

Santhera erhält positive Stellungnahme des CHMP zur Ausweitung der Anwendung von AGAMREE® (Vamorolon) bei pädiatrischen DMD-Patienten ab zwei Jahren in der EU

Pratteln, Schweiz, 27. April 2026 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gab heute bekannt, dass der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) eine positive Stellungnahme abgegeben hat, in der eine Erweiterung der Zulassung für AGAMREE® (Vamorolon) auf die Behandlung von Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ab einem Alter von 2 Jahren empfohlen wird.

AGAMREE ist derzeit in der Europäischen Union für die Behandlung von DMD bei Patienten ab 4 Jahren zugelassen. Sollte die Europäische Kommission dem zustimmen, würde die CHMP-Stellungnahme die zugelassene Altersgruppe auf Kinder ab 2 Jahren ausweiten – eine Population, bei der eine frühzeitige entzündungshemmende Intervention langfristige Vorteile bieten könnte und bei der die Verträglichkeitsprobleme herkömmlicher Kortikosteroide nach wie vor ein zentrales Anliegen darstellen.

Dario Eklund, Chief Executive Officer von Santhera, sagte: *“Diese positive Stellungnahme des CHMP ist ein wichtiger Schritt in Richtung unseres Ziels, AGAMREE jedem DMD-Patienten zugänglich zu machen, der davon profitieren könnte. Für Familien und Ärzte kann die Entscheidung, wann bei sehr kleinen Kindern mit der Behandlung begonnen werden soll, angesichts der begrenzten Behandlungsmöglichkeiten eine besondere Herausforderung darstellen.”*

Dr. Shabir Hasham, Chief Medical Officer von Santhera, sagte: *“Die frühzeitige Einleitung einer entzündungshemmenden Therapie bei DMD hat das Potenzial, den langfristigen Krankheitsverlauf neu zu gestalten. Die positive Stellungnahme des CHMP spiegelt die Stärke der klinischen und Sicherheitsdaten von AGAMREE wider und erkennt den Bedarf an besser verträglichen Behandlungsoptionen für Kleinkinder an. Wir setzen uns weiterhin dafür ein, Ärzten und Familien eine Behandlungsoption für diese schutzbedürftige Patientengruppe zur Verfügung zu stellen.”*

Über AGAMREE® (Vamorolon)

AGAMREE ist ein dissoziatives Kortikosteroid, das für die Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) zugelassen ist. Es bindet selektiv an den Glukokortikoidrezeptor und löst durch Hemmung der NF- κ B-vermittelten Gentranskription eine entzündungshemmende Wirkung aus, während es gleichzeitig eine verminderte Transaktivierung anderer Gene bewirkt¹. AGAMREE ist kein Substrat für 11- β -Hydroxysteroid-Dehydrogenase (11 β -HSD)-Enzyme, die an der lokalen Verstärkung der Glukokortikoidaktivität im Gewebe beteiligt sind und mit der Kortikosteroid-assoziierten Toxizität in Verbindung gebracht werden^{2,3}. Dieses pharmakologische Profil bildet die Grundlage für seine Einstufung als dissoziatives Kortikosteroid, das darauf ausgelegt ist, die entzündungshemmende Wirksamkeit zu erhalten und gleichzeitig die systemischen Effekte zu reduzieren, die mit einer langfristigen konventionellen Kortikosteroidtherapie verbunden sind¹⁻³.

In der zulassungsrelevanten Phase-2b-Studie VISION-DMD erreichte AGAMREE seinen primären Endpunkt und zeigte nach 24 Wochen eine statistisch signifikante Verbesserung der Geschwindigkeit beim Aufstehen (Time to Stand, TTSTAND) im Vergleich zu Placebo ($p = 0,002$)⁴. Die am häufigsten

berichteten Nebenwirkungen waren Cushing-ähnliche Symptome, Erbrechen, Gewichtszunahme, gesteigerter Appetit und Reizbarkeit; die meisten waren leicht bis mittelschwer¹.

