

Santhera gibt Topline-Ergebnisse der klinischen Phase-1-Studie von Catalyst Pharmaceuticals zu AGAMREE® bekannt

Die Daten untermauern das Potenzial von AGAMREE® als Therapie für ein breites Spektrum chronisch-entzündlicher seltener Erkrankungen

Pratteln, Schweiz, 1. Juli 2026 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt heute [die Topline-Ergebnisse](#) einer zweiteiligen klinischen Phase-1-Studie zu AGAMREE® bekannt, die von seinem nordamerikanischen Lizenzpartner Catalyst Pharmaceuticals, Inc. ("Catalyst") durchgeführt wurde. Die Studie legt nahe, dass AGAMREE® eine glukokortikoide und entzündungshemmende Wirkung entfaltet, ohne dabei nennenswerte immunsuppressive Effekte zu verursachen, was den potenziellen Einsatz als Therapie bei einem breiten Spektrum chronisch-entzündlicher seltener Erkrankungen untermauert.

Die an gesunden erwachsenen Probanden durchgeführte Studie untersuchte die Äquipotenz von Deflazacort und AGAMREE® und bewertete das klinische immunsuppressive Potenzial von AGAMREE® bei steigenden Dosierungen. In Teil A zeigten sowohl AGAMREE® als auch Deflazacort die erwartete zielgerichtete Glukokortikoidrezeptoraktivität und eine vergleichbare Cortisolunterdrückung bei klinischen Dosierungen, wobei AGAMREE® weniger ausgeprägte immunsuppressive Biomarker-Effekte aufwies, was mit der derzeit in der Zulassung angegebenen Dosierung von AGAMREE® zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) übereinstimmt. Teil B zeigte, dass klinisch relevante immunsuppressive Effekte nur bei der höchsten Dosisstufe beobachtet wurden, die über der derzeit zugelassenen AGAMREE-Dosierung lag. Bei niedrigeren Dosisstufen wurden keine relevanten immunsuppressiven Effekte beobachtet.

Im Rahmen einer im Jahr 2023 geschlossenen exklusiven Lizenzvereinbarung hält Catalyst die Vermarktungsrechte an AGAMREE® in Nordamerika für DMD und alle potenziellen zukünftigen Indikationen, während Santhera ein Vorverhandlungsrecht für alle Rechte außerhalb Nordamerikas in Bezug auf neue Indikationen behält. Gemäß den Bedingungen der Lizenzvereinbarung hat Santhera Anspruch auf umsatzabhängige Meilensteinzahlungen sowie auf Lizenzgebühren auf den Nettoumsatz aller vermarkteten Indikationen.

Über AGAMREE® (Vamorolon)

AGAMREE® ist ein dissoziatives Kortikosteroid, das für die Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) zugelassen ist. Es bindet selektiv an den Glukokortikoidrezeptor und löst durch Hemmung der NF- κ B-vermittelten Gentranskription eine entzündungshemmende Wirkung aus, während es gleichzeitig eine verminderte Transaktivierung anderer Gene bewirkt¹. AGAMREE® ist kein Substrat für 11- β -Hydroxysteroid-Dehydrogenase (11 β -HSD)-Enzyme, die an der lokalen Verstärkung der Glukokortikoidaktivität im Gewebe beteiligt sind und mit der Kortikosteroid-assoziierten Toxizität in Verbindung gebracht werden^{2,3}. Dieses pharmakologische Profil bildet die Grundlage für seine Einstufung als dissoziatives Kortikosteroid, das darauf ausgelegt ist, die entzündungshemmende Wirksamkeit zu erhalten und gleichzeitig die systemischen Effekte zu reduzieren, die mit einer langfristigen konventionellen Kortikosteroidtherapie verbunden sind¹⁻³.

In der zulassungsrelevanten Phase-2b-Studie VISION-DMD erreichte AGAMREE® seinen primären Endpunkt und zeigte nach 24 Wochen eine statistisch signifikante Verbesserung der Geschwindigkeit beim Aufstehen (Time to Stand, TTSTAND) im Vergleich zu Placebo ($p = 0,002$)⁴. Die am häufigsten berichteten Nebenwirkungen waren Cushing-ähnliche Symptome, Erbrechen, Gewichtszunahme, gesteigerter Appetit und Reizbarkeit; die meisten waren leicht bis mittelschwer¹.

