

Santhera reicht in der Europäischen Union Zulassungsantrag für Raxone[®] zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie ein

Liestal, Schweiz, 31. Mai 2016 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt die Einreichung des Zulassungsantrages (Marketing Authorization Application, MAA) bei der Europäischen Arzneimittelbehörde (European Medicines Agency, EMA) für Raxone[®] (Idebenone) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion und ohne Glucocorticoid-Begleittherapie bekannt. Die neue Indikation wurde als Typ-II-Variation zur bestehenden Zulassung, die das Unternehmen letztes Jahr für Raxone erhielt, eingereicht. Raxone hat in der EU Orphan-Drug-Status für DMD.

Das Zulassungsdossier, das jetzt als Typ-II-Variation zur bestehenden Marktzulassung eingereicht wurde, umfasst Daten von Santheras Phase-II-Programm (DELPHI) und der Phase-III-Studie (DELOS), die einen statistisch signifikanten und klinisch relevanten Nutzen der Raxone-Behandlung auf den Erhalt der Atmungsfunktion bei Patienten ohne Glucocorticoid-Begleittherapie im Vergleich zu Placebo nachwies. Dieser Nutzen resultierte auch in weniger bronchopulmonaren Komplikationen (wie Atemwegsinfektionen), einer kürzeren Dauer dieser Komplikationen sowie einem geringeren Bedarf nach Antibiotikatherapien bei mit Raxone behandelten Patienten. Die Daten wurden durch eine Studie zum natürlichen Krankheitsverlauf erhärtet, die zeigte, dass die Abnahme der Atmungsfunktion in der Placebo-Gruppe der DELOS-Studie dem natürlichen Krankheitsverlauf entsprach, während Patienten in der Raxone-Gruppe davon abwichen. Die MAA schliesst auch Daten einer Nutzen/Risiko-Studie ein, welche die Bedeutung einer Behandlung von Komplikationen der Atemfunktion bei DMD-Patienten hervorhob. Die eingereichten Daten zeigen, dass Raxone die Abnahme der Atmungsfunktion verlangsamt, den Patientenanteil, der klinisch relevante Schwellenwerte der Atmungsfunktion unterschreitet, reduziert sowie das Erreichen solcher Schwellenwerte verzögert. Dies sind wichtige Therapieerfolge und für DMD-Patienten von grosser klinischer Bedeutung. Raxone (900 mg/Tag) war sicher und gut verträglich und zeigte ein mit Placebo vergleichbares Nebenwirkungsprofil.

Die in der MAA beantragte Indikation für Raxone umfasst DMD-Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion, welche aktuell keine Glucocorticoide einnehmen. Dies schliesst Patienten mit ein, die früher mit Glucocorticoiden behandelt wurden oder bei denen diese unerwünscht, nicht verträglich oder kontraindiziert sind. Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion und ohne Glucocorticoid-Therapie umfassen rund 40% aller DMD-Patienten im Alter von über 10 Jahren. Gegenwärtig ist keine Behandlung für diese DMD-Patientenpopulation verfügbar.

**Santhera reicht in der Europäischen Union Zulassungsantrag für Raxone®
zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie ein**

31. Mai 2016 / Seite 2 von 3

„In unserer DELOS-Studie, der ersten und bislang einzigen Phase-III-Studie bei DMD mit positiven Resultaten, konnte für Raxone ein klinisch relevanter Nutzen bei verschiedenen Atmungsfunktionsparametern nachgewiesen werden“, sagte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. „Wir arbeiten mit den europäischen Zulassungsbehörden zusammen, um Patienten mit Atmungsfunktionsverlust, denen keine wirksame Behandlungsalternative zur Verfügung steht, rasch Zugang zu Raxone zu ermöglichen.“

In den USA hat Santhera bei der US-amerikanischen Gesundheitsbehörde FDA ein umfangreiches Datenpaket eingereicht, um den Zulassungsantrag (New Drug Application, NDA) unter Subpart H für Raxone (Idebenone) für dieselbe Indikation wie im jetzt eingereichten MAA-Zulassungsantrag zu erörtern. Eine Rückmeldung seitens der FDA wird derzeit bis Ende Juli erwartet.

