

Santhera wird morgen, 21. November 2018, um 13:00 MEZ, 12:00 GMT, 07:00 EST einen Webcast durchführen. Details dazu am Schluss dieser Mitteilung.

Santhera schliesst Vereinbarung zum Erwerb einer Option von Idorsia auf die exklusive Sublizenz des „First-in-class“ dissoziativen Steroids Vamorolone ab

- *Vamorolone ist in klinischer Entwicklung für Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) durch ReveraGen BioPharma Inc. – zulassungsrelevante VISION-DMD Phase-IIb-Studie läuft*
- *Vamorolone hat das Potenzial, bei jungen Patienten mit DMD Therapiestandard zu werden*
- *Positioniert Santhera als führendes Unternehmen bei DMD mit zwei fortgeschrittenen Wirkstoffkandidaten, die den medizinischen Bedarf von DMD-Patienten in allen Krankheitsstadien adressieren*
- *Idorsia wird grösster Aktionär von Santhera mit einem Anteil von 13,3%*

Pratteln und Allschwil, Schweiz, 20. November 2018 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) und Idorsia Ltd (SIX: IDIA) sind eine Vereinbarung eingegangen, wobei Santhera die Option auf eine exklusive Lizenz, in Form einer Sublizenz, für das First-in-Class dissoziative Steroid Vamorolone in allen Indikationen und allen Ländern weltweit mit Ausnahme von Japan und Südkorea erwerben wird. Erste klinische Daten deuten darauf hin, dass Vamorolone die entzündungshemmende Wirkung von Steroiden besitzt, jedoch mit geringeren Steroid-Nebenwirkungen. Dies würde für Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD), der primär untersuchten Indikation für Vamorolone, eine erhebliche Verbesserung darstellen gegenüber dem derzeitigen Therapiestandard durch Behandlung mit herkömmlichen Glukokortikoiden.

Thomas Meier, PhD, Chief Executive Officer von Santhera, sagte: „Vamorolone ist ein äusserst vielversprechender Wirkstoffkandidat zur Behandlung von Patienten mit DMD und passt strategisch perfekt zu Idebenon. Unser DMD-Wirkstoffportfolio im späten Entwicklungsstadium deckt damit ein breites DMD-Patientenspektrum ab, unabhängig von genetischem Status, Krankheitsstadium oder Patientenalter. Diese Vereinbarung bekräftigt zudem unsere Ambition, qualitativ hochstehende, fortgeschrittene Medikamentenkandidaten für seltene Krankheiten zu lizenzieren und so unsere Fähigkeiten und Know-how wertsteigernd zu nutzen. Wir heissen Idorsia als unseren grössten Aktionär und Partner willkommen und freuen uns auf die Zusammenarbeit mit ReveraGen bei der Entwicklung von Vamorolone, einem Produkt mit dem Potenzial, Standard-Glukokortikoide bei der Behandlung von DMD zu ersetzen.“

Vamorolone – ein „first-in-class“ dissoziatives Steroid

Vamorolone, der erste Arzneimittelkandidat mit diesem Wirkprofil, bindet an dieselben Rezeptoren wie Glukokortikoide, verändert jedoch die nachfolgende Aktivität der Rezeptoren. Dies kann möglicherweise die Wirksamkeit von den bekannten Verträglichkeitsnachteilen abkoppeln (bzw. „dissoziieren“) und einen Ersatz bieten für Glukokortikoide, die derzeit standardmässig zur Behandlung von Kindern und Jugendlichen mit DMD verabreicht werden. In dieser Patientengruppe besteht ein erheblicher ungedeckter medizinischer Bedarf, da hochdosierte Glukokortikoide schwerwiegende systemische Nebenwirkungen haben, die eine Langzeitbehandlung einschränken.

Vamorolone wurde von dem US-amerikanischen Unternehmen ReveraGen BioPharma Inc. entdeckt und entwickelt mit finanzieller Unterstützung von 12 internationalen gemeinnützigen Stiftungen, den US National Institutes of Health, dem US-Verteidigungsministerium und dem EU-Förderprogramm Horizont 2020. Actelion erwarb 2016 eine Lizenzoption für das Produkt. Diese Option wurde nach der Übernahme von Actelion durch Johnson & Johnson im Jahr 2017 an Idorsia transferiert.

