

## **Santhera und ReveraGen präsentieren Ergebnisse der VISION-DMD-Studie mit Vamorolone an der Parent Project Muscular Dystrophy 2021 Conference**

**Pratteln, Schweiz, und Rockville, MD, USA, 24. Juni, 2021 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) und ReveraGen BioPharma, Inc. (US: privat) geben die Präsentation der positiven und statistisch hochsignifikanten Topline-Ergebnisse der VISION-DMD-Studie an der Parent Project Muscular Dystrophy (PPMD) 2021 Virtual Annual Conference (23.-26. Juni 2021) bekannt.**

Vor kurzem gaben Santhera und ReveraGen positive und statistisch hochsignifikante 24-Wochen-Daten aus der zulassungsrelevanten Phase-2b-Studie VISION-DMD bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bekannt [1, 2]. In dieser Studie zeigte Vamorolone über einen dreifachen Dosisbereich von 2 bis 6 mg/kg/Tag Wirksamkeit gegenüber Placebo ( $p=0.002$ ) und zeigte für beide Dosen ein günstiges Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil gegenüber dem aktiven Kontrollarm mit Prednison 0.75 mg/kg/Tag. Dieses einzigartige Nutzen-Risiko-Profil könnte einen vielversprechenden therapeutischen Ansatz für die chronische Therapie von DMD-Patienten darstellen, der ein individualisiertes und optimiertes Behandlungsschema ermöglicht.

Die bereits angekündigten Top-Line-Ergebnisse sowie zusätzliche Sicherheitsanalysen werden an der virtuellen PPMD-Konferenz (23.-26. Juni 2021) vorgestellt:

### **“In the Pipeline: Reducing inflammation” – Freitag, 25. Juni, 4:05 EDT**

Präsentation der 24-Wochen-Ergebnisse von VISION-DMD durch Eric Hoffman, PhD, Präsident und CEO von ReveraGen BioPharma, gefolgt von Fragen und Antworten.

### **“Recently Reported Updates: ReveraGen (partnership with Santhera)” -- Samstag, 26. Juni, 3:00 EDT**

Late-Breaking-Session mit Präsentation von Eric Hoffman, PhD.

### **“Evolution of time to stand velocity in glucocorticoid-using and non-using patients with DMD”**

Poster von Craig McDonald, MD, Professor and Chair, Department of Physical Medicine & Rehabilitation and Director of Neuromuscular Disease Clinics, UC Davis Health, USA, und Mitwirkenden ist in der [online poster session](#) einsehbar.

### **“Duchenne Drug Development Update – Vamorolone in Duchenne muscular dystrophy”**

Santhera's Unternehmens-Update zu Vamorolone und DMD, präsentiert von Jodi Wolff, PhD, Head of Global Patient Advocacy, wird auf der [Website von PPMD](#) verfügbar sein.

Vamorolone wird als erstes dissoziatives Steroid seiner Klasse mit geringerer Inzidenz von Kortikosteroid-assoziierten unerwünschten Wirkungen entwickelt. Die zulassungsrelevante VISION-DMD-Studie erreichte ihren primären Endpunkt der Überlegenheit in der Veränderung der Zeit vom Aufstehen aus der Rückenlage in den Stand (TTSTAND) mit Vamorolone 6 mg/kg/Tag gegenüber Placebo ( $p=0.002$ ) mit einer Behandlungsdifferenz nach 24 Wochen von 0.06 [95% CI: 0.02-0.10] Aufstehbewegungen pro Sekunde gegenüber dem Ausgangswert. Die Studie zeigte auch eine Überlegenheit beider Vamorolone-Dosierungen (2 und 6 mg/kg/Tag) gegenüber Placebo bei mehreren sekundären Endpunkten. Hervorzuheben ist das im Vergleich zu Prednison günstigere Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil von

Vamorolone. Die 24-wöchige Sicherheitsanalyse zeigt, dass die Behandlung mit Vamorolone die Wachstumsentwicklung bewahrt und im Vergleich zu Prednison keine negativen Auswirkungen auf Biomarker der Knochengesundheit hat. Vamorolone zeigt keine Wachstumshemmung, wie in der aktuellen 24-Wochen-Studie bestätigt wurde, in der Vamorolone 6 mg/kg/Tag gegenüber Prednison 0.75 mg/kg/Tag einen signifikanten Unterschied in der Wachstumsgeschwindigkeit zeigte ( $p=0.02$ ). Darüber hinaus zeigten sich in Woche 24 statistisch signifikante Unterschiede zwischen den Gruppen mit Vamorolone (2 und 6 mg/kg/Tag) und Prednison bei Biomarkern, welche zur Beurteilung der Knochengesundheit herangezogen werden: Osteocalcin, Procollagen 1 N-terminales Propeptid (P1NP) und Typ-I-Kollagen C-Telopeptide (CTX) ( $p<0.001$  für beide Dosierungen von Vamorolone gegenüber Prednison und für alle drei Parameter). Auf Basis der vorliegenden Daten könnte sich Vamorolone als vielversprechende Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden, dem derzeitigen Behandlungsstandard bei Kindern und Jugendlichen mit DMD, herausstellen.