Santhera verfügt über die globalen Vertriebsrechte am DMD-Programm, welches in der EU und den USA Orphan-Drug-Status und in den USA Fast-Track-Status hat. Der Patenschutz erstreckt sich bis März 2026 (EU, Japan) beziehungsweise Dezember 2027 (USA).

Über Raxone® (Idebenone) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)

Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine der am weitesten verbreiteten und schwerwiegendsten Formen von rasch fortschreitendem Muskelschwund. Die genetisch bedingte, degenerative Krankheit wird X-chromosomal rezessiv vererbt und tritt bei Knaben mit einer Inzidenz von bis zu 1 in 3 500 Lebendgeburten auf. Charakteristisch für DMD ist der Verlust des Proteins Dystrophin, der zu Zellschädigung, gestörtem zellulärem Kalziumhaushalt, erhöhtem oxidativem Stress und verringerter zellulärer Energieproduktion in Muskelzellen führt. Diese zellulären Schäden resultieren in fortschreitender Muskelschwäche und Muskelschwund und führen aufgrund von Atmungsversagen zu früher Morbidität und Mortalität.

Idebenone ist ein synthetisches kurzkettiges Benzoquinone und Kofaktor für das zelluläre Enzym NAD(P)H:quinone oxidoreductase (NQO1). Der Wirkstoff kann den mitochondrialen Elektronentransport stimulieren, den oxidativen Stress vermindern und die zelluläre Energieversorgung verbessern.

DELOS war eine Phase-III, doppelblinde, Plazebo-kontrollierte Studie mit 64 Patienten im Alter von 10-18 Jahren, welche entweder Raxone-Tabletten oder entsprechendes Plazebo erhielten. Die Studie erreichte den primären Endpunkt und zeigte, dass Raxone den Verlust der Atmungsfunktion bei Patienten ohne gleichzeitige Behandlung mit Glucocorticoid-Steroiden verzögern kann. Die positiven Resultate der Phase-III-DELOS-Studie wurden in *The Lancet* veröffentlicht ([Buyse et al., The Lancet 2015 385\(9979\):1748-57](#)).

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente zur Behandlung seltener neuromuskulärer und mitochondrialer Krankheiten fokussiertes Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen. Santheras erstes Produkt Raxone® ist in der Europäischen Union zur Behandlung von Leber Hereditärer Optikusneuropathie (LHON) zugelassen.

**Santhera reicht in der Europäischen Union Zulassungsantrag für Raxone®
zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie ein**

31. Mai 2016 / Seite 3 von 3

Santhera entwickelt Raxone® in den zwei weiteren Indikationen Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) und primär progredienter Multipler Sklerose (PPMS), sowie Omigapil für Patienten mit kongenitaler Muskeldystrophie (CMD). Für alle diese Krankheiten besteht ein sehr hoher medizinischer Bedarf. Weitere Informationen zu Santhera finden Sie unter www.santhera.com.

Raxone® und Catena® sind eingetragene Marken von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:

Thomas Meier, PhD, Chief Executive Officer
Telefon +41 61 906 89 64
thomas.meier@santhera.com

Christoph Rentsch, Chief Financial Officer
Telefon +41 61 906 89 65
christoph.rentsch@santhera.com

Medienkontakt

Eva Kalias, Vio Consult
Telefon +41 78 671 98 86
kalias@vioconsult.com

Disclaimer / Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Pressemitteilung kann gewisse in die Zukunft gerichtete Aussagen über Santhera und ihre Geschäftsaktivitäten enthalten. Solche Aussagen beinhalten gewisse Risiken, Unsicherheiten und andere Faktoren, die zur Folge haben können, dass tatsächlich erzielte Geschäftsergebnisse, die finanzielle Verfassung, die Leistungsfähigkeit und die Zielerreichung wesentlich von dem abweichen, was in solchen Aussagen implizit oder explizit erwähnt ist. Leserinnen und Leser sollten diesen Aussagen daher kein übermässiges Gewicht beimessen; dies ganz besonders nicht im Zusammenhang mit Verträgen oder Investitionsentscheidungen. Santhera übernimmt keine Verpflichtung, diese in die Zukunft gerichteten Aussagen zu aktualisieren.

#