

Santhera's Idebenone (Raxone) erhält in Australien Orphan-Drug-Designation für Duchenne-Muskeldystrophie

Liestal, Schweiz, 8. September 2016 – Santhera Pharmaceuticals (SWX:SANN) gibt bekannt, dass die australische Zulassungsbehörde Therapeutic Goods Administration (TGA) Idebenone (Raxone) die Orphan-Drug-Designation für die Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) anerkannt hat. Das Produkt erhielt bereits Orphan-Drug-Designationen von den europäischen, Schweizer und US Zulassungsbehörden.

„Wir freuen uns sehr, dass auch die australische Zulassungsbehörde Raxone für DMD den Orphan-Drug-Status zugesprochen hat“, erläuterte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. „Dieser Entscheid unterstreicht den Bedarf nach einer Behandlung für DMD und die potentielle Rolle von Raxone als wirksame Behandlung. Wir sind der DMD-Patientenorganisation „Save Our Sons – Duchenne Australia“ dankbar für ihre Unterstützung bei diesem erfolgreichen Antrag.“

Die Orphan-Drug-Gesetzgebung schafft Anreize für Pharmaunternehmen, in die Entwicklung von Behandlungsmöglichkeiten für seltene Krankheiten zu investieren. Die TGA definiert sogenannte Orphan Diseases als Krankheiten, die in Australien weniger als 2000 Patienten betreffen. Die Klassifizierung eines Medikamentes als Orphan Drug ist ein wichtiger erster Schritt auf dem Weg zur Zulassung und Medikamente, welchen der Orphan-Drug-Status zugesprochen wurde, haben in Australien eine Marktexklusivität von bis zu fünf Jahren ab Zulassungsdatum. Im Auftrag von Santhera hatte TudorRose Consulting Ltd, der gesetzliche Vertreter des Unternehmens in Australien, den Antrag auf Orphan-Drug-Designation eingereicht.

Über Raxone® (Idebenone) bei Duchenne-Muskeldystrophie

Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine der am weitesten verbreiteten und schwerwiegendsten Formen von rasch fortschreitendem Muskelschwund. Charakteristisch 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 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.

Nach einer initialen Phase-II-Studie (DELPHI) wurde die Verträglichkeit und Wirksamkeit von Raxone (Idebenone) in der doppelblinden, Plazebo-kontrollierten Phase-III-Studie DELOS bestätigt. In der DELOS-Studie wurden 64 Patienten ohne Glucocorticoid-Begleittherapie randomisiert und erhielten entweder Raxone (900 mg/Tag) oder entsprechendes Plazebo. Die Studie erreichte den

**Santhera's Idebenone (Raxone) erhält in Australien
Orphan-Drug-Designation für Duchenne-Muskeldystrophie**

8. September 2016 / Seite 2 von 3

primären Endpunkt und zeigte, dass Raxone den Verlust der Atmungsfunktion verzögern und das Auftreten bronchopulmonaler Komplikationen verringern kann. Die Resultate der Phase-II-Studie DELPHI wurden publiziert von Buyse et al., *Neuromuscular Disorders* 2011, 21: 396–405 und *Pediatric Pulmonology* 2013, 48: 912–20. Die positiven Resultate der Phase-III-DELOS-Studie wurden veröffentlicht von Buyse et al., *The Lancet* 2015, 385:1748-57 und McDonald et al., *Neuromuscular Disorders* 2016, 26: 473–480.

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) prüft derzeit den Zulassungsantrag (Marketing Authorization Application, MAA) für Raxone bei DMD-Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion und ohne Glucocorticoid-Begleittherapie. Die beantragte Indikation für Raxone umfasst Patienten, die früher mit Glucocorticoiden behandelt wurden oder bei denen diese unerwünscht, nicht verträglich oder kontraindiziert sind. Die MAA wurde kürzlich als Typ-II-Variation zur bestehenden Zulassung für Raxone zur Behandlung von Sehbeeinträchtigungen bei Patienten mit Leber Hereditärer Optikusneuropathie (LHON) eingereicht.

Über TudorRose Consulting Pty Ltd

TudorRose Consulting Pty Ltd, gegründet 2010, ist eine auf Zulassung und Qualitätskontrolle fokussierte Beratungsfirma mit Sitz in Melbourne, Australien. Das Unternehmen ist spezialisiert auf die internationale Produktentwicklung und bietet eine breite Palette von Dienstleistungen, einschliesslich Regulatory Affairs, QA, Projektmanagement und Strategieberatung. Weitere Informationen sind verfügbar auf der Firmenwebsite unter www.tudorroseconsulting.com.au.

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, 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 die Zulassung beantragt (Marketing Authorization Application, MAA). 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 Muskeldystrophie (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
Phone +41 61 906 89 26
daniel.piller@santhera.com

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

**Santhera's Idebenone (Raxone) erhält in Australien
Orphan-Drug-Designation für Duchenne-Muskeldystrophie**

8. September 2016 / Seite 3 von 3

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.

#