

Santhera reicht bei der britischen Arzneimittelbehörde MHRA einen Zulassungsantrag für Vamorolone zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie ein

Pratteln, Schweiz, 2. März 2023 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass das Unternehmen bei der britischen Arzneimittelbehörde MHRA (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency) einen Antrag auf Marktzulassung (MAA) für Vamorolone zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) eingereicht hat.

Parallel zur Einreichung des MAA bei der britischen MHRA bereitet Santhera derzeit einen Antrag auf Aufnahme von Vamorolone für die Behandlung von DMD in das *Early Access to Medicines Scheme* (EAMS) vor. Ziel von EAMS ist es, Patienten mit lebensbedrohlichen oder stark beeinträchtigenden Erkrankungen Zugang zu Medikamenten zu verschaffen, die noch keine Zulassung haben, wenn ein eindeutiger medizinischer Bedarf besteht.

“Wir sind stolz darauf, innerhalb weniger Monate das dritte Zulassungsgesuch für Vamorolone bei DMD bei einer wichtigen Zulassungsbehörde eingereicht zu haben. Dies unterstreicht unsere Entschlossenheit, Patienten, die eine wirksame und gut verträgliche Therapie benötigen, eine neue Behandlung anzubieten“, sagte **Shabir Hasham, MD, CMO von Santhera**. “Wir freuen uns auf eine enge Zusammenarbeit mit der MHRA während des MAA- und EAMS-Prüfverfahrens mit dem Ziel, den Patienten in Grossbritannien rasch eine neue Therapie zur Verfügung zu stellen.”

Im Zentrum des MAA-Antrags stehen positive Daten aus der zulassungsrelevanten Phase-2b-Studie VISION-DMD, die (1) einen 24-wöchigen Zeitraum zum Nachweis der Wirksamkeit und Sicherheit von Vamorolone (2 und 6 mg/kg/Tag) im Vergleich zu Placebo und Prednison (0,75 mg/kg/Tag) umfasste, gefolgt von (2) einem 24-wöchigen Zeitraum zur Beurteilung der Aufrechterhaltung der Wirksamkeit und zur Erhebung zusätzlicher längerfristiger Daten zur Sicherheit und Verträglichkeit [1]. Darüber hinaus umfasst der MAA Daten aus drei offenen Studien, in denen Vamorolone in Dosierungen zwischen 2 und 6 mg/kg/Tag über einen Behandlungszeitraum von insgesamt bis zu 30 Monaten verabreicht wurde [2].

In den USA hat die Food and Drug Administration (FDA) den 26. Oktober 2023 als Zieldatum für den Prescription Drug User Fee Act (PDUFA) festgelegt, an dem die Zulassung des NDA-Antrags (new drug application) für Vamorolone bei DMD erwartet wird. In der EU wurde ein entsprechender MAA validiert und wird derzeit von der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) geprüft, wobei die Zulassung gegen Ende 2023 erwartet wird. Vorbehaltlich der Zulassungen plant Santhera die Markteinführung von Vamorolone in den USA und der EU im Q4-2023.

Vamorolone 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.

Über Vamorolone

Vamorolone ist ein Wirkstoffkandidat, dessen Wirkungsweise darauf beruht, dass er an denselben Rezeptor wie Kortikosteroide bindet, aber dessen nachgeschaltete Aktivität verändert, und der daher als dissoziativer Entzündungshemmer gilt [1-5]. Dieser Mechanismus hat das Potenzial, die Wirksamkeit von den Sicherheitsbedenken gegenüber Steroiden zu entkoppeln. Daher könnte Vamorolone eine Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden, der derzeitigen 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. Vamorolone ist ein Prüfpräparat und derzeit von keiner Gesundheitsbehörde für die Anwendung zugelassen.

Referenzen:

- [1] Guglieri M et al (2022). JAMA Neurol. Online publiziert am 29. August 2022. doi:10.1001/jamaneurol.2022.2480. [Link](#).
- [2] Mah JK et al (2022). JAMA Netw Open. 2022;5(1):e2144178. doi:10.1001/jamanetworkopen.2021.44178. [Link](#).
- [3] Guglieri M et al (2022) JAMA. doi:10.1001/jama.2022.4315
- [4] Heier CR et al (2019). Life Science Alliance DOI: 10.26508
- [5] Liu X et al (2020). Proc Natl Acad Sci USA 117:24285-24293

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 für alle Indikationen weltweit für Vamorolone, ein dissoziatives Steroid mit neuartiger Wirkungsweise, das in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) als Alternative zu Standardkortikosteroiden untersucht wurde. Für Vamorolone zur Behandlung von DMD hat Santhera bei der amerikanischen Arzneimittelbehörde FDA ein Zulassungsgesuch (NDA) bzw. bei der europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) einen Zulassungsantrag (MAA) in Überprüfung und bei der britischen Arzneimittelbehörde MHRA (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency) einen MAA eingereicht. Die klinische Pipeline umfasst auch Lonodelestat zur Behandlung von zystischer Fibrose (CF) und anderen neutrophilen Lungenkrankheiten. Santhera hat die Rechte an ihrem ersten zugelassenen Produkt, Raxone® (Idebenone), ausserhalb Nordamerikas und Frankreichs zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) an die Chiesi-Gruppe auslizenziert. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte 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 chronische Entzündungskrankheiten zu entwickeln. Die Entwicklung von ReveraGens Leitsubstanz Vamorolone wurde durch Partnerschaften mit Stiftungen weltweit 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, Duchenne Research Fund und Defeat Duchenne Canada. 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

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

Santhera

Santhera Pharmaceuticals Holding AG, Hohenrainstrasse 24, CH-4133 Pratteln
public-relations@santhera.com oder

Eva Kalias, Head Investor Relations & Communications

Telefon: +41 79 875 27 80

eva.kalias@santhera.com

ReveraGen BioPharma

Eric Hoffman, PhD, President und CEO

Telefon: + 1 240-672-0295

eric.hoffman@reveragen.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 diesen Aussagen ausgedrückt 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.

###