

Vamorolone NDA Mid-Cycle Review Meeting durch FDA abgeschlossen

Pratteln, Schweiz, und Rockville, MD, USA, 25. April 2023 -- Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) und ReveraGen BioPharma, Inc. geben bekannt, dass die U.S.-Gesundheitsbehörde FDA das Mid-Cycle Review Meeting für den Zulassungsantrag (NDA) für Vamorolone zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) erfolgreich abgeschlossen hat.

Im Rahmen des kürzlich abgehaltenen Meetings zur Halbzeitüberprüfung teilte die FDA mit, dass bis zu diesem Zeitpunkt in ihrer laufenden Beurteilung keine signifikanten Prüfungs- oder Sicherheitsbedenken festgestellt wurden. Die FDA bekräftigte ihre frühere Entscheidung, auf ein Advisory Committee Meeting zu verzichten. Darüber hinaus bestätigte die FDA das PDUFA-Datum des 26. Oktober 2023, an dem ein Zulassungsentscheid zum Vamorolone NDA-Antrag erwartet wird.

Im Rahmen der laufenden NDA-Prüfung führte die FDA mehrere Inspektionen an verschiedenen Standorten durch, unter anderem beim Auftragshersteller, dem Sponsor der Studien und bestimmten klinischen Prüfzentren. Alle bisherigen Inspektionen wurden mit zufriedenstellenden Ergebnissen abgeschlossen.

“Wir sind sehr erfreut, diese Phase des Prüfverfahrens abgeschlossen zu haben”, sagte **Shabir Hasham, MD, Chief Medical Officer von Santhera**. “Wir freuen uns auf eine enge Zusammenarbeit mit der FDA während des verbleibenden Prüfverfahrens und sind zuversichtlich, Patienten mit DMD in den USA bald eine neuartige Therapie anbieten zu können.”

“Die Fortschritte, die wir bisher gemacht haben, und die positiven Interaktionen mit der FDA bestärken uns in dem, was wir bereits erreicht haben”, sagte **Eric Hoffman, PhD, President und CEO von ReveraGen BioPharma**. “Schritt für Schritt sind wir dem Ziel nähergekommen, den Patienten eine neuartige Therapie zur Verfügung zu stellen, die, wenn sie zugelassen wird, dazu beitragen würde, den derzeitigen Standard der Behandlung bei DMD zu verbessern.”

In Europa verläuft die Prüfung des Zulassungsantrags (MAA) für Vamorolone durch die Europäische Arzneimittelagentur (EMA) planmässig. Eine CHMP-Stellungnahme wird für Q4-2023 erwartet, gefolgt von einem Zulassungsentscheid der Europäischen Kommission (EK) Ende 2023. In Grossbritannien wird ein entsprechender MAA von der Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) geprüft. Vorbehältlich der Genehmigungen plant Santhera die Markteinführung von Vamorolone sowohl in den USA als auch in der EU gegen Ende 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 Glukokortikoiden, 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. 2022;79(10):1005-1014. 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 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 auslizenziiert. 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.

###