Eric Hoffman, PhD, Chief Executive Officer von ReveraGen, kommentierte: „Wir hoffen, dass Vamorolone bestehende Glukokortikoide in der DMD-Therapie ersetzen kann. Die frühe klinische Entwicklung von Vamorolone bei Patienten mit DMD, unter Verwendung eines innovativen Ansatzes mit einer Reihe ausgewählter Biomarker zeigte, dass Vamorolone die entzündungshemmende Wirksamkeit beibehält und gleichzeitig die mit Steroiden verbundenen Verträglichkeitsbedenken verringert. Ich freue mich sehr, mit Santhera zusammenzuarbeiten, um diesen vielversprechenden Therapiekandidaten für Patienten mit DMD weiter zu entwickeln.“

Vamorolone bei DMD

Auf klinisch-pharmakologische Untersuchungen mit ansteigenden Ein- und Mehrfachdosierungen (VBP15-001) an gesunden Freiwilligen [1] folgte eine Phase-IIa-Studie (VBP15-002) mit Vamorolone bei 48 Knaben mit DMD im Alter von 4 bis <7 Jahren. Vamorolone war sicher und gut verträglich in einer Dosierung bis zu 6.0mg/kg/Tag, ungefähr der 10-fachen Standard-Glukokortikoid-Dosis [2]. In einer 6-monatigen Anschlussstudie (VBP15-003) wurde zudem eine dosisabhängige funktionale Verbesserung nachgewiesen, die mit einer Standardbehandlung mit Glukokortikoiden vergleichbar war.

Die laufende VISION-DMD Phase-IIb-Studie (VBP15-004) baut auf den verfügbaren vielversprechenden vorläufigen Daten zur Verträglichkeit und Wirksamkeit der Phase IIa auf und ist darauf ausgerichtet, exploratorische Biomarkerdaten mit klinischen Ergebnissen in Bezug zu setzen. In dieser zulassungsrelevanten Studie werden etwa 120 Knaben im Alter von 4 bis <7 Jahren, die noch nicht mit Glukokortikoiden behandelt wurden, in eine von vier Gruppen randomisiert: Niedrigdosis Vamorolone (2 mg/kg/Tag), Hochdosis Vamorolone (6 mg/kg/Tag), Prednison (0.75 mg/kg/Tag) oder Placebo. Nach der ersten 24-wöchigen Behandlungsphase wechseln die Prednison- und Placebo-Gruppen zu Vamorolone mit niedriger oder hoher Dosis. Anschliessend werden in der zweiten Behandlungsphase alle Patienten weitere 20 Wochen mit Vamorolone behandelt. Klinische Ergebnisse für die Wirksamkeit umfassen Funktionstests sowie Messungen der Muskelkraft und Ausdauer. Klinische Ergebnisse zur Sicherheit und Verträglichkeit beinhalten die Überwachung von Knochenveränderungen, Gewichtsveränderungen, Katarakten und für Stoffwechselstörungen relevante Biomarker.

Die Studie wird in rund 30 Zentren in Nordamerika, Europa, Israel und Australien durchgeführt. Die Patientenrekrutierung, die im August 2018 begann, wird voraussichtlich etwa 12 Monate dauern und die gesamte Studiendauer dürfte zirka 24 Monate betragen. Positive Resultate vorausgesetzt, darf mit der Einreichung von Zulassungsanträgen an die Gesundheitsbehörden in den USA Ende 2020 und in der EU im 2021 gerechnet werden. Vamorolone hat in den USA und in Europa Orphan-Drug-Designation und in den USA den Fast-Track-Status.

Das Santhera-Management erwartet für Vamorolone in der Indikation DMD ein Spitzenumsatzpotenzial von USD 500 Millionen.

Die Vereinbarung

Im Rahmen der Vereinbarung wird Idorsia Santhera die Option auf eine exklusive Sublizenz für Vamorolone in allen Indikationen und allen Ländern mit der Ausnahme von Japan und Südkorea gewähren. Als Gegenleistung für den Abschluss der Vereinbarung mit Santhera wird Idorsia 1'000'000 (eine Million) neue Namenaktien aus dem bestehenden genehmigten Kapital von Santhera und eine Vorauszahlung von USD 20 Millionen erhalten, wovon USD 15 Millionen Idorsia für seine Investition in die derzeit von ReveraGen durchgeführte VISION-DMD Phase-IIb-Studie entschädigen soll. Während die Barkomponente von einer Finanzierung abhängt, ist die Aktienkomponente frei von Bedingungen und, wie auch die Barkomponente, unter keinen Umständen rückerstattungspflichtig. Durch diese Transaktion wird Idorsia grösster Aktionär von Santhera mit einem Eigenkapitalanteil von 13,3%. Die an Idorsia auszugebenen Aktien werden einer Sperrfrist unterliegen, welche abläuft, sobald Vamorolone in den USA die Zulassung für DMD erhält. Santhera ist berechtigt, die Option nach Erhalt der Resultate der Phase-IIb-VISION-DMD-Studie (VBP15-004) und einer Einmalzahlung an Idorsia von USD 30 Millionen einzulösen.

