

Ad-hoc-Mitteilung gemäss Art. 53 KR

Santhera erhält die U.S. FDA-Zulassung für AGAMREE® (Vamorolon) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie

- *Die amerikanische Zulassungsbehörde FDA hat AGAMREE® (Vamorolon) für die Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Kindern und Erwachsenen ab 2 Jahren zugelassen*
- *U.S.-Lizenznehmer Catalyst Pharmaceuticals plant die Markteinführung im Q1-2024*
- *FDA-Zulassung löst Zahlungsverpflichtung von Catalyst an Santhera in Höhe von USD 36 Millionen aus, davon USD 26 Millionen zur Deckung von Santhera's Meilensteinverpflichtungen gegenüber Dritten*
- *Nach der jüngsten positiven CHMP-Stellungnahme zu AGAMREE bei DMD wird die Zulassung durch die Europäische Kommission (EC) in Europa für Ende 2023 erwartet*
- *AGAMREE wäre dann das erste sowohl in den USA und Europa uneingeschränkt zugelassene Medikament für die Behandlung von Patienten mit DMD*

Pratteln, Schweiz, 27. Oktober 2023 - Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass die U.S. Food and Drug Administration (FDA) AGAMREE® (Vamorolon) orale Suspension 40 mg/ml für die Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab 2 Jahren zugelassen hat.

“Wir sind begeistert über die Zulassung durch die FDA, die nur wenige Wochen nach der positiven Stellungnahme des CHMP der Europäischen Arzneimittelagentur erfolgt. Dies ist ein sehr wichtiger Moment für DMD-Patienten, die eine wirksame und gut verträgliche Therapie für diese schwere Krankheit benötigen”, sagte **Dario Eklund, CEO von Santhera**. “Heute ist ein sehr erfreulicher Tag für das Team von Santhera, und wir sind den Patienten, ihren Familien und den Ärzten, die am Vamorolon-Programm teilgenommen haben, dankbar. Wir freuen uns auf die enge Zusammenarbeit mit unserem Partner Catalyst Pharmaceuticals im Hinblick auf die Kommerzialisierung des Produkts in den USA.”

“Diese neue Medikamentenzulassung gibt Duchenne-Patienten und ihren Familien einen weiteren Grund zur Hoffnung”, sagte **Pat Furlong, Founding President & CEO von Parent Project Muscular Dystrophy (PPMD)**. “Steroide gelten als Standardbehandlung für Duchenne, weil sie das Fortschreiten der Krankheit verlangsamen können. Sie sind jedoch oft mit erheblichen Nebenwirkungen verbunden. Vamorolon hat das Potenzial, ein alternatives Steroid mit einem besseren Verträglichkeitsprofil zu sein, das einen wichtigen ungedeckten medizinischen Bedarf der Patienten anspricht.”

“Ich bin sehr froh für die Duchenne-Gemeinschaft, die seit langem auf eine Alternative zur derzeitigen Standardbehandlung wartet. Die heutige Nachricht ist der Höhepunkt jahrelanger Forschung, um den Patienten Vamorolon zur Verfügung zu stellen”, sagte **Eric Hoffman, PhD, President und CEO von ReveraGen BioPharma**. “Es erfüllt uns mit Zufriedenheit, dass wir gemeinsam mit Santhera, der DMD-Patientengemeinschaft, Forschern und Ärzten diesen wichtigen Meilenstein erreicht haben.”

Die FDA-Zulassung von AGAMREE® stützte sich auf Daten der zulassungsrelevanten Phase-2b-Studie VISION-DMD, die durch Informationen zur Sicherheit aus drei offenen Studien (einschliesslich Anschlussphase) ergänzt wurden. In diesen Studien wurde AGAMREE in Dosierungen von 2 bis 6 mg/kg/Tag über eine Gesamtbehandlungsdauer von bis zu 48 Monaten verabreicht. Im Vergleich zu den derzeitigen Standardkortikosteroiden zeigte diese neuartige Kortikosteroidbehandlung eine vergleichbare Wirksamkeit, wobei die Studienresultate auf eine Verringerung der unerwünschten Ereignisse, insbesondere im Zusammenhang mit der Knochengesundheit, dem Wachstumsverlauf und Verhaltensänderungen hindeuten. Die Studien wurden von Santhera's Partner ReveraGen und 32 akademischen klinischen Studienzentren in 11 Ländern durchgeführt.

Nach erfolgter FDA-Zulassung von AGAMREE für DMD wird Catalyst USD 36 Millionen an Santhera zahlen, davon USD 10 Millionen für das Unternehmen und USD 26 Millionen zur Erfüllung von vertraglich vereinbarten Meilensteinzahlungen an Dritte. Im Rahmen der Vereinbarung wird Catalyst zudem umsatzabhängige Meilensteine in Höhe von bis zu USD 105 Millionen sowie Lizenzgebühren im bis zu tiefen zweistelligen Prozentbereich an Santhera zahlen, und wird ausserdem die entsprechenden Lizenzverpflichtungen von Santhera an Dritte auf Vamorolon-Verkäufen in allen Indikationen in Nordamerika übernehmen.

Santhera wird nun die U.S.-Vermarktungsrechte (NDA) für AGAMREE an den Partner Catalyst Pharmaceuticals übertragen, der die Exklusivlizenz für AGAMREE in Nordamerika hält und plant, das Produkt im ersten Quartal 2024 in den USA einzuführen.

In Europa wird nach der positiven Stellungnahme des CHMP vom 12. Oktober 2023 die Zulassung von AGAMREE (Vamorolon) für die Behandlung von DMD durch die Europäische Kommission für Ende 2023 erwartet. Vorbehältlich der Genehmigung wird AGAMREE das einzige Arzneimittel sein, das in beiden Regionen, der EU und den USA, uneingeschränkt für die Behandlung von DMD zugelassen ist.

Über AGAMREE® (Vamorolon)

Vamorolon ist ein neuartiger Arzneimittelkandidat 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 (11β-HSD) Enzyme ist, das für die lokale Erhöhung im Gewebe und die kortikosteroid-assoziierte Toxizität in lokalen Geweben verantwortlich sein dürfte [1-3]. Dieser Mechanismus hat das Potenzial, die Wirksamkeit von den Sicherheitsbedenken gegenüber Steroiden zu entkoppeln bzw. zu dissoziieren. Daher könnte Vamorolon eine Alternative zu den bestehenden Glukokortikoiden, der derzeitigen Standardtherapie für Kinder und Jugendliche mit DMD, darstellen [1-3].

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 [2]. 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 [4] und keine negativen Auswirkungen auf den Knochenstoffwechsel hat, was durch normale Serummarker für Knochenbildung und -resorption belegt wird [5].

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. Vamorolon ist derzeit von keiner Gesundheitsbehörde ausserhalb der USA für die Anwendung zugelassen.

Literaturverweise:

- [1] Guglieri M et al (2022). JAMA Neurol. 2022;79(10):1005-1014. doi:10.1001/jamaneurol.2022.2480. [Link](#).
- [2] Liu X et al (2020). Proc Natl Acad Sci USA 117:24285-24293
- [3] Heier CR et al (2019). Life Science Alliance DOI: 10.26508
- [4] Ward et al., WMS 2022, FP.27 - Poster 71. [Link](#).
- [5] 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 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 von der US-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA) zugelassen; in Europa hat der Zulassungsantrag (MAA) im Oktober 2023 eine positive Stellungnahme des CHMP der Europäischen Arzneimittelagentur erhalten und wird derzeit von der britischen Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) geprüft. 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.

###