

Ad-hoc-Mitteilung gemäss Art. 53 KR

## **Santhera erhält positives CHMP-Gutachten mit Zulassungsempfehlung für AGAMREE® (Vamorolon) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie**

- *Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) gibt positives Gutachten für AGAMREE® (Vamorolon) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Kindern und Erwachsenen ab 4 Jahren ab*
- *Entscheidung der Europäischen Kommission (EC) über die Marktzulassung wird für Ende 2023 erwartet*
- *AGAMREE könnte das erste von der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) vollständig zugelassene Medikament für die Behandlung von Patienten mit DMD werden*
- *Erwartung der Zulassung von Vamorolon in den USA zum PDUFA-Termin am 26. Oktober 2023*

**Pratteln, Schweiz, 13. Oktober 2023 - Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass der CHMP eine positive Stellungnahme für die Zulassung von AGAMREE® (Vamorolon) für die Behandlung von DMD-Patienten ab 4 Jahren abgegeben hat. In seiner Zulassungsempfehlung erkennt der CHMP das positive Nutzen-Risiko-Profil von AGAMREE in dieser Patientenpopulation an, einschliesslich gewisser Sicherheitsvorteile von AGAMREE im Vergleich zu Standardkortikosteroiden bei der Behandlung von DMD. Santhera plant eine erste kommerzielle Markteinführung in Deutschland im ersten Quartal 2024, vorbehaltlich der Zulassung durch die Europäische Kommission.**

"Wir freuen uns sehr über die positive Stellungnahme des CHMP, die den dringenden medizinischen Bedarf an einer wirksamen und gut verträglichen Behandlung für diese verheerende Krankheit anerkennt. Wir können nun unsere Pläne umsetzen, um sicherzustellen, dass AGAMREE den Patienten in der EU zur Verfügung gestellt wird, sobald die Europäische Kommission die Marktzulassung erteilt hat", sagte **Dario Eklund, CEO von Santhera**. "Die Empfehlung des CHMP ist ein Beweis für das Engagement und die Zusammenarbeit aller an der Entwicklung von Vamorolon Beteiligten, darunter ReveraGen Biopharma, die DMD-Patientengemeinschaft, Forscher, medizinische Fachkräfte und unsere Mitarbeiter."

"Wir sind sehr erfreut über das positive Votum der Europäischen Arzneimittelagentur. Dies bietet Duchenne-Patienten eine neue Behandlungsalternative, um das Fortschreiten der Krankheit mit weniger Nebenwirkungen zu verlangsamen", sagte **Maggie C. Walter, MD, MA, außerordentliche Professorin für Neurologie, Friedrich-Baur-Institut, Ludwig-Maximilians-Universität München, Deutschland**.

"Wir sind sehr erfreut über die positive Stellungnahme der Europäischen Arzneimittelagentur", erklärte **Ezio Magnano, Präsident von Parent Project Italy**. "Die heutige Ankündigung ist ein weiterer grosser Schritt vorwärts für unsere Duchenne- und Becker-Gemeinschaft. Wir hoffen, dass diese neue Behandlung einige der Nebenwirkungen der Steroide minimieren und die Lebensqualität der Patienten weiter verbessern wird, was unser Hauptziel ist."

Die klinischen Nachweise für die Wirksamkeit und Sicherheit von AGAMREE (Vamorolon) im Zulassungsantrag stammen aus der positiven VISION-DMD-Zulassungsstudie und drei offenen Studien (einschliesslich Verlängerungen), in denen Vamorolon in Dosierungen zwischen 2 und 6 mg/kg/Tag über

einen Gesamtbehandlungszeitraum von bis zu 30 Monaten verabreicht wurde, sowie aus einer externen Vergleichsstudie (FOR-DMD [6]) und mehreren

Santhera erhält positives CHMP-Gutachten mit Zulassungsempfehlung für AGAMREE®  
(Vamorolon)

für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie

Oktober 13, 2023 / Seite 2 von 7

Studien zur klinischen Pharmakologie. Die Studien wurden von Santheras Partner ReveraGen durchgeführt und 32 akademische klinische Studienzentren in 11 Ländern.

In der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie behielten die mit Vamorolon behandelten Jungen im Durchschnitt ein ähnliches Wachstum bei wie die mit Placebo behandelten Jungen, während die mit Prednison behandelten Jungen im Durchschnitt einen Wachstumsrückgang erlitten. Patienten, die nach 24 Wochen von Prednison auf Vamorolon umgestellt wurden, waren im Durchschnitt in der Lage, im weiteren Verlauf der Studie wieder an Größe zuzulegen.

Im Gegensatz zu Kortikosteroiden führte Vamorolon in den klinischen Studien nach 48 Wochen weder zu einer Verringerung des Knochenstoffwechsels, gemessen durch Knochen-Biomarker, noch zu einer signifikanten Verringerung der Knochenmineralisierung in der Wirbelsäule, gemessen durch Dual-Energy X-Ray Absorptiometry (DXA).