Nach Ausübung der weltweiten Vamorolone-Lizenzoption durch Idorsia und der Ausübung der Vamorolone-Sublizenz-Option für alle Länder weltweit mit Ausnahme von Japan und Südkorea wird Santhera an Idorsia regulatorische und kommerzielle Meilensteinzahlungen von bis zu USD 80 Millionen in der DMD-Indikation und vier einmalige Umsatzmeilensteinzahlungen von insgesamt bis zu USD 130 Millionen leisten. Regulatorische Meilensteinzahlungen von Santhera an Idorsia für drei zusätzliche Indikationen belaufen sich insgesamt auf bis zu USD 205 Millionen. Nach Markteinführung von Vamorolone ist Santhera verpflichtet, gestaffelte Lizenzgebühren im einstelligen bis tiefen zweistelligen Prozentbereich auf den jährlichen Nettoumsatz von Vamorolone an Idorsia zu zahlen.

Jean-Paul Clozel, MD, Chief Executive Officer von Idorsia, ergänzte: „Mit vier Prüfkandidaten, die sich in der späten klinischen Entwicklung befinden, und weiteren innovativen Pipeline-Molekülen rücken zahlreiche Medikamente in den Fokus der neu geschaffenen Vertriebsorganisation von Idorsia. Wir haben uns entschlossen, die Option zur Lizenzierung von Vamorolone an Santhera abzugeben, da das Unternehmen ideal positioniert ist, um das Potenzial dieses Produktes maximal auszuschöpfen. Bei Erfolg dürfte es Patienten möglich sein, dank dem Netzwerk und der Expertise von Santhera auf dem Gebiet von DMD, raschestens von diesem potenziellen neuen Behandlungsansatz zu profitieren. Mit dieser Vereinbarung werden wir zudem der grösste Aktionär von Santhera und sind weiterhin sehr interessiert und entschlossen, Vamorolone zu einem Erfolg zu bringen.“

Centerview Partners hat Santhera bei dieser Transaktion als alleiniger strategischer und finanzieller Berater unterstützt.

Santhera Webcast & Telefonkonferenz

Santhera wird morgen, 21. November 2018, um 13:00 Uhr MEZ, 12:00 GMT, 07:00 Uhr EST eine(n) Audio-Webcast / Telefonkonferenz abhalten, um die Vereinbarung zu Vamorolone zu erläutern. Teilnehmer werden eingeladen, sich 10-15 Minuten vor Beginn beim Audio-Webcast anzumelden oder in die Telefonkonferenz einzuwählen:

Webcast: Für den Zugang zum Webcast klicken Sie auf folgenden [Link](#).

Telefonkonferenz: Wählen Sie eine der folgenden Nummern (kein Code erforderlich):

Europe: +41 58 310 50 00

UK: +44 207 107 0613

USA: +1 631 570 5613

###

Hinweise an die Redaktion

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN), ein Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, ist auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für seltene und andere Erkrankungen mit hohem medizinischen Bedarf fokussiert. Das Produktportfolio umfasst Arzneimittel für neuro-ophthalmologische, neuromuskuläre und pulmonale Krankheiten, die entweder in der klinischen Entwicklung sind oder bereits die Marktzulassung erhalten haben. Santheras Raxone® (Idebenon) ist in der Europäischen Union, Norwegen, Island, Liechtenstein und Israel zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) zugelassen und wird derzeit in über 20 Ländern vermarktet. Weitere Informationen sind verfügbar unter www.santhera.com.

Raxone® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Über ReveraGen BioPharma

ReveraGen wurde 2008 gegründet, um erstklassige dissoziative Steroid-Medikamente für Duchenne-Muskeldystrophie und andere chronische entzündliche Erkrankungen zu entwickeln. Die Entwicklung des wichtigsten Wirkstoffs von ReveraGen, Vamorolone, wurde durch Partnerschaften mit weltweiten Stiftungen unterstützt, darunter die Muscular Dystrophy Association USA, Parent Project Muscular Dystrophy, Foundation to Eradicate Duchenne, Save Our Sons, JoiningJack, Action Duchenne, CureDuchenne, Ryan's Quest, Alex's Wish, DuchenneUK, Pietro's Fight, Michael's Cause, und der Duchenne Research Fund. ReveraGen erhielt auch grosszügige Unterstützung vom US-Verteidigungsministerium CDMRP, den National Institutes of Health (NCATS, NINDS, NIAMS) und der Europäischen Kommission (Horizon 2020). www.reveragen.com

Über Idorsia

Idorsia Ltd strebt nach mehr - Wir haben mehr Ideen, wir sehen mehr Möglichkeiten und wir möchten mehr Patienten helfen. Um dies zu erreichen, werden wir Idorsia zu einem der führenden biopharmazeutischen Unternehmen Europas mit einem starken wissenschaftlichen Kern entwickeln.

