

Santhera's Partner Catalyst Pharmaceuticals lanciert AGAMREE® (Vamorolon) in den Vereinigten Staaten

- AGAMREE® ist von der U.S. FDA zugelassen und jetzt in den USA für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab 2 Jahren erhältlich
- Dies folgt auf die erste kommerzielle Einführung von AGAMREE in Deutschland im Januar 2024 durch Santhera
- AGAMREE ist die erste DMD-Behandlung, die in den USA, der EU und dem Vereinigten Königreich zugelassen ist

Pratteln, Schweiz, 14. März 2024 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) freut sich, die Markteinführung von AGAMREE® (Vamorolon) zur Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) in den Vereinigten Staaten (USA) durch Catalyst Pharmaceuticals, Inc. (NASDAQ: CPRX), dem Vermarktungspartner des Unternehmens für Nordamerika, bekannt zu geben.

“Wir gratulieren unserem Partner Catalyst zur Einführung von AGAMREE® in den Vereinigten Staaten. Nach der ersten weltweiten Markteinführung dieses neuartigen Produkts in Deutschland im Januar stellt diese Lancierung einen wichtigen nächsten Schritt dar, um AGAMREE so schnell wie möglich für möglichst viele Patienten mit DMD verfügbar zu machen“, sagte **Dario Eklund, CEO von Santhera**.

Die Markteinführung von AGAMREE in den USA folgt auf die Zulassung des Produkts durch die US-amerikanische Food and Drug Administration (FDA) am 26. Oktober 2023, basierend auf den Daten der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie, die kürzlich in der Fachzeitschrift *Neurology* veröffentlicht wurde, und ergänzt durch Daten zur Sicherheit aus drei offenen Studien, einschliesslich Anschlussstudien.

Gemäss der Lizenzvereinbarung zwischen den beiden Unternehmen, die erstmals im Juni 2023 bekannt gegeben wurde, hält Catalyst eine exklusive Lizenz zur Vermarktung von AGAMREE in Nordamerika für DMD und alle potenziellen zukünftigen Indikationen. Im Rahmen der Vereinbarung wird Catalyst an Santhera umsatzabhängige Meilensteine in Höhe von bis zu USD 105 Millionen sowie Lizenzgebühren im bis zu tiefen zweistelligen Prozentbereich zahlen, und Santhera's entsprechende Royalties gegenüber Dritten auf AGAMREE-Verkäufe in allen Indikationen in Nordamerika übernehmen.

Weitere Informationen sind in der Ankündigung von Catalyst [hier](#) einsehbar.

Über AGAMREE® (Vamorolon)

AGAMREE ist ein neuartiges Arzneimittel mit einem Wirkmechanismus, der auf der Bindung an denselben Rezeptor wie Glukokortikoide beruht, jedoch dessen nachgeschaltete Aktivität modifiziert. Zudem ist es kein Substrat für die 11-β-Hydroxysteroid-Dehydrogenase (11β-HSD) Enzyme, die für lokal erhöhte Wirkstoffspiegel und die kortikosteroid-assoziierte Toxizität in lokalen Geweben verantwortlich sein dürften [1-4]. Dieser Mechanismus hat das Potenzial, die Wirksamkeit von den Sicherheitsbedenken

gegenüber Steroiden zu entkoppeln, weshalb AGAMREE als dissoziativer Entzündungshemmer und Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden, der derzeitigen Standardtherapie für Kinder und Jugendliche mit DMD, positioniert ist [1-4].

In der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie erreichte AGAMREE den primären Endpunkt Geschwindigkeit der Aufstehbewegung (TTSTAND) im Vergleich zu Placebo ($p=0,002$) nach 24 Behandlungswochen und zeigte ein günstiges Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil [1, 4]. Die am häufigsten gemeldeten Nebenwirkungen waren cushingoides Aussehen, Erbrechen, Gewichtszunahme und Reizbarkeit. Im Allgemeinen waren die Nebenwirkungen von leichtem bis mittlerem Schweregrad.

Die derzeit verfügbaren Daten zeigen, dass AGAMREE 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), ein Arzneimittel für seltene Leiden, ist in den USA ([prescribing information](#)), der Europäischen Union ([Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels](#)) und im Vereinigten Königreich für die Anwendung zugelassen.

Literaturverweise:

- [1] Dang UJ et al. (2024) Neurology 2024;102:e208112. doi.org/10.1212/WNL.0000000000208112. [Link](#).
- [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 US-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA), in der EU von der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) und im Vereinigten Königreich von der Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) zugelassen. Santhera hat die Rechte an Vamorolon für Nordamerika an Catalyst Pharmaceuticals, Inc. 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.

###