

Santhera erhält im Vereinigten Königreich die Zulassung für AGAMREE® (Vamorolon) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie

- *Zulassung von AGAMREE® im Vereinigten Königreich durch die Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) folgt auf die Marktzulassung dieses Medikaments in der EU und den USA*
- *MHRA erkennt Sicherheitsvorteile von AGAMREE in Bezug auf die Erhaltung der Knochengesundheit und des Wachstums im Vergleich zu Standardkortikosteroiden an*
- *Start der Markteinführung von AGAMREE in Europa, beginnend in Deutschland, ist für Q1-2024 geplant*

Pratteln, Schweiz, 12. Januar 2024 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass AGAMREE® (Vamorolon) im Vereinigten Königreich (UK) für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab 4 Jahren zugelassen wurde, unabhängig von der zugrunde liegenden Mutation und der Gehfähigkeit. Die britische Gesundheitsbehörde MHRA hat die Auffassung der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) übernommen und AGAMREE klinisch wichtige Sicherheitsvorteile in Bezug auf die Aufrechterhaltung eines normalen Knochenstoffwechsels, einer normalen Knochendichte und eines normalen Knochenwachstums im Vergleich zu den Standardkortikosteroiden bescheinigt, bei vergleichbarer Wirksamkeit [1].

“Wir sind begeistert, dass AGAMREE nach der U.S.-amerikanischen FDA und der europäischen EMA innerhalb weniger Monate zum dritten Mal von einer wichtigen Zulassungsbehörde für die Behandlung von Duchenne zugelassen wurde“, sagte **Shabir Hasham, MD, Chief Medical Officer von Santhera**. “Neben seiner entzündungshemmenden Wirkung haben sowohl die EMA als auch die MHRA die Vorteile einer Behandlung mit AGAMREE für Knochengesundheit und -wachstum anerkannt und das günstige Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil dieses neuartigen Medikaments im Vergleich zu herkömmlichen Kortikosteroiden hervorgehoben. Wir arbeiten darauf hin, AGAMREE den Patienten in UK in der zweiten Jahreshälfte 2024 zur Verfügung zu stellen, nachdem NICE seine Preisprüfung abgeschlossen hat. Die erste europäische Markteinführung wird in Deutschland im ersten Quartal erfolgen.”

“Wir sind hocherfreut, dass das erste, speziell für Menschen mit Duchenne entwickelte Medikament im Vereinigten Königreich zugelassen wurde“, sagten **Emily Reuben OBE, Chief Executive von Duchenne UK**, und **Alex Johnson OBE, Chief Executive von Joining Jack**, die Mitbegründer von Duchenne UK. “Als bei unseren Söhnen Duchenne diagnostiziert wurde, erhielten wir die Information, dass Steroide die Standardmedikation für Kinder mit Duchenne seien, um ihre Unabhängigkeit in der Mobilität länger zu bewahren, allerdings mit schädlichen Nebenwirkungen. Daher haben wir in die Suche nach fortschrittlicheren Behandlungsmethoden investiert. Duchenne UK sowie unsere Partnerorganisationen Joining Jack und der Duchenne Research Fund haben die frühe klinische Forschung finanziert, um Vamorolon an Patienten zu testen, als sonst niemand dazu bereit war. Die Tatsache, dass es nun im Vereinigten Königreich für die Behandlung von DMD zur Verfügung steht, belegt, dass wir fortschrittlichere Therapien für Duchenne entwickeln und somit einen Wandel für Duchenne herbeiführen können.”

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

Die Zulassung durch die Europäische Kommission stützte sich auf Daten aus der positiven VISION-DMD-Zulassungsstudie und drei offenen Studien, in denen Vamorolon in Dosierungen zwischen 2 und 6 mg/kg/Tag über eine Gesamtbehandlungsdauer von bis zu 30 Monaten verabreicht wurde. In der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie behielten die mit Vamorolon behandelten Jungen im Durchschnitt ein ähnliches Wachstum wie die mit Placebo behandelten, während bei mit Prednison behandelten Jungen im Durchschnitt ein Wachstumsrückgang zu verzeichnen war. Bei der Umstellung von Prednison auf Vamorolon nach 24 Wochen Behandlung nahmen diese Jungen bis zum Ende der Studie im Durchschnitt wieder an Grösse zu.

