

Ad-hoc-Mitteilung gemäß Art. 53 LR

## **Santhera gibt eine Vereinbarung mit dem deutschen GKV-SV über den Erstattungsbetrag für AGAMREE® (Vamorolone) zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie in Deutschland bekannt.**

- AGAMREE ist das erste Produkt, das in Deutschland einen vereinbarten bundesweiten Preis für die Behandlung aller DMD-Patienten ab 4 Jahren und unabhängig von der genetischen Mutation erhält.

Pratteln, Schweiz, 13. Februar 2025 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN), ein auf seltene Krankheiten spezialisiertes Pharmaunternehmen, gab heute eine Vereinbarung mit dem deutschen GKV-Spitzenverband (GKV-SV) über die Erstattung von AGAMREE® (Vamorolon) zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bekannt. Dieser Meilenstein macht AGAMREE zum ersten Produkt, das in Deutschland einen vereinbarten bundesweiten Preis für die Behandlung aller Duchenne-Patienten ab 4 Jahren und unabhängig von der zugrunde liegenden genetischen Mutation erhält.

Die mit dem GKV-SV erzielte Vereinbarung spiegelt das Engagement von Santhera wider, breiten Patientenzugang zu gewährleisten und nachhaltige Gesundheitsergebnisse zu unterstützen. Der vereinbarte Ab-Werk-Preis beträgt 3.612,50 EUR pro 100-ml-Flasche, was unter Berücksichtigung der erforderlichen Rabatte, des Patientengewichts und der Dosierung etwa 52'000 Euro pro Jahr für einen durchschnittlichen Patienten bedeutet.

„Wir freuen uns, eine Vereinbarung über die Erstattung von AGAMREE mit dem GKV-SV erreicht zu haben, die etwa 90 % der deutschen Bevölkerung krankenversichert“, sagte Dario Eklund, CEO von Santhera. „Diese Vereinbarung stellt einen wichtigen Schritt dar, um den Zugang zu AGAMREE für Jungen und Männer mit DMD in Deutschland zu ermöglichen und unterstreicht unser Engagement, auf die Bedürfnisse der Gemeinschaft für seltene Krankheiten einzugehen.“

Seit der Markteinführung in Deutschland im Januar 2024 werden nun mehr als 300 Patienten kontinuierlich mit AGAMREE behandelt, was fast 30 % derjenigen entspricht, die derzeit mit Steroiden behandelt werden. Dies ist ein bedeutender Erfolg, da die entscheidende Studie zu Vamorolon keine deutschen Prüfzentren einbezog. In Deutschland leben 2'300 Menschen mit DMD, von denen etwa 1'100 bis 1'200 zu einem bestimmten Zeitpunkt mit Steroiden behandelt werden. Dies unterstreicht das Potenzial für eine breitere Akzeptanz und die positive Auswirkung dieser Erstattungsvereinbarung.

Santhera bleibt verpflichtet, eng mit Gesundheitsdienstleistern, Patientenorganisationen und Kostenträgern zusammenzuarbeiten, um den Zugang zu AGAMREE für alle berechtigten Jungen und Männer mit DMD zu unterstützen. Diese Vereinbarung stellt sicher, dass Patienten in ganz Deutschland von dieser innovativen Therapie profitieren können, die die Qualität der Versorgung und die Ergebnisse für die Betroffenen verbessert.

**Über AGAMREE® (Vamorolon)**

# Santhera kündigt Vereinbarung mit dem deutschen GKV-SV über den Erstattungsbetrag für AGAMREE® (Vamorolone) zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie in Deutschland bekannt

February 13, 2025 / Page 2 of 3

AGAMREE ist ein neuartiges Arzneimittel mit einem Wirkmechanismus, der auf der Bindung an denselben Rezeptor wie Glukokortikoide beruht, jedoch dessen nachgeschaltete Aktivität modifiziert. Zudem ist es kein Substrat für die 11- $\beta$ -Hydroxysteroid-Dehydrogenase (11 $\beta$ -HSD) Enzyme, die für lokal erhöhte Wirkstoffspiegel und die kortikosteroid-assoziierte Toxizität in lokalen Geweben verantwortlich sein dürften [1-4]. Dieser Mechanismus hat das Potenzial, die Wirksamkeit von den Sicherheitsbedenken gegenüber Steroiden zu entkoppeln, weshalb AGAMREE als dissoziativer Entzündungshemmer und Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden, der derzeitigen Standardtherapie für Kinder und Jugendliche mit DMD, positioniert ist [1-4].

In der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie erreichte AGAMREE den primären Endpunkt Geschwindigkeit der Aufstehbewegung (TTSTAND) im Vergleich zu Placebo ( $p=0,002$ ) nach 24 Behandlungswochen und zeigte ein günstiges Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil [1, 4]. Die am häufigsten gemeldeten Nebenwirkungen waren cushingoides Aussehen, Erbrechen, Gewichtszunahme und Reizbarkeit. Im Allgemeinen waren die Nebenwirkungen von leichtem bis mittlerem Schweregrad.