Santhera wird weiterhin Daten sammeln, um die langfristige Wirksamkeit und Sicherheit von Vamorolone weiter zu charakterisieren und zu differenzieren.

Ein Zulassungsbeschluss der Europäischen Kommission wird innerhalb von etwa zwei Monaten nach dem positiven CHMP-Gutachten erwartet. Vorbehaltlich der Genehmigung wird AGAMREE das erste und einzige von der EMA vollständig zugelassene Arzneimittel für die Behandlung von DMD sein, und die Marktzulassung wird in allen 27 Mitgliedstaaten der Europäischen Union sowie in Island, Liechtenstein und Norwegen gültig sein. Die mögliche Markteinführung von AGAMREE in der EU, allen voran in Deutschland, ist für das erste Quartal 2024 geplant.

In den USA hat die FDA den 26. Oktober 2023 als Zieltermin für die Entscheidung über den Zulassungsantrag für Vamorolon nach dem Prescription Drug User Fee Act (PDUFA) festgelegt. Vorbehaltlich der Genehmigung plant Santheras Lizenzpartner Catalyst Pharmaceuticals die Markteinführung von Vamorolone in den USA im ersten Quartal 2024.

### **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- $\beta$ -Hydroxysteroid-Dehydrogenase (11 $\beta$ -HSD)-Enzyme ist, die für die lokale Gewebeverstärkung und die Kortikosteroid-assoziierte Toxizität in lokalen Geweben verantwortlich sein können, und wird daher als dissoziatives entzündungshemmendes Arzneimittel betrachtet [1-3]. Dieser Mechanismus hat gezeigt, dass er das Potenzial hat, die Wirksamkeit von den Sicherheitsbedenken gegenüber Steroiden zu "trennen", und daher wird Vamorolon als Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden positioniert, die derzeitige Standardtherapie bei Kindern und Jugendlichen mit DMD [1-3].

In der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie erreichte Vamorolon im Vergleich zu Placebo nach 24 Behandlungswochen den primären Endpunkt Zeit bis zum Aufstehen (TTSTAND) ( $p=0,002$ ) und zeigte ein gutes Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil [1]. Die in der VISION-DMD-Studie am häufigsten gemeldeten unerwünschten Ereignisse im Vergleich zu Placebo waren cushingoide Merkmale, Erbrechen und Vitamin-D-Mangel. Die unerwünschten Ereignisse waren in der Regel 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,

Santhera erhält positives CHMP-Gutachten mit Zulassungsempfehlung für AGAMREE®  
(Vamorolon)

für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie

was durch normale Serummarker für Knochenbildung und -resorption begleitet wird. 13. Oktober 2023 / Seite 3 von 7

Vamorolone hat in den USA und in Europa den Status eines Arzneimittels für seltene Krankheiten (Orphan Drug) für DMD und wurde von der amerikanischen Gesundheitsbehörde FDA als "Fast Track" und "Rare Pediatric Disease" eingestuft und erhielt von der Europäischen Kommission den Status "Promising Innovative Medicine" (PIM).

der britischen MHRA für DMD. Vamorolon ist ein Prüfpräparat und derzeit von keiner Gesundheitsbehörde für die Verwendung zugelassen.

**Referenzen:**

- [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](#).
- [6] FOR-DMD. [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 konzentriert. Das Unternehmen besitzt von ReveraGen eine exklusive Lizenz 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. Für AGAMREE zur Behandlung von DMD hat Santhera vom CHMP der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) eine positive Stellungnahme zum Zulassungsantrag (MAA) erhalten, ein neuer Zulassungsantrag (NDA) wird derzeit von der US-amerikanischen FDA geprüft, und ein MAA wurde bei der britischen Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) eingereicht. Santhera hat die Rechte an Vamorolone 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.com](http://www.santhera.com).

*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

Eva Kalias, Leiterin Investor Relations & Kommunikation

Telefon: +41 79 875 27 80

[eva.kalias@santhera.com](mailto: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 gewissen Risiken, Unsicherheiten und anderen Faktoren verbunden, die dazu führen

Santhera erhält positives CHMP-Gutachten mit Zulassungsempfehlung für AGAMREE®  
(Vamorolon)

für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie

könnten, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die finanzielle Lage, die Leistung, die Erfolgsrate  
Unternehmens beeinträchtigt werden.

Santhera erhält positives CHMP-Gutachten mit Zulassungsempfehlung für AGAMREE®  
(Vamorolon)  
für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie  
Oktober 13, 2023 / Seite 6 von 7

Die Ergebnisse des Unternehmens können erheblich von den in diesen Aussagen ausgedrückten oder implizierten Ergebnissen abweichen. 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.

###