

Santhera gibt die Zulassung von AGAMREE® (Vamorolone) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie durch Chinas NMPA bekannt

- *Chinas National Medical Products Administration (NMPA) hat AGAMREE® für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie bei Patienten ab 4 Jahren zugelassen*
- *Mit dieser Zulassung ist AGAMREE die erste und einzige zugelassene DMD-Therapie in China*

Pratteln, Schweiz, 11. Dezember 2024 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass die chinesische Arzneimittelbehörde NMPA (National Medical Products Administration) AGAMREE® (Vamorolon) für die Anwendung bei Patienten ab 4 Jahren in China zugelassen hat.

"DMD ist eine verheerende Krankheit, von der über 70'000 Menschen in China betroffen sind, und bis jetzt gab es keine zugelassene Behandlungsmöglichkeit für die Patienten", sagte **Dario Eklund, CEO von Santhera**. "Wir freuen uns, dass die NMPA AGAMREE für die Behandlung von DMD in China zugelassen hat, und wir sind zuversichtlich hinsichtlich der Zusammenarbeit mit unserem Partner Sperogenix Therapeutics bei den Vorbereitungen für die Kommerzialisierung des Produkts, um sicherzustellen, dass DMD-Patienten in China so bald wie möglich davon profitieren können."

Yan Zhiyu, Co-founder, Chairman und CEO von Sperogenix Therapeutics, erklärte: "Die Zulassung von AGAMREE im Rahmen des Priority-Review-Programms zeigt, dass die Regierung der Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Krankheiten grosse Aufmerksamkeit schenkt, und sie spiegelt auch das grosse Engagement von Sperogenix für die Patienten mit seltenen Krankheiten in China wider, für die ein dringender Bedarf besteht. Die Zulassung von AGAMREE ist ein wichtiger Meilenstein, und wir werden uns weiterhin für die Bedürfnisse der Patienten einsetzen und mit den Interessengruppen zusammenarbeiten, um die Versorgung und den Zugang zu beschleunigen, damit mehr DMD-Patientenfamilien so bald wie möglich davon profitieren können."

AGAMREE ist die erste und einzige zugelassene Therapie für die Behandlung von DMD in China. Diese Zulassung folgt auf die Annahme des Antrags auf Zulassung eines neuen Arzneimittels (NDA) für AGAMREE zur Behandlung von DMD für Patienten ab 4 Jahren durch die National Medical Products Administration (NMPA) im März 2024, in der klinisch wichtige Sicherheitsvorteile in Bezug auf die Aufrechterhaltung des normalen Knochenstoffwechsels, der Knochendichte und des Knochenwachstums im Vergleich zu Standardkortikosteroiden anerkannt wurden. AGAMREE wurde ausserdem sowohl in das Priority Review Program als auch in das Breakthrough Therapy Program aufgenommen, das sich mit schwerwiegenden Krankheiten befasst, für die es keine wirksamen Behandlungen gibt, und Medikamente umfasst, die eindeutige klinische Vorteile gegenüber bestehenden Behandlungen bieten.

Gemäss der Lizenzvereinbarung zwischen den Unternehmen, die erstmals im [Januar 2022](#) bekannt gegeben wurde, hält Sperogenix die exklusiven Entwicklungs- und Vermarktungsrechte für AGAMREE bei DMD und allen anderen seltenen Krankheiten in China. Santhera liefert Sperogenix die Medikamente für das EAP und für die Vermarktung. Sperogenix zahlt Santhera Lizenzgebühren im zweistelligen

Prozentbereich auf den Netto-Produktumsatz (auch für das EAP) und zusätzliche umsatzabhängige Meilensteine auf den kommerziellen Umsatz.

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].

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 Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, das sich auf die Entwicklung und Vermarktung von innovativen Medikamenten für seltene neuromuskuläre 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 U.S.-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 AGAMREE für Nordamerika an Catalyst Pharmaceuticals, Inc. und für China an Sperogenix Therapeutics auslizenziert. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.santhera.de.

AGAMREE® ist eine Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

public-relations@santhera.com oder

Andrew Smith, Chief Financial Officer

andrew.smith@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.

###