

Santhera erhält FDA-Förderbeitrag zur Unterstützung der laufenden Phase-I-Studie mit Omigapil bei kongenitaler Muskeldystrophie

Liestal, Schweiz, 30. August 2016 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass das Office of Orphan Products Development (OOPD, Abteilung für die Entwicklung von Produkten für seltene Krankheiten) der US Food and Drug Administration (FDA) Santhera einen Förderzuschuss von USD 246'000 zur Unterstützung der laufenden Phase-I-Studie mit Omigapil (CALLISTO) zuerkannt hat. Die CALLISTO Studie dient der Entwicklung einer Therapie für Patienten mit kongenitaler Muskeldystrophie (CMD) und wird in Zusammenarbeit mit dem US National Institutes of Health (NIH) durchgeführt. Mit ihren Forschungsgeldern unterstützt die FDA im Rahmen des Orphan Products Grants Program die klinische Entwicklung von Produkten für seltene Krankheiten, für die keine Behandlung existiert.

„Wir sind sehr erfreut über diesen renommierten und hoch kompetitiven Förderbeitrag der FDA zur Unterstützung unserer Phase-I-Studie bei CMD“, erläuterte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. „Mit dieser Auszeichnung bekräftigt die FDA den Bedarf nach einer Behandlung für CMD und unterstreicht den Beitrag, den die CALLISTO Studie zur Entwicklung einer wirksamen Therapie leistet. Nach Raxone ist der Wirkstoff Omigapil unser zweites Entwicklungsprodukt und verdeutlicht unser Engagement bei der Entwicklung wirksamer Medikamente zur Behandlung mitochondrialer und neuromuskulärer Krankheiten.“

„Als die führende Interessensvertretung für Patienten mit CMD sind wir sehr erfreut, dass die FDA die Notwendigkeit anerkennt, die medizinische Forschung für diese seltene Krankheit voranzutreiben. Da derzeit keine wirksame Therapie zur Verfügung steht, bietet die CALLISTO Studie Hoffnung für Patienten mit dieser verheerenden Krankheit“, ergänzte **Patrick May**, Präsident der Patientenorganisation CureCMD.

Fördergelder aus dem Orphan Products Grant Programm sind für klinische Studien vorgesehen, welche die Sicherheit und/oder Wirksamkeit von medizinischen Produkten untersuchen und deren Marktzulassung bedeutend vorantreiben. Santhera führt derzeit CALLISTO in Zusammenarbeit mit den US National Institutes of Health (NIH) und unter der Leitung von Prof. Carsten Bönnemann und Dr. Reghan Foley am National Institute of Neurological Disorders and Stroke (NINDS) in Bethesda, Maryland, durch. CALLISTO evaluiert die Pharmakokinetik, Sicherheit und Verträglichkeit von Omigapil bei gehfähigen und nicht mehr gehfähigen Patienten im Kindes- und Jugendalter, die von einem von zwei CMD-Subtypen (COL6-RD oder LAMA2-RD) betroffen sind. Der Abschluss der Studie wird im ersten Halbjahr 2017 erwartet. Bereits zuvor haben zwei öffentlich-private Partnerschaften CALLISTO unterstützt, darunter zwei Patientenorganisationen, die US-amerikanische CureCMD und die Schweizerische Stiftung für die Erforschung von Muskelkrankheiten, sowie EndoStem im Rahmen des 7. EU-Forschungsrahmenprogramms. Weitere Details zur Studie sind verfügbar unter www.clinicaltrials.gov (Identifizier NCT01805024).

Santhera erhält FDA-Förderbeitrag zur Unterstützung der laufenden Phase-I-Studie mit Omigapil bei kongenitaler Muskeldystrophie

30. August 2016 / Seite 2 von 3

Im Mai 2016 erhielt Santhera den Fast-Track-Status der FDA für Omigapil zur Behandlung von CMD zuerkannt. Omigapil wurde zuvor als Arzneimittel für seltene Krankheiten (sog. Orphan Drug Designation) für CMD in der EU und den USA anerkannt.