#### Literaturverweise:

- [1] ClinicalTrials.gov Identifier: NCT03439670
- [2] Pressemitteilung "Santhera und ReveraGen geben positive und statistisch hochsignifikante Topline-Resultate mit Vamorolone in der VISION-DMD-Zulassungsstudie bekannt, 1. Juni 2021, [Link](#)

#### **Über VISION-DMD**

VISION-DMD ist eine 48-wöchige Phase-2b-Studie, die als Zulassungsstudie konzipiert ist, um die Wirksamkeit und Sicherheit von Vamorolone (2 und 6 mg/kg/Tag) im Vergleich zu Prednison (0.75 mg/kg/Tag) und Placebo bei 121 ambulant behandelten Jungen im Alter von 4 bis <7 Jahren mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) nachzuweisen. Die Topline-Ergebnisse umfassen Daten aus dem ersten Zeitraum von 24 Wochen der Studie, in denen Vamorolone mit Placebo (FDA-Voraussetzung für die Einreichung eines Zulassungsantrags) und Prednison verglichen wird. Der primäre Endpunkt der Studie ist die TTSTAND-Geschwindigkeit nach 24 Wochen, wobei die 6 mg/kg/Tag-Dosis von Vamorolone mit Placebo verglichen wird. Die TTSTAND-Geschwindigkeit misst die Geschwindigkeit, mit der Patienten in der Lage sind, aus der Rückenlage aufzustehen, und ist ein anerkannter Marker für die Muskelfunktion. Zu den sekundären Wirksamkeitsmessungen gehören die TTSTAND-Geschwindigkeit für Vamorolone in der niedrigeren Dosis von 2 mg/kg/Tag, der Sechs-Minuten-Gehtest (6MWT) und die Zeit zum Laufen/Gehen über 10 Meter (TTRW) nach 24 Wochen. Die VISION-DMD-Studie wird bis zum Abschluss nach 48 Wochen fortgesetzt. Während dieser zweiten Periode der Studie erhalten alle Teilnehmenden Vamorolone. Die Teilnehmenden aus den Placebo- und Prednison-Gruppen werden entweder in die 2 oder 6 mg/kg/Tag-Dosis Vamorolone randomisiert und die aktuellen Vamorolone-Gruppen erhalten weiterhin ihre bestehende Dosis. Die finale 48-wöchige Datenauswertung wird im 4. Quartal 2021 erwartet. Neben der Wirksamkeit zielt die Studie darauf ab, das günstige Verträglichkeitsprofil von Vamorolone zu bestätigen, mit dem Potenzial eine Alternative zur derzeitigen Standardbehandlung zu bieten. Obwohl Kortikosteroide Teil der aktuellen Behandlungsempfehlungen für DMD sind, schränkt ihr Nebenwirkungsprofil ihren Einsatz ein.

#### **Über Vamorolone**

Vamorolone ist der erste Medikamentenkandidat seiner Klasse, der als dissoziatives Steroid die entzündungshemmende Aktivität von Steroiden beibehält aber gleichzeitig die schädliche Wirkung reduziert. Daher könnte sich Vamorolone als vielversprechende Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden erweisen, dem derzeitigen Behandlungsstandard bei Kindern und Jugendlichen mit DMD. In dieser Patientengruppe besteht ein bedeutender ungedeckter medizinischer Bedarf, da

hochdosierte Kortikosteroide erhebliche systemische Nebenwirkungen haben, die die Lebensqualität der Patienten einschränken.

Vamorolone wurde von der US-amerikanischen ReveraGen BioPharma, Inc. entdeckt und wird in Zusammenarbeit mit Santhera entwickelt, die die weltweiten Rechte an dem Medikamentenkandidaten in allen Indikationen besitzt. Das Vamorolone-Entwicklungsprogramm wurde von mehreren internationalen gemeinnützigen Stiftungen und Patientenorganisationen, den US National Institutes of Health, dem US-Verteidigungsministerium und dem Horizon 2020-Programm der Europäischen Kommission gefördert.

### **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. Santhera verfügt über eine exklusive Lizenz für alle Indikationen weltweit für Vamorolone, ein erstes dissoziatives Steroid mit neuartiger Wirkungsweise, das in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit DMD als Alternative zu Standardkortikosteroiden untersucht wurde. Die klinische Pipeline umfasst auch Lonodelestat (POL6014) zur Behandlung von Mukoviszidose (CF) und anderen neutrophilen Lungenkrankheiten sowie einen explorativen Gentherapie-Ansatz zur Behandlung von kongenitalen Muskeldystrophien. Santhera hat die Rechte an ihrem ersten zugelassenen Produkt, Raxone® (Idebenone), ausserhalb von Nordamerika und Frankreich zur 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 erstklassige dissoziative steroidale Medikamente für Duchenne-Muskeldystrophie und andere chronisch entzündliche Erkrankungen zu entwickeln. Die Entwicklung von ReveraGens Leitsubstanz Vamorolone wurde auch durch Partnerschaften mit Stiftungen weltweit unterstützt, darunter 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 Jesse's Journey. 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 Auskünfte wenden Sie sich bitte an:**

#### **Santhera**

Santhera Pharmaceuticals Holding AG, Hohenrainstrasse 24, CH-4133 Pratteln  
[public-relations@santhera.com](mailto:public-relations@santhera.com) or  
Eva Kalias, Head External Communications  
Phone: +41 79 875 27 80  
[eva.kalias@santhera.com](mailto:eva.kalias@santhera.com)

#### **ReveraGen BioPharma**

Eric Hoffman, PhD, President and CEO  
Phone: + 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.

###