

Vamorolone riceve la designazione di Farmaco Innovativo Promettente (PIM - Promising Innovative Medicine) per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne dall'agenzia regolatoria britannica MHRA

Pratteln, Switzerland, 21 ottobre 2019 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) annuncia che l'Agenzia Regolatoria per i Prodotti Medicinali e per la Salute britannica (MHRA - Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency) ha informato l'azienda ReveraGen BioPharma di aver dato a vamorolone la designazione di Farmaco Innovativo Promettente (PIM - Promising Innovative Medicine) per il trattamento della distrofia muscolare di Duchenne (DMD).

“Ci congratuliamo con ReveraGen per questo successo e siamo entusiasti della designazione PIM in quanto conferma ulteriormente il potenziale di vamorolone come un approccio di trattamento innovativo che affronta le esigenze mediche altamente insoddisfatte dei giovani pazienti con DMD”, ha detto **Thomas Meier, PhD, Direttore Esecutivo di Santhera**.

La designazione PIM sta a indicare che la MHRA Britannica considera vamorolone un candidato promettente per gli Schemi di Accesso Precoce al Farmaco (EAMS - Early Access to Medicines Scheme). Nel Regno Unito, gli EAMS, la cui prima fase è costituita dalla designazione PIM, ha l'obiettivo di fornire ai pazienti con condizioni che li pongono a rischio di vita o condizioni seriamente debilitanti, l'accesso a farmaci che non hanno ancora l'autorizzazione al commercio laddove sussiste una chiara esigenza medica insoddisfatta.

Vamorolone è un farmaco sperimentale anti-infiammatorio steroideo di prima classe in fase di sviluppo per il trattamento della DMD. Dati provenienti da studi clinici e non, indicano che il trattamento con vamorolone risulta in un miglioramento persistente della funzionalità muscolare con eventi avversi tipicamente inferiori rispetto a quelli riportati per i corticosteroidi tradizionali [1-6].

Vamorolone ha ricevuto la designazione di Farmaco Orfano negli Stati Uniti e in Europa, e ha ricevuto le designazioni Fast Track e Malattia Pediatrica Rara dalla FDA statunitense.

Su Vamorolone

Vamorolone è un candidato farmaco di prima classe che ha la capacità di legare gli stessi recettori dei corticosteroidi ma in grado di modificare l'attività dei recettori. Vamorolone ha il potenziale di “dissociare” l'efficacia dalle tipiche problematiche sulla sicurezza degli steroidi e potrebbe pertanto andare a sostituire i corticosteroidi esistenti, che rappresentano l'attuale standard di cura nei pazienti DMD bambini e adolescenti. Esiste un'esigenza medica significativamente insoddisfatta in questo gruppo di pazienti in quanto le dosi elevate di corticosteroidi hanno effetti collaterali sistemici severi che inficiano l'aderenza al trattamento e la qualità di vita dei pazienti.

Lo studio VISION-DMD di fase 2b attualmente in corso per 48 settimane (VBP15-004; NCT03439670) è disegnato come studio pilota per dimostrare l'efficacia e la sicurezza di vamorolone rispetto al prednisone e al placebo in 120 ragazzi con DMD di età compresa tra i 4 anni e i 7 anni non compiuti che ancora non hanno ricevuto il trattamento con i corticosteroidi. Per ulteriori informazioni si può visitare il sito: <https://vision-dmd.info/2b-trial-information>.

Vamorolone è sviluppato dall'azienda statunitense ReveraGen BioPharma Inc. con la partecipazione, sia nel finanziamento che nel disegno degli studi, di molte organizzazioni non-profit, del National Institutes of Health statunitense, il Dipartimento di Difesa statunitense e il programma Horizon 2020 della commissione europea. Nel novembre 2018, Santhera ha comprato da Idorsia l'opzione ad una licenza esclusiva per vamorolone per tutte le sue indicazioni e per tutti i paesi nel mondo (ad esclusione di Giappone e Corea).

Referenze:

- [1] Hoffman EP et al. (2019). Vamorolone trial in Duchenne muscular dystrophy shows dose-related improvement of muscle function. *Neurology* 93(13):e1312-e1323. doi:10.1212/WNL.00000000000008168
- [2] Hoffman EP et al. (2018). Phase 1 trial of vamorolone, a first-in-class steroid, shows improvements in side effects via biomarkers bridged to clinical outcomes. *Steroids* 134: 43-52.
- [3] Conklin LS et al. (2018). Phase IIa trial in Duchenne muscular dystrophy shows vamorolone is a first-in-class dissociative steroidal anti-inflammatory drug. *Pharmacol Res*. 136:140-150. doi: 10.1016/j.phrs.2018.09.007.
- [4] Mavroudis PD et al. (2019). Population pharmacokinetics of vamorolone (VBP15) in healthy men and boys with Duchenne muscular dystrophy. *J Clin Pharmacol*. 59(7):979-988. doi: 10.1002/jcph.1388.
- [5] Heier CR et al. (2013). VBP15, a novel anti-inflammatory and membrane-stabilizer, improves muscular dystrophy without side effects. *EMBO Mol Med* 5: 1569-1585
- [6] Heier CR et al. (2019). Vamorolone targets dual nuclear receptors to treat inflammation and dystrophic cardiomyopathy. *Life Science Alliance* DOI 10.26508/lsa.201800186