Über kongenitale Muskeldystrophie

Kongenitale Muskeldystrophie (CMD) ist eine heterogene und klinisch unterscheidbare Gruppe vererbter neuromuskulärer Krankheiten, darunter die Subtypen LAMA2-RD und Col6-RD, und manifestiert sich mit einem frühen Einsetzen verschiedener Symptome. Dazu gehören unter anderem Kraftlosigkeit, Kontrakturen, erhöhter Kreatinkinase-Spiegel, dystrophische Veränderungen des Muskelgewebes, Verlust der Geh- oder sogar Stehfähigkeit, respiratorische Insuffizienz, Störungen bei der Nahrungsaufnahme und der frühe Tod. Bei schweren Formen können Neugeborene oder Kleinkinder von einer lebensbedrohlichen progressiven Muskelschwäche ("floppy infant syndrome") betroffen sein. Bei dieser Krankheit sind zelluläre Signalkaskaden beeinträchtigt, die für die Transkription von pro-apoptischen Genen verantwortliche Glyceraldehyd-3-Phosphat-Dehydrogenase (GAPDH) kontrollieren, was zum vermehrten Zelltod (Apoptose) und Fibrose führt. Derzeit ist keine pharmakologische Therapie verfügbar oder in der fortgeschrittenen klinischen Entwicklung. Die Behandlungsmöglichkeiten beschränken sich auf die Atmungsunterstützung und orthopädische Chirurgie für Skoliose sowie Nahrungsergänzung, um Mangelernährung zu vermeiden.

Über Omigapil

Omigapil ist ein Deprenylanalog mit anti-apoptischer Wirkung. Santhera hat den ursprünglich von Novartis entwickelten Wirkstoff exklusiv zur weltweiten Entwicklung bei kongenitaler Muskeldystrophie (CMD) lizenziert. Omigapil bindet und hemmt die Glyceraldehyd-3-Phosphat-Dehydrogenase (GAPDH), was vermutlich für die anti-apoptische Wirkung verantwortlich ist. Dieser Wirkmechanismus bildet die Grundlage für die klinische Entwicklung von Omigapil bei CMD. Eine anti-apoptische Wirkung wurde bereits in CMD-Tiermodellen nachgewiesen. Diese präklinischen Studien haben gezeigt, dass Omigapil den programmierten Zelltod (Apoptose) hemmt, Gewichtsverlust begrenzt und Skelettdeformationen verringert. Gleichzeitig verbessern sich motorische Aktivitäten und die Lebenserwartung.

Über CureCMD

CureCMD verfolgt das Ziel, die Forschung und die Entwicklung von Behandlungen für die Heilung von kongenitaler Muskeldystrophie zu ermöglichen. Dieses Ziel soll durch eine globale Zusammenarbeit mit engagierten Eltern-, Behörden- und Forschungsvertretern erreicht werden. Dabei geht es darum, vielversprechende Forschung und klinische Studien zu identifizieren und zu finanzieren. Ausschlaggebend ist der Beitrag, der eine Therapie zur Verbesserung des Lebens von Menschen, die von CMD betroffen sind, leistet. Für weitere Informationen, besuchen Sie bitte www.curecmd.org.

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente zur Behandlung seltener neuromuskulärer und mitochondrialer Krankheiten fokussier-

**Santhera erhält FDA-Förderbeitrag zur Unterstützung der laufenden
Phase-I-Studie mit Omigapil bei kongenitaler Muskeldystrophie**

30. August 2016 / Seite 3 von 3

tes Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen. Santheras erstes Produkt Raxone[®] ist in der Europäischen Union, Norwegen, Island und Liechtenstein zur Behandlung von Leber Hereditärer Optikusneuropathie (LHON) zugelassen. Für Duchenne-Muskeldystrophie (DMD), die zweite Indikation für Raxone[®], hat Santhera in der Europäischen Union einen Antrag auf Marktzulassung gestellt. In Zusammenarbeit mit dem US National Institute of Neurological Disorders and Stroke (NINDS) entwickelt Santhera Raxone[®] in einer dritten Indikation, primär progredienter Multipler Sklerose (PPMS), sowie Omigapil für Patienten mit kongenitaler Muskel-dystrophie (CMD). Für alle diese Krankheiten besteht ein sehr hoher medizinischer Bedarf. Weitere Informationen zu Santhera finden Sie unter www.santhera.com.

Raxone[®] ist eine eingetragene Marke 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

Daniel Piller, Head Communications
Telefon +41 61 906 89 26
daniel.piller@santhera.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.

###