

Vamorolone erhält Promising Innovative Medicine (PIM) Status zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie durch die britische MHRA

Pratteln, Schweiz, 21. Oktober 2019 - Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass die britische Arzneimittelbehörde MHRA (Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency) ReveraGen BioPharma darüber informiert hat, dass Vamorolone als „vielversprechendes innovatives Arzneimittel“ (PIM) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) eingestuft wurde.

„Wir gratulieren ReveraGen zu diesem Erfolg und freuen uns über den PIM-Status, der das Potenzial von Vamorolone als innovativen Therapieansatz angesichts des hohen medizinischen Bedarfs junger Patienten mit DMD bestätigt“, sagte **Thomas Meier, PhD, CEO von Santhera**.

Mit der PIM-Bezeichnung stuft die britische MHRA Vamorolone als einen vielversprechenden Arzneimittelkandidaten für das Early Access to Medicines Scheme (EAMS) ein. In Grossbritannien bezweckt EAMS, dessen erster Schritt die Anerkennung als PIM ist, Patienten mit lebensbedrohlichen oder zu schwerer Beeinträchtigung führenden Erkrankungen den Zugang zu Medikamenten vor deren Marktzulassung zu ermöglichen, sofern ein eindeutiger medizinischer Bedarf besteht.

Vamorolone ist ein „first-in-class“ steroidaler, entzündungshemmender Arzneimittelkandidat in der Entwicklung zur Behandlung von DMD. Daten von nicht-klinischen und klinischen Studien zeigten, dass die Behandlung mit Vamorolone zu einer anhaltenden Verbesserung der Muskelfunktion bei geringeren Nebenwirkungen, wie sie typischerweise bei traditionellen Kortikosteroiden beobachtet werden, führt [1-6].

Vamorolone hat in den USA und in Europa Orphan-Drug-Designation und von den US FDA den Fast-Track-Status und die Rare-Pediatric-Disease-Designation.

Über Vamorolone – ein „first-in-class“ dissoziatives Steroid

Vamorolone, der erste Arzneimittelkandidat mit diesem Wirkprofil, bindet an dieselben Rezeptoren wie Kortikosteroide, verändert jedoch die nachfolgende Aktivität der Rezeptoren. Dies kann möglicherweise die Wirksamkeit von den bekannten Verträglichkeitsnachteilen abkoppeln (bzw. „dissoziieren“) und einen Ersatz bieten für Kortikosteroide, die derzeit standardmässig zur Behandlung von Kindern und Jugendlichen mit DMD verabreicht werden. In dieser Patientengruppe besteht ein erheblicher medizinischer Bedarf, da hochdosierte Kortikosteroide zu schwerwiegenden systemischen Nebenwirkungen führen, die die Lebensqualität der Patienten beeinträchtigen.

Die derzeit laufende 48-wöchige Phase-IIb-VISION-DMD-Studie (VBP15-004; NCT03439670) ist als Zulassungsstudie konzipiert, um die Wirksamkeit und Verträglichkeit von Vamorolone im Vergleich zu Prednison und Placebo bei 120 Knaben im Alter von 4 bis <7 Jahren mit DMD nachzuweisen, die noch nicht mit Kortikosteroiden behandelt wurden. Weitere Informationen: <https://vision-dmd.info/2b-trial-information>.

Vamorolone wird vom US-amerikanischen Unternehmen ReveraGen BioPharma Inc. entwickelt mit finanzieller Unterstützung von mehreren internationalen gemeinnützigen Stiftungen, den US National Institutes of Health, dem US-Verteidigungsministerium und dem EU-Förderprogramm Horizont 2020. Im November 2018 erwarb Santhera von Idorsia die Option auf eine exklusive Sublizenz auf Vamorolone in allen Indikationen und allen Ländern weltweit (ausser Japan und Südkorea).

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN), ein Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, ist auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für seltene neuromuskuläre und pulmonale Erkrankungen mit hohem medizinischen Bedarf fokussiert. Santhera baut ein Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) Produktportfolio auf zur Behandlung von Patienten unabhängig von ursächlichen Mutationen, Krankheitsstadium oder Alter. Ein Antrag auf Marktzulassung für Puldysa® (Idebenon) wird gegenwärtig von der Europäischen Arzneimittelagentur geprüft. Ausserdem hat Santhera eine Lizenzoption auf das first-in-class dissoziative Steroid Vamorolone, welches derzeit in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit DMD als Ersatz von Standard-Kortikosteroiden getestet wird. Die klinische Pipeline umfasst auch POL6014 zur Behandlung von Mukoviszidose (CF) und anderen neutrophilen Lungenerkrankungen sowie Omigapil und einen explorativen Gentherapieansatz für kongenitale Muskeldystrophien. Santhera hat die Ex-Nordamerika-Rechte an seinem ersten zugelassenen Produkt, Raxone® (Idebenon), zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) an Chiesi Group lizenziert. Weitere Informationen sind verfügbar unter www.santhera.com.

Raxone® und Puldysa® sind eingetragene Marken von Santhera Pharmaceuticals.

Über ReveraGen BioPharma

ReveraGen wurde 2008 gegründet, um neuartige dissoziative Steroid-Medikamente für Duchenne-Muskeldystrophie und andere chronische entzündliche Erkrankungen zu entwickeln. Die Entwicklung des wichtigsten Wirkstoffs von ReveraGen, Vamorolone, wurde durch Partnerschaften mit weltweiten Stiftungen unterstützt, darunter die 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, und der Duchenne Research Fund. ReveraGen erhielt auch grosszügige Unterstützung vom US-Verteidigungsministerium CDMRP, den National Institutes of Health (NCATS, NINDS, NIAMS) und der Europäischen Kommission (Horizon 2020). www.reveragen.com

Literaturverweise:

- [1] Hoffman EP et al. (2019). Vamorolone trial in Duchenne muscular dystrophy shows dose-related improvement of muscle function. *Neurology* 93(13):e1312-e1323. doi:10.1212/WNL.0000000000008168
- [2] Hoffman EP et al. (2018). Phase 1 trial of vamorolone, a first-in-class steroid, shows improvements in side effects via biomarkers bridged to clinical outcomes. *Steroids* 134: 43-52.
- [3] Conklin LS et al. (2018). Phase IIa trial in Duchenne muscular dystrophy shows vamorolone is a first-in-class dissociative steroidal anti-inflammatory drug. *Pharmacol Res.* 136:140-150. doi: 10.1016/j.phrs.2018.09.007.
- [4] Mavroudis PD et al. (2019). Population pharmacokinetics of vamorolone (VBP15) in healthy men and boys with Duchenne muscular dystrophy. *J Clin Pharmacol.* 59(7):979-988. doi: 10.1002/jcph.1388.
- [5] Heier CR et al. (2013). VBP15, a novel anti-inflammatory and membrane-stabilizer, improves muscular dystrophy without side effects. *EMBO Mol Med* 5: 1569-1585
- [6] Heier CR et al. (2019). Vamorolone targets dual nuclear receptors to treat inflammation and dystrophic cardiomyopathy. *Life Science Alliance* DOI 10.26508/lsa.201800186

Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:

Santhera

public-relations@santhera.com oder
Eva Kalias, Head External Communications
Tel.: +41 79 875 27 80
eva.kalias@santhera.com

ReveraGen

Eric Hoffman, CEO
Phone: + 1 240-672-0295
eric.hoffman@reveragen.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.

###