

Traducción del comunicado de prensa ad hoc emitido por Santhera Pharmaceuticals a las 7:00 a. m. CET del 4 de noviembre de 2025. Para consultar la versión original en inglés, visite <https://www.santhera.com/assets/files/press-releases/Santhera-Guardian-Topline-Data.pdf>

Anuncio ad hoc de conformidad con el artículo 53 LR

Los datos de cinco años de AGAMREE® (vamorolone) en pacientes con DMD muestran un perfil de seguridad mejorado con una eficacia comparable a la de los corticosteroides estándar

- Eficacia a largo plazo comparable a la de los corticosteroides estándar durante 5 años
- Se mantiene el crecimiento normal, en contraste con la supresión del crecimiento que se observa habitualmente con los corticosteroides estándar.
- Se ha notificado una tasa significativamente menor de fracturas vertebrales con AGAMREE
- Menor incidencia de cataratas que la observada normalmente en pacientes con DMD que toman corticosteroides

Pratteln, Suiza, 4 de noviembre de 2025. Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ha comunicado hoy los resultados positivos de un análisis de datos a largo plazo, incluidas las primeras evaluaciones del estudio GUARDIAN, un estudio multicéntrico, abierto y en curso que evalúa AGAMREE® (vamorolone) en pacientes con distrofia muscular de Duchenne (DMD).

El análisis a largo plazo incluyó a pacientes que no habían recibido corticosteroides anteriormente y que comenzaron el tratamiento con AGAMREE entre los cuatro y los siete años de edad en estudios clínicos y continuaron a través de diversos programas de acceso, incluido el estudio GUARDIAN. Se analizaron los datos de hasta 110 pacientes, cuyo número variaba según el análisis en función de la disponibilidad de datos. En este análisis a largo plazo, los pacientes habían recibido AGAMREE durante un máximo de ocho años, con una mediana de seguimiento de aproximadamente cinco años. La mayoría de los pacientes continuaron con dosis más altas (4-6 mg/kg/día) en entornos clínicos reales durante el periodo de observación.

Los pacientes tratados con AGAMREE mantuvieron la función motora durante un seguimiento prolongado, lo que demostró una eficacia duradera, medida por el tiempo hasta la pérdida de la capacidad de deambular, comparable a la de los corticosteroides estándar ($p = 0,91$). En los análisis de subgrupos preespecificados, no se observaron diferencias en comparación con el deflazacort o la prednisona diarios.

Es importante destacar que los datos siguen respaldando un perfil de seguridad y tolerabilidad diferenciado en comparación con los corticosteroides tradicionales. Los pacientes tratados con AGAMREE experimentaron una tasa significativamente menor de fracturas vertebrales ($p = 0,0061$), mantuvieron un crecimiento normal sin el retraso observado con los corticosteroides estándar ($p < 0,0001$) y presentaron menos casos de cataratas que los tratados con glucocorticoides, incluida una incidencia notablemente menor en comparación con el deflazacort ($p < 0,015$). Además, hasta la fecha, no se han observado casos de glaucoma. En promedio, los cambios en el IMC o el peso, cuando se compararon con la altura, no difirieron, y no se observaron nuevas señales de seguridad.

Los resultados detallados se presentarán en una importante conferencia científica internacional en el primer trimestre de 2026. De acuerdo con la práctica científica habitual, los datos completos se harán públicos tras la presentación en la conferencia, una vez que los organizadores hayan completado su proceso de revisión y presentación. Además, se prevé que en los próximos tres años se publiquen más

Los datos de cinco años de AGAMREE® (vamorolone) en pacientes con DMD muestran un perfil de seguridad mejorado con una eficacia comparable a la de los corticosteroides estándar.

4 de noviembre de 2025 / Página 2 de 4

resultados del estudio GUARDIAN, centrados en un conjunto más amplio de resultados de eficacia y seguridad, incluidas evaluaciones de la función de las extremidades superiores, el desarrollo puberal, la salud ocular y la función cardíaca, así como otros parámetros relevantes.

Tras compartir los datos con los miembros de nuestro comité científico directivo, todos ellos líderes de opinión clave en el campo de la DMD, nos sentimos muy animados por su respuesta.

El profesor Eugenio Mercuri, catedrático de Pediatría y Neuropsiquiatría Infantil de la Università Cattolica del Sacro Cuore, comentó: *«Estos datos proporcionan pruebas importantes de que el tratamiento a largo plazo con vamorolone ofrece una eficacia duradera, con una reducción sustancial del riesgo de fracturas vertebrales y una mejora de la estatura, en contraste con lo que se observa con los esteroides convencionales».*

El profesor Francesco Muntoni, profesor de Neurología de la University College London, afirmó: *«Estos datos preliminares son alentadores. En particular, es tranquilizador ver que los niños siguen creciendo en altura sin que ello tenga un impacto aparente en la eficacia del tratamiento. Los niños tratados con otros corticosteroides suelen experimentar un retraso significativo en el crecimiento, lo que tiene un impacto considerable en su calidad de vida».*

El profesor Craig McDonald, profesor de Medicina Física y Rehabilitación y Pediatría en la Universidad de California en Davis, añadió: *«Es bueno ver una eficacia a largo plazo comparable a la de otros corticosteroides, y los datos sobre la estatura y la salud ósea son coherentes con otros estudios sobre el vamorolone. Estos datos muestran ahora claramente los beneficios de tratar temprano y mantener el tratamiento con dosis eficaces de vamorolone. Curiosamente, los beneficios que observamos en la preservación de la función muscular, la estatura y la mejora de la salud ósea también pueden tener importantes implicaciones para los pacientes mayores con DMD, por ejemplo, en la función de las extremidades superiores y la función respiratoria. Espero con interés la recopilación de datos en curso en el estudio GUARDIAN».*

