

## **Santhera und ReveraGen präsentieren Phase 2a/2b-Wirksamkeitsdaten und neue Verträglichkeitsdaten mit Vamorolone an kommenden Konferenzen**

Pratteln, Schweiz, und Rockville, MD, USA, 23. September 2021 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) und ReveraGen BioPharma, Inc. (US: privat) geben bekannt, dass sie auf der bevorstehenden *World Muscle Society (WMS) 2021 Virtual Annual Conference* und der *The American Society for Bone and Mineral Research (ASBMR) 2021 Annual Meeting* die positiven Ergebnisse der VISION-DMD-Zulassungsstudie und neue Analysen zur Sicherheit und Verträglichkeit bei Langzeitbehandlung mit Vamorolone vorstellen werden.

Kürzlich gaben Santhera und ReveraGen statistisch hochsignifikante und klinisch relevante Daten aus der zulassungsrelevanten Phase-2b-Studie VISION-DMD bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bekannt [1-3]. In der ersten 24-wöchigen Phase dieser Studie zeigte Vamorolone im Vergleich zu Placebo statistisch signifikante und klinisch relevante Verbesserungen bei fünf funktionellen Messgrössen und über einen dreifachen Dosisbereich von 2 bis 6 mg/kg/Tag. Die Wirksamkeitsdaten bestätigen frühere Ergebnisse aus einer Phase-2a-Langzeitanschlussstudie, in der Vamorolone nach 30 Monaten Behandlung eine vergleichbare Wirksamkeit wie mit Kortikoiden behandelte DMD-Patienten zeigte [4]. Auf der Grundlage der klinischen Studienergebnisse, einschliesslich der Langzeitverträglichkeitsdaten von bis zu 30 Monaten, war Vamorolone in Dosen bis zu 6 mg/kg/Tag im Allgemeinen gut verträglich. Die Daten zeigen, dass die Behandlung mit Vamorolone die Entwicklung der Körpergrösse bewahrt und im Vergleich zu Prednison deutlich weniger nachteilige Auswirkungen auf Messparameter zur Knochengesundheit und auf Verhaltensänderungen hat [3-6]. Dieses einzigartige Nutzen-Risiko-Profil über einen weiten Dosisbereich könnte einen vielversprechenden therapeutischen Ansatz für die chronische Behandlung von DMD-Patienten darstellen, der ein individualisiertes und optimiertes Behandlungsschema ermöglicht.

Wirksamkeitsdaten und aktuelle Analysen zur Sicherheit und Verträglichkeit aus Studien mit Vamorolone werden im Folgenden vorgestellt:

World Muscle Society (WMS) 2021 Virtual Annual Conference (20. bis 24. September 2021)

**“Vamorolone versus placebo and prednisone in Duchenne muscular dystrophy: Results from a 24-week double-blind randomized trial”**

Late-breaking poster (LBP.11/EP 524, 23. September, 16:30-18:30 BST)

**“Vamorolone versus corticosteroid real-world experience: Comparisons of 2-year treatment period with NorthStar UK Network and CINRG Duchenne natural history study”**

Late-breaking poster (LBP.08/EP 521, 23. September, 16:30-18:30 BST)

**“2.5-years of vamorolone treatment in Duchenne muscular dystrophy: Results of an open label long-term extension”**

Vortrag (O.3a, 23. September, 14:00-15:00 Uhr MESZ) und Posterpräsentation (EP.147, 23. September, 16:30-18:30 Uhr MESZ)

The American Society for Bone and Mineral Research (ASBMR) 2021 Annual Meeting (1. bis 4. Oktober 2021)

**“Vamorolone, a first-in-class dissociative steroid, is associated with improved muscle strength and favorable bone and growth plate profiles in young boys with ambulatory Duchenne Muscular Dystrophy”**

Vortrag (LB-1113, 4. Oktober, 11:30-11:45 PT)

Vamorolone wird als erstes dissoziatives Steroid seiner Klasse mit einer geringeren Inzidenz von kortikosteroidbedingten Nebenwirkungen untersucht. Die zulassungsrelevante VISION-DMD-Studie erreichte ihren primären Endpunkt der Überlegenheit von Vamorolone (6 mg/kg/Tag) gegenüber Placebo bei der Veränderung der Aufstehgeschwindigkeit von der Rückenlage zum Stehen (TTSTAND) ( $p=0,002$ ) mit einem Behandlungsunterschied von 0,06 [95% CI: 0,02-0,10] Aufstehbewegungen pro Sekunde gegenüber dem Ausgangswert nach 24 Wochen. Die Studie zeigte auch die Überlegenheit beider Vamorolone-Dosierungen (2 und 6 mg/kg/Tag) gegenüber Placebo bei mehreren sekundären Endpunkten. Wichtig ist, dass Vamorolone im Vergleich zu Prednison ein günstiges Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil aufwies. Vamorolone hemmte das Wachstum nicht, wie in der aktuellen 24-Wochen-Studie bestätigt wurde, in der Vamorolone 6 mg/kg/Tag im Vergleich zu Prednison 0,75 mg/kg/Tag einen signifikanten Unterschied in der Wachstumsgeschwindigkeit zeigte ( $p=0,02$ ). Darüber hinaus wurden in Woche 24 statistisch signifikante Unterschiede zwischen den Gruppen mit Vamorolone (2 und 6 mg/kg/Tag) und Prednison bei den Biomarkern zur Beurteilung der Knochengesundheit festgestellt: Osteocalcin, N-terminales Propeptid von Prokollagen 1 (P1NP) und C-Telopeptide von Typ-I-Kollagen (CTX) ( $p<0,001$  für beide Dosierungen von Vamorolone im Vergleich zu Prednison für alle drei Parameter). Auf der Grundlage der vorliegenden Daten könnte sich Vamorolone als vielversprechende Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden erweisen, die derzeit die Standardtherapie bei Kindern und Jugendlichen mit DMD darstellen.

