

## **Scottish Medicines Consortium genehmigt Santheras Raxone® (Idebenon) zur eingeschränkten Verwendung bei Patienten mit LHON durch NHS Scotland**

**Liestal, Schweiz, 9. Mai 2017 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass das Scottish Medicines Consortium Raxone® (Idebenon) zur eingeschränkten Verwendung bei Patienten mit LHON mit Wirkung zum 8. Mai 2017 zugelassen hat.**

Patienten mit Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON), einer sehr seltenen, vererbten Ursache für Blindheit, könnten auf Basis der Empfehlung des Scottish Medicines Consortium (SMC) im Rahmen des Verfahrens für ultra-seltene Krankheiten von der bisher einzigen zugelassenen Behandlung profitieren. Das SMC akzeptierte Raxone® (Idebenon) für die eingeschränkte Verwendung durch NHS Scotland bei der Behandlung von Sehbehinderungen bei jugendlichen und erwachsenen Patienten mit LHON, die noch nicht blind sind (d.h. ohne Erfüllung der britischen Kriterien, um als Sehbehinderte registriert zu werden). Raxone wurde nach der Beurteilung unter dem SMC Patient and Clinician Engagement (PACE)-Prozess akzeptiert, der Anwendung findet für Medikamente, die am Lebensende und für sehr seltene Erkrankungen verwendet werden. Schottland ist der erste Landesteil in Grossbritannien, der Raxone für die Behandlung von LHON zur Verfügung stellt. Die SMC-Empfehlung berücksichtigt die Vorteile eines Patientenzugangs (Patient Access Scheme, PAS), der eine Verbesserung der Kosteneffizienz von Raxone mit sich bringt.

LHON ist eine schwere Erkrankung, die vor allem bei jungen Männern in den späten Jugendjahren bzw. im frühen Erwachsenenalter Blindheit verursacht. Die Patienten verlieren plötzlich die zentrale Sehschärfe und sind nicht mehr in der Lage, Details zu erkennen, Gedrucktes zu lesen oder Gesichter zu erkennen. Innerhalb von 12 Monaten ab Krankheitsbeginn werden etwa 80% der unbehandelten Patienten als offiziell blind eingestuft. Diese extreme Behinderung isoliert junge Erwachsene und beeinträchtigt ihre Ausbildung, Karrieremöglichkeiten und Lebensqualität. **Russell Wheeler**, Trustee der britischen LHON-Gesellschaft, sagte: „Obschon LHON schon seit fast 150 Jahren bekannt ist, hat der bis heute andauernde Mangel an einer genehmigten Behandlung dazu geführt, dass sich viele Patienten hoffnungslos und vom Gesundheitsdienst verlassen fühlen. Wir begrüssen den Entscheid des SMC, den das Gremium pragmatisch und nach einem strengen und transparenten Prozess traf. Die Verfügbarkeit von Raxone für betroffene Familien in Schottland ist ein wichtiger Schritt, um eine abwendbare Erblindung zu verhindern und wir hoffen auf eine baldige Verfügbarkeit auch in anderen Teilen Grossbritanniens.“

Die Behandlung mit Raxone steht nun LHON-Patienten unter verschiedenen Erstattungsmodellen in mehreren europäischen Ländern zur Verfügung. **Giovanni Stropoli**, EVP, Chief Commercial Officer Europe & ROW, kommentierte: „Wir bedanken uns beim SMC für seine objektive und gründliche Beurteilung von Raxone. Wir arbeiten weiterhin mit den Gesundheitsdiensten in anderen Teilen Grossbritanniens zusammen und hoffen, dass nach dieser positiven Empfehlung für NHS Scotland die Verfügbarkeit auch für andere LHON-Patienten in ganz Grossbritannien ermöglicht wird.“

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

**Scottish Medicines Consortium genehmigt Santheras Raxone® (Idebenon) zur eingeschränkten Verwendung bei Patienten mit LHON durch NHS Scotland**

9. Mai 2017 / Seite 2 von 3

Die vollständige SMC-Empfehlung kann unter dem Link <http://www.scottishmedicines.org.uk/SMCAdvice/Advice/122617idebenoneRaxone/idebenoneRaxone> und die Zusammenfassung der Produktmerkmale (Summary of Product Characteristics) unter <http://www.medicines.org.uk/emc/medicine/32655> eingesehen werden.

