

Ad-hoc-Mitteilung gemäss Art. 53 KR

Santhera informiert über den laufenden NDA-Zulassungsantrag für Vamorolone

Pratteln, Schweiz, 29. Juni 2022 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass das klinische Modul des schrittweisen Zulassungsantrags (NDA) für Vamorolone zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei der U.S.-amerikanischen Gesundheitsbehörde FDA (Food and Drug Administration) eingereicht wurde. Die Fertigstellung des Zulassungsantrags für den Beginn der offiziellen FDA-Prüfung wird um 4-6 Monate ins Q4-2022 verschoben, nachdem ein externes Auftragsfertigungsunternehmen (CMO) eine Verzögerung bei der Erstellung der FDA-Inspektionsbereitschaft erklärt hat.

Santhera hat im März 2022 im Anschluss an ein erfolgreiches Pre-NDA-Meeting mit der FDA mit dem NDA in Form einer schrittweisen Einreichung begonnen. In ihren Schlussfolgerungen aus diesem Treffen erachtete die FDA die vorgeschlagenen klinischen Wirksamkeits- und Verträglichkeitsdaten als ausreichend, um einen Zulassungsantrag für Vamorolone zur Behandlung von DMD zu unterstützen. Die schrittweise Einreichung ist nach Plan verlaufen und das klinische Modul wurde am 28. Juni 2022 eingereicht.

Ein externes Auftragsherstellungsunternehmen hat Santhera mitgeteilt, dass sich die Vorbereitung auf eine FDA-Inspektion bis später im laufenden Jahr verzögert. Die formelle Bestätigung der Inspektionsbereitschaft durch das CMO ist eine Voraussetzung dafür, dass die FDA einen Zulassungsantrag als vollständig betrachtet und ein NDA zur Prüfung akzeptiert. Als Folge dessen wird Santhera den Status und die aktualisierten Zeitpläne für die Fertigstellung des NDA-Antrags mit der Behörde erörtern.

In Europa verlaufen die Vorbereitungen für einen Zulassungsantrag (MAA) für Vamorolone zur Behandlung von DMD bei der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) nach Plan.

Vamorolone hat in den USA und in Europa den Orphan-Drug-Status für DMD erhalten und wurde von der U.S.-amerikanischen 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 Wirkmechanismus, der an denselben Rezeptor wie Kortikosteroide bindet, aber dessen nachgeschaltete Aktivität modifiziert und somit ein dissoziatives entzündungshemmendes Prüfmedikament darstellt [1-4]. 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.

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 U.S. FDA 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 auslizenziert. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.santhera.com.

Raxone® ist eine Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:

public-relations@santhera.com oder

Eva Kalias, Head Investor Relations & Communications

Telefon: +41 79 875 27 80

eva.kalias@santhera.com

Disclaimer / Forward-looking statements

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.

###