Die derzeit verfügbaren Daten zeigen, dass AGAMREE im Gegensatz zu Kortikosteroiden das Wachstum nicht einschränkt [5] und keine negativen Auswirkungen auf den Knochenstoffwechsel hat, was durch normale Serummarker für Knochenbildung und -resorption belegt wird [6].

▼ *Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dadurch können neue Informationen über die Sicherheit schnell ermittelt werden. Gesundheitsfachleute werden gebeten, alle vermuteten Nebenwirkungen zu melden.*

## Referenzen:

- [1] Dang UJ et al. (2024) Neurology 2024;102:e208112. doi.org/10.1212/WNL.0000000000208112. [Link](#).
- [2] Guglieri M et al (2022). JAMA Neurol. 2022;79(10):1005-1014. doi:10.1001/jamaneurol.2022.2480. [Link](#).
- [3] Liu X et al (2020). Proc Natl Acad Sci USA 117:24285-24293
- [4] Heier CR et al (2019). Life Science Alliance DOI: 10.26508
- [5] Ward et al., WMS 2022, FP.27 - Poster 71. [Link](#).
- [6] Hasham et al., MDA 2022 Poster presentation. [Link](#).

## **Über die Duchenne-Muskeldystrophie**

Die Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine seltene, erbliche, X-chromosomale Erkrankung, die fast ausschließlich Männer betrifft. DMD ist durch eine Entzündung gekennzeichnet, die bei der Geburt oder kurz danach auftritt. Die Entzündung führt zur Fibrose der Muskeln und äußert sich klinisch durch eine fortschreitende Muskeldegeneration und -schwäche. Wichtige Meilensteine der Krankheit sind der Verlust der Gehfähigkeit, der Verlust der Selbstfütterung, der Beginn der assistierten Beatmung und die Entwicklung einer Kardiomyopathie. DMD verringert die Lebenserwartung bis vor das vierte Jahrzehnt aufgrund von Atemwegs- und/oder Herzversagen. Kortikosteroide sind der aktuelle Standard der Behandlung für DMD.

## **Über Santhera**

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein schweizerisches Spezialpharmaunternehmen, das sich auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für seltene neuromuskuläre

Santhera kündigt Vereinbarung mit dem deutschen GKV-SV über den Erstattungsbetrag für AGAMREE® (Vamorolone) zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie in Deutschland bekannt

February 13, 2025 / Page 3 of 3

Erkrankungen mit hohem ungedecktem medizinischen Bedarf konzentriert. Das Unternehmen hat eine exklusive Lizenz von ReveraGen für alle Indikationen weltweit für AGAMREE® (Vamorolon), ein dissoziatives Steroid mit neuartigem Wirkmechanismus, das in einer entscheidenden Studie bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) als Alternative zu Standardkortikosteroiden untersucht wurde. AGAMREE zur Behandlung von DMD ist in den USA von der Food and Drug Administration (FDA), in der EU von der Europäischen Arzneimittel-Agentur (EMA), im Vereinigten Königreich von der Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA), in China von der National Medical Products Administration (NMPA) und in Hongkong vom Gesundheitsministerium (DoH) zugelassen. Santhera hat die Rechte an AGAMREE für Nordamerika an Catalyst Pharmaceuticals und für China und bestimmte Länder in Südostasien an Sperogenix Therapeutics lizenziert. Weitere Informationen finden Sie unter [www.santhera.com](http://www.santhera.com).

*AGAMREE® ist eine Marke von Santhera Pharmaceuticals.*

**Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:**

[public-relations@santhera.com](mailto:public-relations@santhera.com) or  
Andrew Smith, Chief Financial Officer  
[andrew.smith@santhera.com](mailto:andrew.smith@santhera.com)

#### **Haftungsausschluss / zukunftsgerichtete Aussagen**

Diese Mitteilung stellt kein Angebot oder keine Aufforderung zum Zeichnen oder Erwerb von Wertpapieren der Santhera Pharmaceuticals Holding AG dar. Diese Veröffentlichung kann bestimmte zukunftsgerichtete Aussagen über das Unternehmen und sein Geschäft enthalten. Solche Aussagen beinhalten bestimmte Risiken, Unsicherheiten und andere Faktoren, die dazu führen könnten, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die finanzielle Lage, die Leistung oder die Erfolge des Unternehmens wesentlich von den in diesen Aussagen geäußerten oder implizierten abweichen. Leser sollten sich daher nicht unangemessen auf diese Aussagen verlassen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit einem Vertrag oder einer Investitionsentscheidung. Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung zur Aktualisierung dieser zukunftsgerichteten Aussagen ab.

###