

Santhera kündigt Annahme und Priority Review des Zulassungsantrags für Vamorolon zur Behandlung von DMD durch China's NMPA an

Pratteln, Schweiz, 27. März 2024 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass die chinesische Arzneimittelbehörde (China National Medical Products Administration, NMPA) das Zulassungsgesuch für Vamorolon zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) eingereicht von Sperogenix Therapeutics, dem spezialisierten Partner von Santhera für seltene Krankheiten in China, zur vorrangigen Prüfung (Priority Review) angenommen hat.

Das Center for Drug Evaluation (CDE) der chinesischen Arzneimittelbehörde NMPA nahm den Antrag an und gewährte eine vorrangige Prüfung für Vamorolon bei DMD für Patienten im Alter von 4 Jahren und älter, was bei positivem Ausgang zu einer Zulassung im ersten Quartal 2025 führen könnte. Zuvor hatte das CDE Vamorolon in das Breakthrough Therapy Program aufgenommen, das sich mit schweren Krankheiten befasst, für die es keine wirksamen Behandlungen gibt, und Medikamente umfasst, die eindeutige klinische Vorteile gegenüber bestehenden Behandlungen bieten.

Duchenne-Muskeldystrophie ist eine seltene neuromuskuläre Krankheit, von der in China etwa 70 000 Patienten betroffen sind. Derzeit gibt es in China kein zugelassenes Medikament zur Behandlung von DMD, was einen hohen ungedeckten medizinischen Bedarf und eine therapeutische Lücke hinterlässt, insbesondere angesichts der steigenden Diagnoseraten, die es mehr Patienten ermöglichen, Zugang zu spezialisierten Behandlungszentren zu erhalten.

Der Zulassungsantrag in China stützt sich auf ein umfangreiches Datenpaket, das Ende 2023/Anfang 2024 zur Zulassung von Vamorolon in den USA, der EU und Großbritannien führte. Der Nachweis der klinischen Wirksamkeit und Sicherheit basierte auf Daten aus der positiven VISION-DMD-Zulassungsstudie, die eine Überlegenheit von Vamorolon gegenüber Placebo zeigte, sowie auf drei offenen Studien, in denen Vamorolon in Dosierungen zwischen 2 und 6 mg/kg/Tag über einen Behandlungszeitraum von insgesamt bis zu 30 Monaten verabreicht wurde. Darüber hinaus enthielt der Antrag Daten aus drei offenen Studien, in denen Vamorolon in Dosierungen zwischen 2 und 6 mg/kg/Tag über eine Gesamtbehandlungsdauer von bis zu 30 Monaten verabreicht wurde [1-4]. Der Antrag wird ferner gestützt durch eine Studie, in der die pharmakokinetischen Parameter von Vamorolon bei gesunden erwachsenen chinesischen Freiwilligen untersucht wurden.

Gemäss der Lizenzvereinbarung zwischen den beiden Unternehmen, die erstmals im Januar 2022 bekannt gegeben wurde, besitzt Sperogenix Therapeutics die exklusiven Entwicklungs- und Vermarktungsrechte für Vamorolone in DMD und allen anderen Indikationen für seltene Krankheiten in China. Nach der Kommerzialisierung wird Sperogenix Santhera umsatzabhängige Meilensteine und Lizenzgebühren im zweistelligen Prozentbereich auf den Nettoumsatz zahlen.

Über AGAMREE® (Vamorolon)

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- β -Hydroxysteroid-Dehydrogenase (11 β -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].

AGAMREE (Vamorolon), ein Arzneimittel für seltene Leiden, ist in den USA ([prescribing information](#)), der Europäischen Union ([Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels](#)) und im Vereinigten Königreich für die Anwendung zugelassen.

Literaturverweise:

- [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 Posterpräsentation. [Link](#).

Über Duchenne-Muskeldystrophie

Die Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine seltene, durch das X-Chromosom bedingte Erbkrankheit, die fast ausschliesslich Männer betrifft. DMD ist durch eine Entzündung gekennzeichnet, die bei der Geburt oder kurz danach auftritt. Die Entzündung führt zu einer Fibrose der Muskeln und äussert sich klinisch durch fortschreitende Muskeldegeneration und -schwäche. Wichtige Meilensteine der Krankheit sind der Verlust des Gehvermögens, der Verlust der Selbsternährung, der Beginn der assistierten Beatmung und die Entwicklung einer Kardiomyopathie. DMD reduziert die Lebenserwartung aufgrund von Atem- und/oder Herzversagen bis vor dem vierten Lebensjahrzehnt. Kortikosteroide sind der derzeitige Standard für die Behandlung von DMD.

Über Sperogenix

Sperogenix Therapeutics ist ein Plattformunternehmen, das sich der Entwicklung und Vermarktung von Medikamenten für seltene Krankheiten in China widmet. Mit vorrangigen therapeutischen Bereichen wie neuromuskulären Erkrankungen und vererbten Stoffwechselkrankheiten widmet sich Sperogenix der Etablierung eines innovativen Geschäftsmodells, das auf den Bereich der seltenen Krankheiten in China zugeschnitten ist, um chinesischen Ärzten und Patienten erschwingliche und zuverlässige Produkte und Dienstleistungen anzubieten. Sperogenix wurde 2019 gegründet und wird von Blue-Chip-Investoren aus der Biopharmabranche unterstützt, darunter Lilly Asia Ventures, Morningside Ventures und Properico Ventures.

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. Das Unternehmen besitzt eine exklusive Lizenz von ReveraGen für alle Indikationen weltweit für AGAMREE® (Vamorolon), ein dissoziatives Steroid mit neuartiger Wirkungsweise, das in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) als Alternative zu Standardkortikosteroiden untersucht wurde. AGAMREE für die Behandlung von DMD ist in den USA von der US-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA), in der EU von der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) und im Vereinigten Königreich von der Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) zugelassen. Santhera hat die Rechte an Vamorolon für Nordamerika an Catalyst Pharmaceuticals, Inc. und für China an Sperogenix Therapeutics auslizenziert. Die klinische Pipeline umfasst auch Lonodelestat zur Behandlung von zystischer Fibrose (CF) und anderen neutrophilen Lungenkrankheiten. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.santhera.de.

AGAMREE® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

public-relations@santhera.com oder

Eva Kalias, Head Investor Relations & Communications

Tel.: +41 79 875 27 80

eva.kalias@santhera.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 solchen Aussagen zum Ausdruck gebracht 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.

###