

Santhera gibt die Zulassung von AGAMREE® (Vamorolon) in Kanada zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie bekannt

- *Health Canada hat AGAMREE für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie bei Patienten ab 4 Jahren zugelassen*
- *Mit dieser Zulassung ist AGAMREE das erste und einzige zugelassene Medikament zur Behandlung von DMD in Kanada*

Pratteln, Schweiz, 3. Oktober 2025 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt heute bekannt, dass Health Canada nach einer vorrangigen Prüfung AGAMREE® (Vamorolon) für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab 4 Jahren zugelassen hat. Damit ist es das erste zugelassene Medikament für diese Krankheit in Kanada. Das kanadische Register für neuromuskuläre Erkrankungen schätzt, dass in Kanada mehr als 800 Jungen und junge Männer mit DMD leben und mit den schwächenden Symptomen dieser Krankheit zu kämpfen haben.

Kye Pharmaceuticals besitzt die exklusiven kanadischen Vermarktungsrechte für AGAMREE zur Behandlung von DMD und möglicherweise anderen Indikationen, nachdem im Juli 2024 eine Unterlizenzvereinbarung mit Santheras Vermarktungspartner Catalyst Pharmaceuticals, Inc. ("Catalyst") geschlossen wurde. Santhera erhält Lizenzgebühren auf die Verkäufe in Kanada, und diese Verkäufe tragen auch zu den nordamerikanischen Umsatzmeilensteinen bei, die Santhera von seinem Partner Catalyst zu zahlen sind.

Dies ist die sechste unabhängige Zulassung durch eine lokale Gesundheitsbehörde nach positiven Zulassungsentscheidungen in den USA, Europa, Grossbritannien, China und Hongkong.

Über Duchenne-Muskeldystrophie

Die Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine seltene, erbliche, X-chromosomal gebundene Krankheit, 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 fortschreitende Muskeldegeneration und -schwäche. Wichtige Meilensteine der Krankheit sind der Verlust der Gehfähigkeit, der Verlust der Fähigkeit zur Selbsternährung, der Beginn der unterstützten Beatmung und die Entwicklung einer Kardiomyopathie. DMD verkürzt die Lebenserwartung auf vor dem vierten Lebensjahrzehnt aufgrund von Atem- und/oder Herzinsuffizienz. Kortikosteroide sind der derzeitige Behandlungsstandard für die Behandlung von DMD.

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 (11β-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 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 China von der National Medical Products Administration (NMPA) und in Hongkong von der Department of Health (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.

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

Über Kye Pharmaceuticals

Kye ist ein führendes kanadisches Spezialpharmaunternehmen in der Wachstumsphase, das sich dafür einsetzt, den Kanadiern einen Mehrwert zu bieten, indem es neuartige verschreibungspflichtige Medikamente identifiziert, lizenziert und vermarktet, die sonst für Patienten in ganz Kanada

möglicherweise nicht verfügbar wären. Mit einer wachsenden Pipeline innovativer Medikamente umfasst das Portfolio von Kye eine Reihe von Therapiebereichen, darunter Kardiologie, Psychiatrie, Pädiatrie, seltene Krankheiten, Neuromuskuläre Erkrankungen, Hämatologie und Neurologie. Kye Pharmaceuticals ist ein privates Unternehmen, das in Kanada gegründet wurde und sich ausschließlich auf die Gesundheitsbedürfnisse von Patienten in Kanada konzentriert. Kye hat sich zum Ziel gesetzt, Medikamente anzubieten, die unseren Partnern, den kanadischen Gesundheitsfachkräften und vor allem den Patienten in ganz Kanada bessere Ergebnisse liefern. Kye mit Hauptsitz in Mississauga, Ontario, wurde in die Liste der wachstumsstärksten Unternehmen Kanadas 2025 der Zeitung Globe & Mail aufgenommen.

Weitere Informationen über das Unternehmen, sein Management, sein Portfolio, seine Pipeline und sein Engagement finden Sie [unter www.kyepharma.com](http://www.kyepharma.com).

Haftungsausschluss / zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Mitteilung stellt kein Angebot oder eine Aufforderung zur Zeichnung oder zum Kauf 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 erheblich von den in solchen Aussagen zum Ausdruck gebrachten oder implizierten abweichen. Leser sollten daher diesen Aussagen keine unangemessene Bedeutung beimessen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit einer Vertrags- oder Investitionsentscheidung. Das Unternehmen lehnt jegliche Verpflichtung zur Aktualisierung dieser zukunftsgerichteten Aussagen ab.

###