

## **Santhera erhält von NICE eine positive Empfehlung für AGAMREE® (Vamorolon) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie**

- *AGAMREE® wurde von NICE zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab 4 Jahren in England, Wales und Nordirland empfohlen*
- *Santhera wird eng mit dem NHS England, dem NHS Wales und dem NHS Nordirland zusammenarbeiten, um einen schnellen Zugang für Patienten zu gewährleisten*
- *Santhera strebt auch die Kostenerstattung durch das Scottish Medicines Consortium (SMC) an, um den Zugang für Patienten in Schottland sicherzustellen*

**Pratteln, Schweiz, 10. Dezember 2024 - Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass das National Institute for Health and Care Excellence (NICE) eine Leitlinie herausgegeben hat, die AGAMREE® (Vamorolon) für den Einsatz im National Health Service (NHS) in England, Wales und Nordirland zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab 4 Jahren empfiehlt.**

"DMD ist eine schlimme Krankheit, die häufigste und schwerste Form von Muskeldystrophie, und die Patienten brauchen dringend verbesserte Behandlungsmöglichkeiten", sagte **Dario Eklund, CEO von Santhera**. "Wir freuen uns, dass NICE AGAMREE für Patienten mit DMD empfohlen hat, und wir werden eng mit dem NHS zusammenarbeiten, um sicherzustellen, dass die Patienten so schnell wie möglich Zugang zu AGAMREE erhalten."

**Emily Reuben, Chief Executive von Duchenne UK**, sagte: "Wir sind sehr stolz darauf, dass eine Behandlung, die wir so lange unterstützt haben, jetzt im NHS verfügbar sein wird. Die Zulassung von Vamorolon (AGAMREE) ist der Höhepunkt einer weltweiten Anstrengung von Wissenschaftlern, Klinikern und Patientenverbänden, die in die Entwicklung von Vamorolon investiert und diese gefördert haben."

**Professor Michela Guglieri, Consultant Neurologist beim Newcastle Hospitals NHS Foundation Trust**, fügte hinzu: "AGAMREE stellt einen bedeutenden Fortschritt in der Behandlung von DMD dar und bietet den Patienten eine alternative Möglichkeit, das Fortschreiten der Krankheit zu verlangsamen, während einige der Nebenwirkungen traditioneller Kortikosteroide, die die Lebensqualität der Patienten beeinträchtigen, reduziert werden. Diese Empfehlung durch NICE ist ein entscheidender Schritt nach vorn, um die Versorgung von DMD-Patienten in England, Wales und Nordirland zu verbessern."

Mit dieser positiven Empfehlung wird erwartet, dass AGAMREE innerhalb von 90 Tagen in England, Wales und Nordirland erstattet und zur Verfügung gestellt werden kann. Das Unternehmen durchläuft ausserdem den Erstattungsprozess mit dem Scottish Medicines Consortium (SMC), um den Zugang zu AGAMREE für Patienten in Schottland zu ermöglichen.

AGAMREE ist das erste und einzige Arzneimittel für DMD, das in der EU, den USA und dem Vereinigten Königreich vollständig zugelassen wurde. Diese Empfehlung folgt auf die Zulassung von AGAMREE durch

die Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) am 11. Januar 2024, die, ebenso wie die European Medicines Agency (EMA), klinisch wichtige Sicherheitsvorteile in Bezug auf die Aufrechterhaltung des normalen Knochenstoffwechsels, der Knochendichte und des Knochenwachstums im Vergleich zu Standardkortikosteroiden sowie eine ähnliche Wirksamkeit in klinischen Studien bestätigte.

Für weitere Informationen über AGAMREE:

Für das Vereinigte Königreich: [Summary of Product Characteristics](#)

Für Nordirland und die Europäische Union: [Summary of Product Characteristics](#)

### 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- $\beta$ -Hydroxysteroid-Dehydrogenase (11 $\beta$ -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].

▼ *Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dadurch können neue Informationen über die Sicherheit schnell ermittelt werden. Gesundheitsfachleute werden gebeten, alle vermuteten Nebenwirkungen zu melden.*

#### 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 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 U.S.-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 AGAMREE für Nordamerika an Catalyst Pharmaceuticals, Inc. und für China an Sperogenix Therapeutics auslizenziert. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte [www.santhera.de](http://www.santhera.de).

*AGAMREE® ist eine Marke von Santhera Pharmaceuticals.*

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

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

Elodie Denjean, General Manager UK, France & Benelux

[elodie.denjean@santhera.com](mailto:elodie.denjean@santhera.com)

Tel. +44 7437 865600

### **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.

###