat. Santhera verfügt über eine exklusive Lizenz für alle Indikationen weltweit für Vamorolone, das erste dissoziative Steroid seiner Klasse mit neuartiger Wirkungsweise, das in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit DMD als Alternative zu Standard-Kortikosteroiden untersucht wurde. Das Unternehmen plant die Einreichung eines Zulassungsantrags (NDA) bei der US FDA mit Beginn Ende März 2022. Die klinische Pipeline umfasst auch Lonodelestat zur Behandlung von Mukoviszidose (CF) und anderen neutrophilen Lungenkrankheiten. Santhera hat die Rechte an ihrem ersten zugelassenen Produkt, Raxone® (Idebenon), ausserhalb Nordamerikas und Frankreichs für die Behandlung der Leber hereditären

Optikusneuropathie (LHON) an die Chiesi-Gruppe auslizenziert. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.santhera.com.

Raxone® ist eine Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Über ReveraGen BioPharma

ReveraGen wurde 2008 gegründet, um neuartige 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 External 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.

###