

AGAMREE® (Vamorolon) – Auf der MDA 2026 vorgestellte Daten bestätigen eine vergleichbare Langzeitwirksamkeit bei einer Behandlungsdauer von bis zu 8 Jahren mit klinisch bedeutsamen Sicherheitsvorteilen bei Duchenne-Muskeldystrophie

- **Vergleichbare Langzeitwirksamkeit wie klassische Kortikosteroide, sowohl Prednison ($p=0,8587$) als auch Deflazacort ($p=0,6544$), basierend auf der Zeit bis zum Verlust der Gehfähigkeit**
- **80 % weniger Patienten mit Wirbelkörperfrakturen (8,1 % gegenüber 41,9 % unter Deflazacort, $p = 0,0082$)**
- **Erhaltung der normalen Körpergrösse mit einem durchschnittlichen Grössenvorteil von 12,17 cm gegenüber klassischen Kortikosteroiden, bei denen eine signifikante Wachstumsverzögerung beobachtet wurde ($p < 0,0001$)**
- **Katarakt bei 5,3 % gegenüber 37,8 % der Patienten, signifikant niedriger als bei Deflazacort ($p=0,015$); kein Glaukom beobachtet**

Pratteln, Schweiz, 9. März 2026 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gab heute bekannt, dass die vollständigen Ergebnisse der langfristigen vergleichenden Analysen aus der Praxis, einschließlich der Basisdaten aus der laufenden GUARDIAN-Studie zu AGAMREE® (Vamorolon), auf der klinischen und wissenschaftlichen Konferenz 2026 der Muscular Dystrophy Association (MDA) in Orlando, Florida, vorgestellt wurden.

Der Datensatz umfasst bis zu acht Jahre AGAMREE-Exposition (Median etwa fünf Jahre) bei Jungen mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD). Die Analysen beinhalten Daten von Teilnehmern an klinischen Studien, die die Behandlung im Rahmen verschiedener Zugangsprogramme sowie der Phase-4-Studie GUARDIAN (NCT06713135) fortgesetzt haben. Langzeitdaten, einschliesslich der Baseline-Ergebnisse aus GUARDIAN, wurden mit einer propensity-matched historischen Kontrollkohorte verglichen, die mit Deflazacort oder Prednison behandelt wurde.

Zusammen zeigen die Daten, dass Vamorolon eine mit herkömmlichen Kortikosteroiden vergleichbare Langzeitwirksamkeit aufweist, gleichzeitig jedoch die Verträglichkeit verbessert und wichtige steroidassoziierte Nebenwirkungen, die häufig zu Dosisreduktionen oder Absetzungen führen und sich auf die Langzeitergebnisse der Patienten auswirken, deutlich reduziert.

Diese Daten wurden während der MDA-Postersession am Sonntag, 8. März 2026 (18:00–20:00 Uhr ET), vorgestellt. Darüber hinaus wird Catalyst Pharmaceuticals in Zusammenarbeit mit Santhera ein MDA-Industrieforum mit dem Titel “Vamorolon bei DMD: Erfahrungen aus der Praxis, neue Fragen und der Weg zu langfristigen Nachweisen” veranstalten. Das Forum wird von Dr. Craig McDonald, Professor für Physikalische Medizin und Rehabilitation sowie Pädiatrie an der UC Davis Health, moderiert.

Vergleichbare Langzeitwirksamkeit

Es gab keinen statistisch signifikanten Unterschied in der Zeit bis zum Verlust der Gehfähigkeit (LoA) zwischen den gepoolten Vamorolon-Dosen (2–6 mg/kg/Tag) und klassischen Kortikosteroiden ($p = 0,9041$) oder im Vergleich zu Deflazacort ($p = 0,6544$) und Prednison ($p = 0,8587$) einzeln. Die durchschnittliche Vamorolon-Dosis in der Praxis betrug $4,5 \pm 1,8$ mg/kg/Tag, mit einer medianen Exposition von etwa 5 Jahren. Diese Ergebnisse deuten darauf hin, dass verbesserte Langzeitsicherheitsergebnisse ohne Beeinträchtigung der Wirksamkeit erzielt werden können und dass

die Dosierung in der Praxis darauf hindeutet, dass Patienten langfristig höhere Dosen von Vamorolon vertragen als bei der Anwendung klassischer Kortikosteroide.

Aufrechterhaltung des Wachstums ohne Beeinträchtigung der Motorik

Die Körpergrösse blieb unter Vamorolon stabil, während in den klassischen Kortikosteroid-Kohorten wie erwartet ein Rückgang des Wachstums und Wachstumsstörungen beobachtet wurden. Wachstumsstörungen wurden als Z-Score der Körpergröße $< -2,0$ definiert, was etwa zwei Standardabweichungen unter dem Wert für gesunde Jungen gleichen Alters liegt, einem häufig verwendeten Schwellenwert für klinisch bedeutsame Kleinwüchsigkeit. Nach 5 Jahren betrug der durchschnittliche Unterschied in der Körpergröße +12,17 cm zugunsten von Vamorolon. Wichtig ist, dass Vamorolon das erste dissoziative Kortikosteroid ist, das zeigt, dass Patienten mit DMD ein normales Wachstum erreichen können, ohne die Wirksamkeit zu beeinträchtigen. Die BMI-Z-Scores stiegen in beiden Behandlungsgruppen an, was mit den Wirkungen der Kortikosteroidklasse übereinstimmt.

Deutlich geringeres Risiko für Wirbelbrüche

Nach einer medianen Behandlungsdauer von etwa fünf Jahren war der Anteil der Patienten mit Wirbelkörperfrakturen um 80 % zurückgegangen (8,1 % der mit Vamorolon behandelten Jungen gegenüber 41,9 % der mit Deflazacort behandelten Jungen, $p = 0,0082$).