Shabir Hasham, director médico de Santhera, afirmó: *«Estamos realmente encantados de ofrecer a la comunidad de DMD una opción de tratamiento con corticosteroides que puede proporcionar beneficios a largo plazo y reducir significativamente la aparición de algunos de los efectos secundarios más debilitantes que a menudo conducen a la reducción de la dosis o a la interrupción del tratamiento. Disponer de un tratamiento más adecuado para el uso a largo plazo cobra aún más importancia a medida que se comercializan otras terapias para la DMD que se utilizan en combinación con corticosteroides. Además, el estudio GUARDIAN seguirá recopilando datos importantes sobre la eficacia y la seguridad en una gama más amplia de resultados a medida que los pacientes crecen y permanecen en tratamiento durante más tiempo, y esperamos comunicar estos hallazgos a la comunidad clínica de Duchenne».*

Acerca de AGAMREE® (vamorolone)

AGAMREE es un fármaco novedoso cuyo mecanismo de acción se basa en la unión al mismo receptor que los glucocorticoides, pero modificando su actividad posterior. Además, no es un sustrato de las enzimas 11-β-hidroxiesteroide deshidrogenasa (11β-HSD), que pueden ser responsables de la amplificación local del fármaco y de la toxicidad asociada a los corticosteroides en los tejidos locales [2-5]. Este mecanismo ha demostrado el potencial de «disociar» la eficacia de las preocupaciones sobre la seguridad de los esteroides y, por lo tanto, AGAMREE se posiciona como un fármaco antiinflamatorio disociativo y una alternativa a los corticosteroides existentes, el tratamiento estándar actual en pacientes infantiles y adolescentes con DMD [2-5].

En el estudio pivotal VISION-DMD, AGAMREE alcanzó el criterio de valoración principal, la velocidad del tiempo para ponerse de pie (TTSTAND), frente al placebo (p = 0,002) a las 24 semanas de tratamiento y mostró un buen perfil de seguridad y tolerabilidad [2, 5]. Los efectos secundarios más frecuentes fueron

Los datos de cinco años de AGAMREE® (vamorolone) en pacientes con DMD muestran un perfil de seguridad mejorado con una eficacia comparable a la de los corticosteroides estándar.

4 de noviembre de 2025 / Página 3 de 4

rasgos cushingoides, vómitos, aumento de peso e irritabilidad. Los efectos secundarios fueron en general de gravedad leve a moderada.

Los datos disponibles actualmente muestran que AGAMREE, a diferencia de los corticosteroides, no tiene restricciones de crecimiento [6] y no tiene efectos negativos sobre el metabolismo óseo, como lo demuestran los marcadores séricos normales de formación y resorción ósea [7].

▼ *Este medicamento está sujeto a una supervisión adicional. Esto permitirá identificar rápidamente cualquier nueva información sobre su seguridad. Se ruega a los profesionales sanitarios que notifiquen cualquier sospecha de reacción adversa.*

Referencias:

- [1] Dang UJ et al. (2024) Neurology 2024;102:e208112. doi.org/10.1212/WNL.0000000000208112. [Enlace.](#)
- [2] Guglieri M et al (2022). JAMA Neurol. 2022;79(10):1005-1014. doi:10.1001/jamaneurol.2022.2480. [Enlace.](#)
- [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 - Póster 71. [Enlace.](#)
- [6] Hasham et al., MDA 2022 Presentación de póster. [Enlace.](#)

Acerca de Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) es una empresa farmacéutica suiza especializada en el desarrollo y la comercialización de medicamentos innovadores para enfermedades neuromusculares raras con grandes necesidades médicas no cubiertas. La empresa cuenta con una licencia exclusiva de ReveraGen para todas las indicaciones a nivel mundial de AGAMREE® (vamorolone), un esteroide disociativo con un modo de acción novedoso, que se investigó en un estudio pivotal en pacientes con distrofia muscular de Duchenne (DMD) como alternativa a los corticosteroides estándar. AGAMREE para el tratamiento de la DMD está aprobado en los Estados Unidos por la Administración de Alimentos y Medicamentos (FDA), en la Unión Europea por la Comisión Europea (CE), en el Reino Unido por la Agencia Reguladora de Medicamentos y Productos Sanitarios (MHRA), en China por la Administración Nacional de Productos Médicos (NMPA), en Hong Kong por el Departamento de Salud (DoH) y en Canadá por Health Canada. Santhera ha cedido los derechos de AGAMREE para Norteamérica a Catalyst Pharmaceuticals y para China y determinados países del sudeste asiático a Sperogenix Therapeutics. Para obtener más información, visite www.santhera.com.

AGAMREE® es una marca comercial de Santhera Pharmaceuticals.

Para obtener más información, póngase en contacto con:

Santhera

Catherine Isted, directora financiera:
ICR Healthcare:

IR@santhera.com
Santhera@icrhealthcare.com

Descargo de responsabilidad / Declaraciones prospectivas

Esta comunicación no constituye una oferta ni una invitación para suscribir o adquirir valores de Santhera Pharmaceuticals Holding AG. Esta publicación puede contener determinadas declaraciones prospectivas relativas a la empresa y su actividad. Dichas declaraciones implican ciertos riesgos, incertidumbres y otros factores que podrían hacer que los resultados, la situación financiera, el rendimiento o los logros reales de la empresa difieran sustancialmente de los expresados o implícitos en dichas declaraciones. Por lo tanto, los lectores no deben confiar indebidamente en estas declaraciones, especialmente en relación

con cualquier contrato o decisión de inversión. La empresa se exime de cualquier obligación de actualizar estas declaraciones prospectivas.

#