Langzeitdaten aus bis zu acht Jahren AGAMREE-Behandlung wurden auf der klinischen und wissenschaftlichen Konferenz der Muscular Dystrophy Association (MDA) im März 2026 vorgestellt^{5,6}. In

Propensity-Score-gepaarten Analysen zeigte AGAMREE® eine dauerhafte Wirksamkeit, die mit der von Standard-Kortikosteroiden vergleichbar war, sowie ein differenziertes Sicherheitsprofil: eine geringere Inzidenz von Wirbelkörperfrakturen im Vergleich zu mit Deflazacort behandelten Kohorten (8,1 % vs. 41,9 %; $p = 0,0082$)⁵; eine aufrechterhaltene normale Wachstumsentwicklung mit einem mittleren Größenvorteil von 12,17 cm bei einer Körpergrösse von im Vergleich zu herkömmlichen Kortikosteroiden ($p < 0,0001$)^{5,6} sowie eine geringere Inzidenz von Katarakten im Vergleich zu Deflazacort ($p = 0,015$), wobei keine Fälle von Glaukom beobachtet wurden⁵.

▼ *Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht die schnelle Erkennung neuer Sicherheitsinformationen. Angehörige der Gesundheitsberufe werden gebeten, alle vermuteten Nebenwirkungen zu melden.*

Referenzen

1. AGAMREE® (Vamorolon) Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels. Europäische Arzneimittelagentur; zugelassen am 14. Dezember 2023. [Link](#)
2. Heier CR, Damsker JM, Yu Q, et al. VBP15, ein neuartiger Entzündungshemmer und Membranstabilisator, verbessert die Muskeldystrophie ohne Nebenwirkungen. Life Sci Alliance. 2019;2(1):e201800186. [Link](#)
3. Reeves EKM, Hoffman EP, Nagaraju K, et al. VBP15: präklinische Charakterisierung eines neuartigen entzündungshemmenden Delta-9,11-Steroids. Bioorg Med Chem. 2013;21(8):2241–2249. [Link](#)
4. Dang UJ, Damsker JM, Guglieri M, et al. Wirksamkeit und Sicherheit von Vamorolon über 48 Wochen bei Jungen mit Duchenne-Muskeldystrophie (VISION-DMD). Neurology. 2024;102(5):e208112. [Link](#)
5. Guglieri M, et al. Langzeitwirkung von Vamorolon auf die Knochengesundheit im Vergleich zur Standardtherapie mit Glukokortikoiden bei Jungen mit Duchenne-Muskeldystrophie. Poster 62S, MDA Clinical & Scientific Conference 2026. [Link](#)
6. McDonald CM, et al. Vergleichende Analyse der Langzeitwirksamkeit von Vamorolon gegenüber der Standardbehandlung mit Glukokortikoiden bei Jungen mit Duchenne-Muskeldystrophie. Poster 23S, MDA Clinical & Scientific Conference 2026. [Link](#)

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein Schweizer Spezialpharmaunternehmen, das sich auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für seltene neuromuskuläre Erkrankungen mit hohem ungedecktem medizinischem Bedarf konzentriert. Das Unternehmen hat eine 2xclusive Lizenz von ReveraGen für alle Indikationen weltweit für AGAMREE® (Vamorolon), ein dissoziatives Steroid mit neuartigem Wirkmechanismus, das in einer entscheidenden Studie an Patienten mit DuchenneMuskeldystrophie (DMD) als Alternative zu Standard-Kortikosteroiden untersucht wurde. AGAMREE® zur Behandlung von DMD ist in den USA von der Food and Drug Administration (FDA), in der EU von der European Commission (EC), im Vereinigten Königreich von der Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency (MHRA), in der Schweiz von der Swissmedic, in China von der National Medical Products Administration (NMPA) und in Hongkong von der Department of Health (DoH) zugelassen. Santhera hat die Rechte an AGAMREE® wie folgt auslizenziert: an Catalyst Pharmaceuticals für Nordamerika, an Sperogenix Therapeutics für China und bestimmte Länder in Südostasien und an Nxera Pharma für Japan, Südkorea, Australien und Neuseeland. Weitere Informationen finden Sie unter www.santhera.com.

AGAMREE® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

Santhera

Catherine Isted, CFO:
ICR Healthcare:

IR@santhera.com
Santhera@icrhealthcare.com

Stifel

+44 (0)20 7710 7600

Brough Ransom, Charles Hoare, Fred Walsh

Octavian

+41 (0)44 520 1588

Serge Monnerat, Marius Zuberbuehler

Haftungsausschluss / Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Mitteilung stellt weder ein Angebot noch eine Aufforderung zum Kauf oder zur Zeichnung von Wertpapieren der Santhera Pharmaceuticals Holding AG dar. Diese Veröffentlichung kann bestimmte zukunftsgerichtete Aussagen über das Unternehmen und seine Geschäftstätigkeit enthalten. Solche Aussagen beinhalten bestimmte Risiken, Ungewissheiten und andere Faktoren, die dazu führen können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die Finanzlage, die Leistung oder die Erfolge des Unternehmens wesentlich von den in solchen Aussagen ausgedrückten oder implizierten Ergebnissen abweichen. Leser sollten sich daher nicht übermäßig auf diese Aussagen verlassen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit Vertrags- oder Investitionsentscheidungen. Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung zur Aktualisierung dieser zukunftsgerichteten Aussagen ab.

###