Nicht-Wirbelkörperfrakturen traten bei 27,5 % der Patienten auf, darunter 12,5 % mit Frakturen der langen Knochen, was am unteren Ende der in der Literatur für herkömmliche Kortikosteroide angegebenen Raten liegt und auf ein günstiges Profil für die chronische Anwendung hindeutet. Das Knochenalter blieb unter Vamorolon im Verhältnis zum chronologischen Alter innerhalb der normalen Grenzen, während bei klassischen Kortikosteroiden häufig Verzögerungen berichtet werden.

Günstiges langfristiges Augen- und Stoffwechselprofil

Katarakte wurden bei deutlich weniger Patienten beobachtet als unter Deflazacort (5,3 % gegenüber 37,8 %, $p = 0,015$) und numerisch weniger als unter Prednison (5,3 % gegenüber 12,1 %, $p = 0,05$). Es wurden keine Fälle von Glaukom beobachtet. Die Glukose- und Lipidparameter lagen bei der Mehrheit der Patienten im Normbereich. Die morgendlichen Cortisolspiegel entsprachen der bei einer Kortikosteroidtherapie zu erwartenden Nebennierensuppression, und es wurden keine neuen Sicherheitssignale identifiziert.

Laufende Datenerhebung

Die prospektive GUARDIAN-Studie wird in den kommenden Jahren weiterhin die Langzeitergebnisse bewerten, darunter anthropometrische Daten, Muskelfunktion, Knochengesundheit, Herz- und Atemfunktion, Augengesundheit, Pubertätsentwicklung und zusätzliche Sicherheitsendpunkte.

Shabir Hasham, Chief Medical Officer von Santhera, sagte: *“Diese längerfristigen Analysen tragen zu einer wachsenden Zahl von Nachweisen bei, die das klinische Profil von Vamorolon charakterisieren, da die Patienten über längere Zeiträume hinweg in Therapie bleiben. Die auf der MDA vorgestellten Daten deuten weiterhin darauf hin, dass Vamorolon eine mit herkömmlichen Kortikosteroiden vergleichbare Wirksamkeit aufweist und gleichzeitig Verbesserungen hinsichtlich der mit Steroiden verbundenen Sicherheit und Verträglichkeit zeigt. Da sich die Behandlungslandschaft für Duchenne-Muskeldystrophie weiterentwickelt und Kombinationsbehandlungen zunehmend zum Einsatz kommen, ist es besonders wichtig, das langfristige Nutzen-Risiko-Profil der Kortikosteroidtherapie zu verstehen. Eine Behandlung, die die Wirksamkeit erhält und gleichzeitig die behandlungslimitierenden Nebenwirkungen reduziert, wäre besser geeignet, um das langfristige Krankheitsmanagement zu unterstützen, auch in Kombination mit neuen Therapien. Die laufende GUARDIAN-Studie wird unser Verständnis von Vamorolon anhand einer breiteren Palette von Ergebnissen aus der Praxis weiter vertiefen, während die Patienten älter werden und die Behandlung fortsetzen.”*

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 (11 β -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.*

Referenzen:

- [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 Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein Schweizer Spezialpharmaunternehmen, das sich auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für seltene neuromuskuläre Erkrankungen mit hohem ungedecktem medizinischem Bedarf konzentriert. Das Unternehmen hat eine exklusive Lizenz von ReveraGen für alle Indikationen weltweit für AGAMREE® (Vamorolon), ein dissoziatives Steroid mit neuartigem Wirkmechanismus, das in einer entscheidenden Studie an Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) als Alternative zu Standard-Kortikosteroiden untersucht wurde. AGAMREE zur Behandlung von DMD ist in den USA von der Food and Drug Administration (FDA), in der EU von der European Commission (EC), im Vereinigten Königreich von der Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency (MHRA), in der Schweiz von der Swissmedic, in China von der National Medical Products Administration (NMPA) und in Hongkong von der Department of Health (DoH) zugelassen. Santhera hat die Rechte an AGAMREE wie folgt auslizenziert: an Catalyst Pharmaceuticals für Nordamerika, an Sperogenix Therapeutics für China und bestimmte Länder in Südostasien und an Nxera Pharma für Japan, Südkorea, Australien und Neuseeland. Weitere Informationen finden Sie unter www.santhera.com.

AGAMREE® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

Santhera

Catherine Isted, Chief Financial Officer:

IR@santhera.com

AGAMREE® (Vamorolon) – Auf der MDA 2026 vorgestellte Daten bestätigen eine vergleichbare
Langzeitwirksamkeit bei einer Behandlungsdauer von bis zu 8 Jahren mit klinisch bedeutsamen
Sicherheitsvorteilen bei Duchenne-Muskeldystrophie
09. März 2026 / Seite 4 von 4

ICR Healthcare:

Stifel

Brough Ransom, Charles Hoare, Fred Walsh

Santhera@icrhealthcare.com

+44 (0)20 7710 7600

Octavian

Serge Monnerat, Marius Zuberbuehler

+41 (0)44 520 1588

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 Veröffentlichung kann bestimmte zukunftsgerichtete Aussagen über das Unternehmen und seine Geschäftstätigkeit enthalten. Solche Aussagen beinhalten bestimmte Risiken, Ungewissheiten und andere Faktoren, die dazu führen können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die Finanzlage, die Leistung oder die Erfolge des Unternehmens wesentlich von den in solchen Aussagen ausgedrückten oder implizierten Ergebnissen abweichen. Leser sollten sich daher nicht übermäßig auf diese Aussagen verlassen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit einer Anlageentscheidung oder einem Vertrag über die Zeichnung von Aktien (). Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung zur Aktualisierung dieser zukunftsgerichteten Aussagen ab.

#