

## **Santhera beginnt Phase-III-Studie (SIDEROS) mit Raxone bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie und gleichzeitiger Glucocorticoid-Behandlung**

Liestal, Schweiz, 28. September 2016 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass der erste Patient am University of Kansas Medical Center (KUMC), Department of Neurology, Kansas (USA), in Santheras randomisierte, doppelblinde, Plazebo-kontrollierte Phase-III-Studie (SIDEROS) rekrutiert wurde. Die Studie untersucht die Wirksamkeit von Raxone zur Verlangsamung des Verlustes der Atmungsfunktion bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD), die gleichzeitig mit Glucocorticoiden behandelt werden.

„Die Wirksamkeit von Raxone zum Erhalt der Atmungsfunktion bei DMD-Patienten mit und ohne Glucocorticoid-Begleittherapie konnten wir bereits in der Phase-II-Studie DELPHI beobachten“, erläuterte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. „Die erfolgreiche Phase-III-Studie DELOS, welche bei Patienten ohne Glucocorticoid-Begleittherapie durchgeführt wurde, hat die klinisch relevante und statistisch signifikante Wirkung der Therapie mit Raxone bestätigt. Im Fokus der nun anlauenden SIDEROS-Studie stehen Patienten, welche trotz fortlaufender Behandlung mit Glucocorticoiden eine Abnahme der Atmungsfunktion erleiden. Wenn erfolgreich, wird die Studie die positive Wirkung von Raxone auch bei Patienten belegen, die eine Abnahme der Atmungsfunktion erleiden, unabhängig davon, ob sie mit Glucocorticoiden behandelt werden. Das starke Interesse der Studienleiter und Patientenorganisationen sollte es uns erlauben, Patienten für die Studie rasch zu rekrutieren.“

„Diese Phase-III-Studie ist hoffentlich der Abschluss der Entwicklung von Raxone für DMD“, sagte **Gunnar Buyse**, MD, PhD, Principal Investigator von SIDEROS und Studienleiter für Europa (Child Neurology, University Hospitals Leuven). „Nach dem Phase-II-Programm und der erfolgreichen Phase-III-Studie DELOS bin ich dankbar, dass Santhera das volle therapeutische Potential von Raxone für Patienten mit DMD untersucht.“

„Der Erhalt der Atmungsfunktion bei DMD-Patienten ist mittlerweile ein bedeutendes Therapieziel bei DMD, insbesondere bei Patienten, die die Gehfähigkeit verloren haben“, ergänzte **Oscar Henry Mayer**, MD, Studienleiter für USA (Children’s Hospital of Philadelphia, Division of Pulmonary Medicine, Colket Translational Research Center). „Eine Studie von Parent Project Muscular Dystrophy mit Patienten und Betreuungspersonen bestätigte auf eindruckliche Weise, dass Betroffene mit DMD grossen Wert legen auf Behandlungsmöglichkeiten für pulmonale Komplikationen.“

## **Santhera beginnt Phase-III-Studie (SIDEROS) mit Raxone® bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie und gleichzeitiger Glucocorticoid-Behandlung**

28. September 2016 / Seite 2 von 3

### **Über die SIDEROS-Studie**

SIDEROS ist eine Phase-III, doppelblinde, randomisierte, Plazebo-kontrollierte Studie mit Raxone bei rund 260 DMD-Patienten, welche gleichzeitig mit Glucocorticoiden behandelt werden. Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion unter stabiler Behandlung mit Glucocorticoiden können, unabhängig von der zugrundeliegenden Dystrophin-Mutation oder der Gehfähigkeit, in die Studie aufgenommen werden. Die Studienteilnehmer erhalten entweder Raxone (900 mg/Tag; Einnahme von zwei Tabletten drei Mal täglich mit den Mahlzeiten) oder Plazebo während 78 Wochen (18 Monaten). Der primäre Endpunkt der Studie ist die Veränderung der forcierten Vitalkapazität (Forced Vital Capacity % predicted, FVC%p) vom Ausgangswert bis Woche 78. Sekundäre Endpunkte sind unter anderem Veränderungen der maximalen expiratorischen Atemflussrate (Peak Expiratory Flow % predicted, PEF%p), die Dauer bis zur erstmaligen 10-prozentigen Abnahme der FVC und die Veränderung des inspiratorischen Reservevolumens vom Ausgangswert. Patienten, welche die Studie zu Ende führen, können an einer offenen Anschluss-Studie teilnehmen, bei der alle Patienten Raxone erhalten. Die Studie wird in ca. 50 Zentren in den USA und Europa durchgeführt. Patienten, die an der Studie teilnehmen möchten, werden gebeten, ihren Facharzt für neuromuskuläre Erkrankungen zu kontaktieren. Weitere Informationen zur Studie sind verfügbar unter [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov).

### **Über Raxone® (Idebenone) bei Duchenne-Muskeldystrophie und Regulatorischer Status**

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.

DELOS war eine Phase-III, doppelblinde, Plazebo-kontrollierte Studie mit 64 Patienten ohne Glucocorticoid-Begleittherapie, welche entweder Raxone (900 mg/Tag) oder entsprechendes Plazebo erhielten. Die Studie erreichte den primären Endpunkt und zeigte, dass Raxone den Verlust der Atmungsfunktion verzögern und das Auftreten bronchopulmonaler Komplikationen verringern kann. Die positiven Resultate der Phase-III-DELOS-Studie wurden veröffentlicht von Buyse et al., *The Lancet* 2015, 385:1748-1757; McDonald et al., *Neuromuscular Disorders* 2016, 26: 473–480 und Buyse et al., *Pediatric Pulmonology* 2016: <http://dx.doi.org/10.1002/ppul.23547>.

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.

*Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.*

**Santhera beginnt Phase-III-Studie (SIDEROS) mit Raxone® bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie und gleichzeitiger Glucocorticoid-Behandlung**

28. September 2016 / Seite 3 von 3

**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. Das erste Produkt von Santhera, 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](http://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](mailto:thomas.meier@santhera.com)

Christoph Rentsch, Chief Financial Officer  
Telefon +41 61 906 89 65  
[christoph.rentsch@santhera.com](mailto:christoph.rentsch@santhera.com)

**Medienkontakt**

Daniel Piller, Head Communications  
Telefon +41 61 906 89 26  
[daniel.piller@santhera.com](mailto: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.

###