

## **Santhera und ReveraGen präsentieren neue Daten mit Vamorolone an der 2022 Parent Project Muscular Dystrophy Konferenz**

**Pratteln, Schweiz, und Rockville, MD, USA, 9. Juni 2022 - Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) und ReveraGen BioPharma, Inc. geben die Präsentation neuer Daten mit Vamorolone bei Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bekannt.**

Studienübergreifende Vergleiche der langfristigen Wirksamkeit sowie der Auswirkungen auf die Wachstumsgeschwindigkeit und der Häufigkeit bzw. des Schweregrads von Wirbelsäulenfrakturen von Vamorolone im Vergleich zur derzeitigen Standardbehandlung aus der Phase-2b-VISION-DMD-Studie und der FOR-DMD-Studie werden während der Poster Session an der 2022 Jahreskonferenz von Parent Project Muscular Dystrophy (PPMD) vom 23.-26. Juni 2022 in Scottsdale, AZ, USA, vorgestellt.

“Die Daten, die von unseren akademischen Kooperationspartnern auf der diesjährigen PPMD-Konferenz präsentiert werden, geben weitere Einblicke in unser Verständnis des Potenzials eines dissoziativen Steroids wie Vamorolone zur Erhaltung der Muskelkraft und beleuchten gleichzeitig wichtige Sicherheitsaspekte bei der Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie, wie die Vermeidung von Wachstumsverzögerungen und die Verringerung der Häufigkeit und des Schweregrads von knochenbezogenen Nebenwirkungen, zum Beispiel Wirbelsäulenbrüchen”, sagte **Dr. Shabir Hasham, Chief Medical Officer und Head Global Medical Affairs von Santhera.**

Die Wirksamkeit von Vamorolone wurde über einen Zeitraum von 48 Wochen in Populationen der FOR-DMD-Studie und der zulassungsrelevanten Phase-2b-VISION-DMD-Studie unter Verwendung von Propensity-Score-Matching mit Prednison und Deflazacort verglichen. Die Sicherheitsanalysen konzentrierten sich auf den Vergleich der langfristigen Endpunkte Körpergrösse und Wirbelsäulenfrakturen, wobei die in der Studie VBP15-LTE (Langzeitanschlussstudie) [1] erhobenen Vamorolone-Daten mit den Prednison- und Deflazacort-Daten aus der FOR-DMD-Studie [2] über 2,5 Jahre verglichen wurden.

Die Abstracts werden auf der PPMD-Website verfügbar sein.

Santhera wird an der PPMD Resource Fair (23.-24. Juni) an der Konferenz teilnehmen, wo medizinische Vertreter des Unternehmens vor Ort sein werden, um wissenschaftliche Informationen und aktuelle Neuigkeiten zu vermitteln.

Santhera erwartet, die schrittweise Einreichung des Zulassungsantrags (NDA) für Vamorolone bei DMD an die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA im Juni 2022 abzuschliessen. Vamorolone hat in den USA und in Europa den Orphan-Drug-Status für DMD erhalten und wurde von der 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 [2-4]. 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 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 cushingoides Aussehen, Erbrechen und Vitamin-D-Mangel. Unerwünschte Ereignisse waren im Allgemeinen von leichtem bis mittlerem Schweregrad.

### **Über die FOR-DMD-Studie**

Die Finding the Optimum Regimen for DMD Studie (FOR-DMD; ClinicalTrials.gov identifier NCT01603407/ EudraCT 2010-023744-33) ist eine randomisierte, prospektive, multizentrische, doppelblinde, vergleichende Studie zur Wirksamkeit und Sicherheit von drei Kortikosteroidschemata (Prednison täglich, Prednison intermittierend oder Deflazacort täglich) bei Knaben im Alter von  $\geq 4$  Jahren und  $< 8$  Jahren mit einer bestätigten DMD-Diagnose, die bei Studienbeginn noch keine Kortikosteroidbehandlung erhalten haben.

#### Literaturverweise:

- [1] Mah JK et al (2022). JAMA Netw Open. 2022;5(1):e2144178. doi:10.1001/jamanetworkopen.2021.44178
- [2] Guglieri, et al (2022) JAMA. doi:10.1001/jama.2022.4315
- [3] Heier CR et al (2019). Life Science Alliance DOI: 10.26508
- [4] 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, ein dissoziatives Steroid mit neuartiger Wirkungsweise, das in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit DMD als Alternative zu Standard-Kortikosteroiden untersucht wurde. Das Unternehmen plant, die schrittweise Einreichung des Zulassungsantrags (NDA) bei der US FDA im Juni 2022 abzuschliessen. 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® (Idebenone), ausserhalb Nordamerikas und Frankreichs für die Behandlung der Leber hereditären 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 neuartige dissoziative steroidale Medikamente für Duchenne-Muskeldystrophie und andere chronische Entzündungskrankheiten zu entwickeln. Die Entwicklung von ReveraGen's 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 U.S.-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 und CEO  
Telefon: + 1 240-672-0295  
[eric.hoffman@reveragen.com](mailto:eric.hoffman@reveragen.com)

**Disclaimer / 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 Geschäftsaktivitäten enthalten. Solche Aussagen beinhalten bestimmte Risiken, Unsicherheiten und andere Faktoren, die dazu führen können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die finanzielle Lage, der Leistungsausweis oder die Zielerreichung des Unternehmens wesentlich von den in diesen Aussagen ausgedrückten oder implizierten Erwartungen abweichen. Die Leser sollten sich daher nicht in unangemessener Weise auf diese Aussagen verlassen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit einer Vertrags- oder Investitionsentscheidung. Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung zur Aktualisierung dieser Aussagen ab.

###