Idorsia hat seinen Hauptsitz in der Schweiz - einem Biotech-Zentrum Europas - und ist auf die Entdeckung und Entwicklung von niedermolekularen Substanzen spezialisiert, um den Horizont der therapeutischen Möglichkeiten zu verändern. Idorsia verfügt über ein breites Portfolio an innovativen Medikamenten, ein erfahrenes Team, ein voll funktionsfähiges Forschungszentrum und eine starke Bilanz - die ideale

Konstellation, um Forschungs- und Entwicklungsanstrengungen zum Geschäftserfolg zu führen.
Idorsia wurde im Juni 2017 an der SIX Swiss Exchange kotiert (Ticker-Symbol: IDIA) und beschäftigt über
700 hochqualifizierte Fachleute, die sich der Umsetzung unserer ehrgeizigen Ziele widmen.

Über die weltweite Lizenzvereinbarung zwischen Idorsia und ReveraGen

Die Vereinbarung von Idorsia mit ReveraGen in Bezug auf die Vamorolone-Lizenzoption wurde letztmals
am 5. November 2018 erneuert und geändert. Gemäss der geänderten Vereinbarung ist Idorsia
berechtigt, jederzeit eine Option auf die exklusiven weltweiten Lizenzrechte für Vamorolone für eine
Gegenleistung von USD 20 Millionen auszuüben, spätestens jedoch bei Erhalt der Phase-IIb-
Studienresultate. Sofern die Option ausgeübt wird, hat ReveraGen Anspruch auf regulatorische und
kommerzielle Meilensteinzahlungen von Idorsia in Höhe von bis zu USD 75 Millionen in der DMD-
Indikation und drei neue einmalige Umsatzmeilensteinzahlungen von bis zu USD 120 Millionen. Die
Meilensteinzahlungen für drei zusätzliche Indikationen belaufen sich insgesamt auf bis zu USD 190
Millionen. Nach Markteinführung von Vamorolone ist Idorsia verpflichtet, gestaffelte Lizenzgebühren im
ein- bis tiefen zweistelligen Prozentbereich auf den jährlichen Nettoumsatz von Vamorolone an
ReveraGen zu zahlen.

Referenzen

[1] Hoffman E 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

[2] Conklin LS et al. (2018). Phase IIa trial in Duchenne muscular dystrophy shows vamorolone is a first in-class dissociative
steroidal anti-inflammatory drug. Pharmacological Research 136:140-150.

Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:

Santhera

Santhera Pharmaceuticals Holding AG, Hohenrainstrasse 24, CH-4133 Pratteln

public-relations@santhera.com oder

Eva Kalias, Head External Communications

Tel.: +41 79 875 27 80

eva.kalias@santhera.com

Für Investoren:

investor-relations@santhera.com oder

Christoph Rentsch, Chief Financial Officer

Europa: +41 61 906 89 65

christoph.rentsch@santhera.com

Hans Vitzthum, LifeSci Advisors

USA: +1 212 915 2568

hans@lifesciadvisors.com

Idorsia

Andrew C. Weiss,

Senior Vice President, Head of Investor Relations & Corporate Communications

Idorsia Pharmaceuticals Ltd, Hegenheimermattweg 91, CH-4123 Allschwil

Tel.: +41 (0) 58 844 10 10

www.idorsia.com

Disclaimer / Forward-looking statements

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 Geschäftsaktivitäten enthalten. Solche Aussagen beinhalten bestimmte Risiken, Unsicherheiten und andere Faktoren, die dazu führen können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die finanzielle Lage, der Leistungsausweis oder die Zielerreichung des Unternehmens wesentlich von den in diesen Aussagen ausgedrückten oder implizierten Erwartungen abweichen. Die Leser sollten sich daher nicht in unangemessener Weise auf diese Aussagen verlassen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit einer Vertrags- oder Investitionsentscheidung. Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung zur Aktualisierung dieser Aussagen ab.