



Santhera (Germany) GmbH
Leopoldstraße 31, 80802 München
Telefon: +49 7621 16 26 811
E-Mail: deutschland@santhera.com
Web.: www.santhera.de

München, 09.03.2026

Sehr geehrte Damen und Herren,

auf der MDA 2026 vorgestellte Daten zu AGAMREE® (Vamorolon) bestätigen eine vergleichbare Langzeitwirksamkeit bei einer Behandlungsdauer von bis zu 8 Jahren mit klinisch bedeutsamen Sicherheitsvorteilen bei Duchenne-Muskeldystrophie^{1,2}

- Vergleichbare Langzeitwirksamkeit wie klassische Kortikosteroide, sowohl Prednison ($p=0,8587$) als auch Deflazacort ($p=0,6544$), basierend auf der Zeit bis zum Verlust der Gehfähigkeit³
- 80 % weniger Patienten mit Wirbelkörperfrakturen (8,1 % gegenüber 41,9 % unter Deflazacort, $p = 0,0082$)⁴
- Erhaltung der normalen Körpergröße mit einem durchschnittlichen Grössenvorteil von 12,17 cm gegenüber klassischen Kortikosteroiden, bei denen eine signifikante Wachstumsverzögerung beobachtet wurde ($p < 0,0001$)¹
- Katarakt bei 5,3 % gegenüber 37,8 % der Patienten, signifikant niedriger als bei Deflazacort ($p=0,015$)¹; kein Glaukom beobachtet²

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 wurde¹.

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.^{1,2}

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.³ Die durchschnittliche Vamorolon-Dosis in der Praxis betrug $4,5 \pm 1,8$ mg/kg/Tag, mit einer medianen Exposition von etwa 5 Jahren.¹

Aufrechterhaltung des Wachstums ohne Beeinträchtigung der Motorik¹

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, $p = 0,0082$).⁴

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.² Das Knochenalter blieb unter Vamorolon im Verhältnis zum chronologischen Alter innerhalb der normalen Grenzen, während bei klassischen Kortikosteroiden häufig Verzögerungen berichtet werden.⁴

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 %, $p = 0,05$).¹ Es wurden keine Fälle von Glaukom beobachtet.² Die Glukose- und Lipidparameter lagen bei der Mehrheit der Patienten im Normbereich.² Die morgendlichen Cortisolspiegel entsprachen der bei einer Kortikosteroidtherapie zu erwartenden Nebennierensuppression, und es wurden keine neuen Sicherheitssignale identifiziert.²

Laufende Datenerhebung²

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.

Bei Fragen sprechen Sie uns gerne an.

Mit freundlichen Grüßen,
Santhera (Germany) GmbH

Referenzen:

1. McDonald et al., Comparative analysis of long-term effectiveness of vamorolone vs standard of care glucocorticoid (SoC-GC) treatment in boys with DMD, Poster präsentiert auf Muscular Dystrophy Association (MDA) Clinical & Scientific Conference, 8–11 March 2026, Orlando, FL, USA. [Link](#) (eingesehen am 9.3.26).
2. Deconinck et al., Baseline characteristics of GUARDIAN study (NCT06713135) cohort, Poster präsentiert auf Muscular Dystrophy Association (MDA) Clinical & Scientific Conference, 8–11 March 2026, Orlando, FL, USA. [Link](#) (eingesehen am 9.3.26).
3. McDonald et al., Comparative analysis of long-term effectiveness of vamorolone vs standard of care glucocorticoid (SoC-GC) treatment in boys with DMD, Posterabstract präsentiert auf Muscular Dystrophy Association (MDA) Clinical & Scientific Conference, 8–11 March 2026, Orlando, FL, USA. [Link](#) (Abstract eingesehen am 9.3.26).
4. Guglieri et al., Long-term impact of vamorolone on bone health compared to standard of care glucocorticoids (SoC-GC) in boys with Duchenne Muscular Dystrophy (DMD), Poster präsentiert auf Muscular Dystrophy Association (MDA) Clinical & Scientific Conference, 8–11 March 2026, Orlando, FL, USA. [Link](#) (eingesehen am 9.3.26).

AGAMREE® 40 mg/ml Suspension zum Einnehmen

Wirkstoff: Vamorolon.

▼ Dieses Arzneimittel unterliegt einer zusätzlichen Überwachung. Dies ermöglicht eine schnelle Identifizierung neuer Erkenntnisse über die Sicherheit. Angehörige von Gesundheitsberufen sind aufgefordert, jeden Verdachtsfall einer Nebenwirkung zu melden. Hinweise zur Meldung von Nebenwirkungen, siehe Abschnitt 4.8 der Fachinformation.

Qualitative und quantitative Zusammensetzung: Jeder ml Suspension enthält 40 mg Vamorolon. **Sonstiger Bestandteil mit bekannter Wirkung:** Jeder ml Suspension enthält 1 mg Natriumbenzoat (E 211). Vollständige Auflistung der sonstigen Bestandteile: Citronensäure-Monohydrat (E 330), Natriummonohydrogenphosphat (E 339), Glycerol (E 422), Orangen-Aroma, Gereinigtes Wasser, Natriumbenzoat (E 211), Sucralose (E 955), Xanthangummi (E 415), Salzsäure 10 % (zur pH-Wert-Einstellung).

Anwendungsgebiete: AGAMREE wird angewendet für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ab 4 Jahren. **Gegenanzeigen:** Überempfindlichkeit gegen den Wirkstoff oder einen der sonstigen Bestandteile. Schwere Leberfunktionsstörung (Child-Pugh-Klasse C). Anwendung von Lebendimpfstoffen oder abgeschwächten Lebendimpfstoffen in den 6 Wochen vor Beginn und während der Behandlung (siehe Abschnitt 4.4 der Fachinformation).

Nebenwirkungen: Eine akute Nebenniereninsuffizienz (Nebennierenkrise) ist eine schwerwiegende Nebenwirkung, die in Zeiten von erhöhtem Stress auftreten kann oder wenn die Vamorolon-Dosis abrupt reduziert oder abgesetzt wird (siehe Abschnitt 4.4 der Fachinformation).

Sehr häufig (≥ 1/10): Cushingoide Gesichtszüge (Pseudo-Cushing-Syndrom), Gewichtszunahme, gesteigerter Appetit, Reizbarkeit, Erbrechen. Häufig (≥ 1/100, < 1/10): Abdominalschmerz, Schmerzen im Oberbauch, Diarrhö, Kopfschmerzen. **Verkaufsabgrenzung:** Deutschland: Verschreibungspflichtig. Österreich: Rezept- und apothekenpflichtig, wiederholte Abgabe verboten. **Pharmakotherapeutische Gruppe:** Glukokortikoide, ATC-Code: H02AB18. **Pharmazeutischer Unternehmer / Inhaber der Zulassung:** Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH, Marie-Curie-Straße 8, D-79539 Lörrach, DEUTSCHLAND, office@santhera.com. **Weitere Angaben:** Ausführliche Informationen zu Warnhinweisen und Vorsichtsmaßnahmen für die Anwendung, Wechselwirkungen, Fertilität, Schwangerschaft und Stillzeit, Nebenwirkungen sowie Dosierung und Art/Dauer der Anwendung entnehmen Sie bitte der veröffentlichten Fachinformation (Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels).

AGA-102

März 2026/ PM-DEU-DMD-AGA-0071