Langzeitdaten aus bis zu acht Jahren AGAMREE-Behandlung wurden auf der klinischen und wissenschaftlichen Konferenz der Muscular Dystrophy Association (MDA) im März 2026 vorgestellt^{5,6}. In Propensity-Score-gepaarten Analysen zeigte AGAMREE eine dauerhafte Wirksamkeit, die mit der von Standard-Kortikosteroiden vergleichbar war, sowie ein differenziertes Sicherheitsprofil: eine geringere Inzidenz von Wirbelkörperfrakturen im Vergleich zu mit Deflazacort behandelten Kohorten (8,1 % vs. 41,9 %; $p = 0,0082$)⁵; eine aufrechterhaltene normale Wachstumsentwicklung mit einem mittleren Größenvorteil von 12,17 cm bei einer Körpergröße von im Vergleich zu herkömmlichen Kortikosteroiden ($p < 0,0001$)^{5,6} sowie eine geringere Inzidenz von Katarakten im Vergleich zu Deflazacort ($p = 0,015$), wobei keine Fälle von Glaukom beobachtet wurden⁵.

▼ *Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht die schnelle Erkennung neuer Sicherheitsinformationen. Angehörige der Gesundheitsberufe werden gebeten, alle vermuteten Nebenwirkungen zu melden.*

Referenzen

1. AGAMREE (Vamorolon) Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels. Europäische Arzneimittelagentur; zugelassen am 14. Dezember 2023. [Link](#)
2. Heier CR, Damsker JM, Yu Q, et al. VBP15, ein neuartiger Entzündungshemmer und Membranstabilisator, verbessert die Muskeldystrophie ohne Nebenwirkungen. *Life Sci Alliance*. 2019;2(1):e201800186. [Link](#)
3. Reeves EKM, Hoffman EP, Nagaraju K, et al. VBP15: präklinische Charakterisierung eines neuartigen entzündungshemmenden Delta-9,11-Steroids. *Bioorg Med Chem*. 2013;21(8):2241–2249. [Link](#)
4. Dang UJ, Damsker JM, Guglieri M, et al. Wirksamkeit und Sicherheit von Vamorolon über 48 Wochen bei Jungen mit Duchenne-Muskeldystrophie (VISION-DMD). *Neurology*. 2024;102(5):e208112. [Link](#)
5. Guglieri M, et al. Langzeitwirkung von Vamorolon auf die Knochengesundheit im Vergleich zur Standardtherapie mit Glukokortikoiden bei Jungen mit Duchenne-Muskeldystrophie. Poster 62S, MDA Clinical & Scientific Conference 2026. [Link](#)
6. McDonald CM, et al. Vergleichende Analyse der Langzeitwirksamkeit von Vamorolon gegenüber der Standardbehandlung mit Glukokortikoiden bei Jungen mit Duchenne-Muskeldystrophie. Poster 23S, MDA Clinical & Scientific Conference 2026. [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 China von der National Medical Products Administration (NMPA) und in Hongkong von der Department of Health (DoH) zugelassen. Santhera hat die Rechte an AGAMREE für Nordamerika an Catalyst Pharmaceuticals und für China und bestimmte Länder in Südostasien an Sperogenix Therapeutics lizenziert. Weitere Informationen finden Sie unter www.santhera.com.

AGAMREE® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Santhera erhält positive Stellungnahme des CHMP zur Ausweitung der Anwendung von AGAMREE®
(Vamorolon) bei pädiatrischen DMD-Patienten ab zwei Jahren in der EU
27. April 2026 / Seite 3 von 3

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

Santhera

Catherine Isted, CFO:
ICR Healthcare:

IR@santhera.com
Santhera@icrhealthcare.com

Stifel

Brough Ransom, Charles Hoare, Fred Walsh

+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 zum Kauf oder zur Zeichnung 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 Vertrags- oder Investitionsentscheidungen. Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung zur Aktualisierung dieser zukunftsgerichteten Aussagen ab.

###