Verweise:

- [1] ClinicalTrials.gov-Identifizier: NCT03439670
- [2] Pressemitteilung "Santhera und ReveraGen geben positive und statistisch hochsignifikante Topline-Ergebnisse mit Vamorolone in der VISION-DMD-Zulassungsstudie bekannt", 1. Juni 2021, [Link](#)
- [3] Hoffman E. Präsentiert auf der virtuellen PPMD-Jahreskonferenz, 22. bis 26. Juni 2021.
- [4] Mah JK, et al. 2021. [Manuskript in Arbeit]
- [5] Hoffman E, et al. Neurology. 2019 Sep 24; 93(13): e1312–e1323
- [6] Data on File. ReveraGen Biopharma, Rockville, MD

**Über Vamorolone**

Vamorolone ist der erste Medikamentenkandidat seiner Klasse, der als dissoziatives Steroid die entzündungshemmende Aktivität von Steroiden beibehält aber gleichzeitig die schädliche Wirkung reduziert. Daher könnte sich Vamorolone als vielversprechende Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden erweisen, dem derzeitigen Behandlungsstandard bei Kindern und Jugendlichen mit DMD. In dieser Patientengruppe besteht ein bedeutender ungedeckter medizinischer Bedarf, da hochdosierte Kortikosteroide erhebliche systemische Nebenwirkungen haben, die die Lebensqualität der Patienten einschränken.

Vamorolone wurde von der US-amerikanischen ReveraGen BioPharma, Inc. entdeckt und wird in Zusammenarbeit mit Santhera entwickelt, die die weltweiten Rechte an dem Medikamentenkandidaten in allen Indikationen besitzt. Das Vamorolone-Entwicklungsprogramm wurde von mehreren

internationalen gemeinnützigen Stiftungen und Patientenorganisationen, den US National Institutes of Health, dem US-Verteidigungsministerium und dem Horizon 2020-Programm der Europäischen Kommission gefördert.

### **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 konzentriert. Santhera verfügt über eine exklusive Lizenz für alle Indikationen weltweit für Vamorolone, ein erstes dissoziatives Steroid mit neuartiger Wirkungsweise, das in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit DMD als Alternative zu Standardkortikosteroiden untersucht wurde. Die klinische Pipeline umfasst auch Lonodelestat (POL6014) zur Behandlung von Mukoviszidose (CF) und anderen neutrophilen Lungenkrankheiten sowie einen explorativen Gentherapie-Ansatz zur Behandlung von kongenitalen Muskeldystrophien. Santhera hat die ex-nordamerikanischen Rechte für ihr erstes zugelassenes Produkt, Raxone® (Idebenone), zur Behandlung der Leberschen hereditären Optikusneuropathie (LHON) an die Chiesi Gruppe auslizenziiert. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte [www.santhera.com](http://www.santhera.com).

*Raxone® ist eine Marke von Santhera Pharmaceuticals.*

### **Über ReveraGen BioPharma**

ReveraGen wurde 2008 gegründet, um erstklassige dissoziative steroidale Medikamente für Duchenne-Muskeldystrophie und andere chronisch entzündliche Erkrankungen zu entwickeln. Die Entwicklung von ReveraGens Leitsubstanz Vamorolone wurde auch durch Partnerschaften mit Stiftungen weltweit unterstützt, darunter 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, Duchenne Research Fund, and Jesse's Journey. ReveraGen hat auch grosszügige Unterstützung vom US-Verteidigungsministerium CDMRP, den National Institutes of Health (NCATS, NINDS, NIAMS) und der Europäischen Kommission (Horizons 2020) erhalten. [www.reveragen.com](http://www.reveragen.com)

### **Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:**

#### **Santhera**

Santhera Pharmaceuticals Holding AG, Hohenrainstrasse 24, CH-4133 Pratteln

[public-relations@santhera.com](mailto:public-relations@santhera.com) or

Eva Kalias, Head External Communications

Phone: +41 79 875 27 80

[eva.kalias@santhera.com](mailto:eva.kalias@santhera.com)

#### **ReveraGen BioPharma**

Eric Hoffman, PhD, President and CEO

Phone: + 1 240-672-0295

[eric.hoffman@reveragen.com](mailto: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.

###