Im Gegensatz zu Kortikosteroiden führte Vamorolon in den klinischen Studien nach 48 Wochen weder zu einer Verringerung des Knochenstoffwechsels, gemessen durch Knochenbiomarker, noch zu einer signifikanten Verringerung der Knochenmineralisierung in der Wirbelsäule, gemessen durch Dual-Energy X-Ray Absorptiometry (DXA). Patienten, die von einem Standardkortikosteroid auf AGAMREE umgestellt wurden, behielten zudem den Wirksamkeitsvorteil bei, während sie ihr Wachstum und ihre Knochengesundheit wiedererlangten.

Santhera wird weiterhin Daten sammeln, um die langfristige Wirksamkeit und die breit abgestützten Sicherheitsunterschiede von Vamorolon zu charakterisieren.

Diese Zulassung folgt auf die Zulassung von AGAMREE durch die U.S.-amerikanische Food and Drug Administration (FDA) für die Behandlung von DMD bei Patienten ab 2 Jahren in den USA und die Zulassung durch die Europäische Kommission für die Behandlung von DMD bei Patienten ab 4 Jahren in der EU. Damit ist AGAMREE das erste und einzige Arzneimittel, das in der EU und in UK uneingeschränkt für DMD zugelassen ist, und das erste Arzneimittel, das für die Behandlung von DMD in allen drei Regionen zugelassen ist.

Über AGAMREE® (Vamorolon)

Vamorolon ist ein neuartiges Arzneimittel mit einem Wirkmechanismus, der auf der Bindung an denselben Rezeptor wie Glukokortikoide beruht, aber dessen nachgeschaltete Aktivität modifiziert und kein Substrat für die 11- β -Hydroxysteroid-Dehydrogenase (11 β -HSD) Enzyme ist, das für die lokale Erhöhung im Gewebe und die kortikosteroid-assoziierte Toxizität in lokalen Geweben verantwortlich sein dürfte, und gilt daher als dissoziativer Entzündungshemmer [2-4]. Dieser Mechanismus hat das Potenzial, die Wirksamkeit von den Sicherheitsbedenken gegenüber Steroiden zu entkoppeln. Daher könnte Vamorolon eine Alternative zu den bestehenden Glukokortikoiden, der derzeitigen die Standardtherapie für Kinder und Jugendliche mit DMD, darstellen [2-4].

In der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie erreichte Vamorolon den primären Endpunkt Geschwindigkeit der Aufstehbewegung (TTSTAND) im Vergleich zu Placebo ($p=0,002$) nach 24 Behandlungswochen und zeigte ein günstiges Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil [3]. 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.

Die derzeit verfügbaren Daten zeigen, dass Vamorolon 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].

AGAMREE (Vamorolon) hat in den USA und in Europa den Orphan-Drug-Status für DMD erhalten und wurde von der FDA als "Fast Track" und "Rare Pediatric Disease" sowie von der britischen MHRA als "Promising Innovative Medicine" (PIM) für DMD anerkannt. AGAMREE ist in den USA, der EU und in UK für die Anwendung zugelassen.

Literaturverweise:

- [1] Summary of product characteristics (SmPC) / European public assessment report (EPAR)
- [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 und pulmonale 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 britischen Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) zugelassen. Santhera hat die Rechte an Vamorolon für Nordamerika an Catalyst Pharmaceuticals und für China an Sperogenix Therapeutics auslizenziert. Die klinische Pipeline umfasst auch Lonodelestat zur Behandlung von zystischer Fibrose (CF) und anderen neutrophilen Lungenkrankheiten. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.santhera.de.

AGAMREE® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

public-relations@santhera.com oder

Eva Kalias, Head Investor Relations & Communications

Tel.: +41 79 875 27 80

eva.kalias@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.

###