**Über Leber hereditäre Optikusneuropathie und den therapeutischen Nutzen von Raxone**

Leber hereditäre Optikusneuropathie (LHON) ist eine genetisch vererbte Augenerkrankung, die zur Erblindung führt. Die Krankheit betrifft primär junge, ansonsten gesunde, männliche Erwachsene, welche einen schnell fortschreitenden, schmerzfreien Verlust der zentralen Sehschärfe erleiden und innert weniger Monate nach Auftreten der Symptome erblinden. Etwa 95% der Patienten weisen eine von drei möglichen Punktmutationen im mitochondrialen Gencode auf. Diese Mutationen bedingen eine Störung im Komplex I der mitochondrialen Atmungskette. Dadurch wird die zelluläre Energieproduktion (ATP) reduziert und gleichzeitig der oxidative Stress erhöht, was zur Fehlfunktion der retinalen Ganglionzellen im Auge und damit zu einem rasch fortschreitenden Sehverlust und zur Erblindung führt.

Raxone (idebenone), ein synthetisches Benzoquinon und Kofaktor für das zelluläre Enzym NAD(P)H:quinone oxidoreductase (NQO1), umgeht die Störung im Komplex I, vermindert den oxidativen Stress, erhöht die Energieproduktion in den retinalen Ganglionzellen und fördert die Wiederherstellung des Sehvermögens der Patienten.

Raxone ist ein oral verabreichtes Medikament in einer zugelassenen Tagesdosis von 900 mg (Einnahme von zwei Tabletten dreimal täglich mit dem Essen) zur Behandlung von Sehbeeinträchtigungen bei jugendlichen und erwachsenen Patienten mit LHON. Die Behandlung sollte von einem Arzt mit Erfahrung bei LHON initiiert und überwacht werden. Die Wirksamkeitsdaten stützen sich auf Santheras randomisierte, Placebo-kontrollierte RHODOS Studie und das Expanded Access Programm und haben insgesamt gezeigt, dass der Sehverlust bei mit Raxone behandelten Patienten gemildert oder rückgängig gemacht werden kann.

**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® (Idebenon), 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 und der Schweiz 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 Muskeldystrophie (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.*

**Scottish Medicines Consortium genehmigt Santheras Raxone® (Idebenon) zur eingeschränkten Verwendung bei Patienten mit LHON durch NHS Scotland**

9. Mai 2017 / Seite 3 von 3

**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)

Sue Schneidhorst, Head Group Communications  
Telefon +41 61 906 89 26  
[sue.schneidhorst@santhera.com](mailto:sue.schneidhorst@santhera.com)

**Medienkontakt** (deutschsprachige Länder)

Eva Kalias, Vio Consult  
Telefon +41 78 671 98 86  
[kalias@vioconsult.com](mailto:kalias@vioconsult.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 Ankündigung kann Projektionen und andere "in die Zukunft gerichtete" Aussagen, Erwartungen oder Schätzungen enthalten. Solche Aussagen spiegeln die gegenwärtigen Ansichten von Santhera über zukünftige oder ungewisse Ereignisse, Errungenschaften oder Leistungen wider. Es kann keine Zusicherung gegeben werden, dass solche Ereignisse, Errungenschaften oder Leistungen eintreten oder eingetreten sind, da projizierte oder geschätzte und tatsächliche Ereignisse und Ergebnisse wesentlich von diesen Aussagen abweichen können. Die Leser sollten sich daher nicht auf diese Aussagen verlassen. Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung zur Aktualisierung dieser Aussagen ab.

###