

## **Santhera reicht Zulassungsantrag bei der Europäischen Arzneimittelbehörde für Vamorolone bei Duchenne-Muskeldystrophie ein**

**Pratteln, Schweiz, 3. Oktober, 2022 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass das Unternehmen bei der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) einen Zulassungsantrag (MAA) für Vamorolone zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) eingereicht hat.**

Im Zentrum des Zulassungsantrags stehen positive Daten aus der zulassungsrelevanten Phase-2b-Studie VISION-DMD, die einen (1) 24-wöchigen Zeitraum zum Nachweis der Wirksamkeit und Sicherheit von Vamorolone (2 und 6 mg/kg/Tag) im Vergleich zu Prednison (0,75 mg/kg/Tag) und Placebo umfasste, gefolgt von einem (2) 24-wöchigen Zeitraum zur Beurteilung der Aufrechterhaltung der Wirksamkeit und zur Erhebung zusätzlicher längerfristiger Daten zur Sicherheit und Verträglichkeit [1]. Darüber hinaus umfasst der Zulassungsantrag Daten aus drei offenen Studien, in denen Vamorolone in Dosierungen zwischen 2 und 6 mg/kg/Tag über einen Behandlungszeitraum von insgesamt bis zu 30 Monaten verabreicht wurde [2].

“Duchenne ist eine verheerende Krankheit und die betroffenen Patienten benötigen dringend wirksame und gut verträgliche Therapien“, sagte **Shabir Hasham, MD, CMO von Santhera**. “Unser EU-Zulassungsantrag ist ein wichtiger Schritt, um Vamorolone für Patienten mit DMD in den entsprechenden europäischen Ländern verfügbar zu machen, und wir sehen einer engen Zusammenarbeit mit der EMA während des Prüfverfahrens mit Zuversicht entgegen.”

In den USA rechnet Santhera damit, die Einreichung des Zulassungsantrags für Vamorolone in DMD bei der Food and Drug Administration (FDA) im vierten Quartal 2022 abzuschliessen.

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 [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 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

*Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.*

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**

Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine seltene, vererbte, X-Chromosom-gebundene Krankheit, die fast ausschliesslich Knaben betrifft. Kennzeichnend für DMD ist eine Entzündung, die bei der Geburt oder kurz danach auftritt. Diese Entzündung führt zu einer Fibrose der Muskulatur und äussert sich klinisch durch fortschreitende Muskeldegeneration und -schwäche. Wichtige Meilensteine der Krankheit sind der Verlust der Gehfähigkeit, der Verlust der Selbsternährung, der Beginn einer Atmungsunterstützung und die Entwicklung einer Kardiomyopathie. DMD reduziert die Lebenserwartung aufgrund von respiratorischem und/oder kardialen Versagen auf vor dem vierten Lebensjahrzehnt.

### **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](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 and 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.

###