

Santhera gibt die Erteilung des Orphan-Drug-Status und der Prioritätsprüfung für AGAMREE® (Vamorolon) in Südkorea bekannt

Pratteln, Schweiz, 2. Juni 2026 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt heute bekannt, dass AGAMREE vom südkoreanischen Ministerium für Lebensmittelsicherheit und Arzneimittel (MFDS) die Orphan-Drug-Designation (ODD) und die Global Innovative Products on Fast Track (GIFT)-Designation für die Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) erhalten hat.

Diese Ausweisungen erkennen den erheblichen ungedeckten medizinischen Bedarf bei DMD-Patienten in Südkorea an, wo derzeit keine alternative Behandlung verfügbar ist. Die GIFT-Ausweisung ist ein beschleunigtes Zulassungsverfahren, das den üblichen Zeitaufwand für die behördliche Prüfung von 120 auf 90 Arbeitstage verkürzen kann und damit den Zugang zu AGAMREE für Patienten mit dieser schwerwiegenden Erkrankung potenziell beschleunigt. Nxera plant, im Laufe des Jahres 2026 einen Antrag auf Marktzulassung in Südkorea einzureichen.

Der Lizenzpartner Nxera Pharma Co., Ltd. ("Nxera") hält gemäß einer im [Januar 2026](#) geschlossenen Lizenzvereinbarung die Exklusivrechte an AGAMREE für Japan, Südkorea, Australien und Neuseeland. Santhera erhält Umsatz- und Meilensteinzahlungen sowie Lizenzgebühren auf den Nettoumsatz von AGAMREE in den lizenzierten Gebieten.

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.

Santhera gibt die Einstufung von AGAMREE® (Vamorolon) als Arzneimittel für seltene Leiden sowie die
Prioritätsprüfung in Südkorea bekannt
2. Juni 2026 / Seite 2 von 3

▼ *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 exklusive Lizenz von ReveraGen für alle Indikationen weltweit für AGAMREE® (Vamorolon), ein dissoziatives Steroid mit neuartigem Wirkmechanismus, das in einer entscheidenden Studie an Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (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

Brough Ransom, Charles Hoare, Fred Walsh

+44 (0)20 7710 7600

Octavian

Serge Monnerat, Marius Zuberbuehler

+41 (0)44 520 1588

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.

###