

Erste Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) in Grossbritannien in das Early Access to Medicines Scheme für Santheras Raxone® aufgenommen

Liestal, Schweiz, 11. September 2017 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt Aufnahme von ersten DMD Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion, ohne Glukokortikoid-Begleittherapie, in das britische Early Access to Medicines Scheme (EAMS) für Raxone® bekannt.

Im Juni erhielt Raxone® (Idebenon) im Rahmen des Early Access to Medicines Scheme (EAMS) eine positive wissenschaftliche Beurteilung von der britischen Arzneimittelbehörde (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency, MHRA) – als erstes zugelassenes Medikament unter EAMS für Patienten mit DMD. Der MHRA-Entscheid erlaubt Patienten mit DMD, die den unter dem Programm definierten Kriterien entsprechen, Zugang zu Raxone, einem Entwicklungspräparat, dessen Marktzulassung für DMD gegenwärtig durch die Europäische Arzneimittelbehörde (European Medicines Agency, EMA) geprüft wird. Der Einschluss von Patienten in das EAMS ist damit die erste dokumentierte Anwendung von Raxone ausserhalb einer klinischen Studie für Patienten mit DMD.

“Ich freue mich in der Lage zu sein, Raxone an mehrere meiner Patienten mit Atmungsverlust verabreichen zu können, für sie ist sonst keine Behandlungsalternative verfügbar”, sagte **Dr. Dipansu Ghosh**, Pneumologe an einem DMD Fachzentrum in Leeds.

Bis zum heutigen Zeitpunkt wurden 15 DMD Fachzentren in Grossbritannien gemäss den Bedingungen des EAMS ausgebildet. Weitere Standorte haben Interesse bekundet und unterlaufen derzeit den lokalen Genehmigungsprozess.

“Action Duchenne ist ermutigt über den positiven EAMS Entscheid im Frühsommer. Vor allem für die jungen Leute, die mit Duchenne leben und deren Atmung sich verschlechtert”, sagte **Janet Bloor**, Chair of Trustees bei Action Duchenne. “Ich freue mich, dass die Atmungsfunktion bei den Zulassungsbehörden nunmehr Beachtung findet. Dies wird hoffentlich den Weg für weitere mögliche Behandlungen ebnen, wovon eine grössere Bandbreite von DMD Patienten profitieren kann.”

Wie im öffentlichen Beurteilungsbericht¹ dargelegt, wird Raxone im Rahmen des EAMS eingesetzt, um den Atmungsfunktionsverlust bei DMD-Patienten die mindestens 10 Jahre alt sind und gleichzeitig keine Glukokortikoide einnehmen, zu verlangsamen. Die Abnahme der Atmungsfunktion muss vor Beginn der Therapie durch wiederholte Messung nachgewiesen sein. Raxone kann bei Patienten angewendet werden, die zuvor mit Glukokortikoiden behandelt wurden, bei Patienten die eine Glukokortikoid Behandlung nicht vertragen oder diese nicht angezeigt ist.

**Erste Patienten mit DMD in Grossbritannien in das Early Access
to Medicines Scheme für Santheras Raxone® aufgenommen**

11. September 2017 / Seite 2 von 3

Über das UK Early Access to Medicines Scheme (EAMS)

Das von der Industrie unterstützte EAMS in Grossbritannien soll Patienten mit lebensbedrohlichen oder zu schwerer Beeinträchtigung führenden Erkrankungen, für die es keine oder keine zufriedenstellenden Behandlungsoptionen gibt, den Zugang zu noch nicht zugelassenen Arzneimitteln ermöglichen. Im Rahmen des EAMS begutachtet die MHRA Nutzen und Risiken eines Arzneimittels in einer wissenschaftlichen Beurteilung (Scientific Opinion) basierend auf den bei der EAMS-Einreichung verfügbaren Daten. Die Beurteilung ist für ein Jahr gültig und kann erneuert werden. Das EAMS ist freiwillig und die Beurteilung seitens der MHRA ist kein Ersatz für das normale Zulassungsverfahren für Medikamente.

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, Liechtenstein und Israel zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) zugelassen. Für Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion und ohne Glukokortikoid-Begleittherapie 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 sind verfügbar unter www.santhera.com.

Raxone® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:

Sue Schneidhorst, Head Group Communications

Europa: +41 61 906 89 26

USA: +1 646 586 2113

sue.schneidhorst@santhera.com

Investoren:

Christoph Rentsch, Chief Financial Officer

Europa: +41 61 906 89 65

christoph.rentsch@santhera.com

Hans Vitzthum, LifeSci Advisors

USA: +1 212 915 2568

hans@lifesciadvisors.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 Publikation kann bestimmte zukunftsgerichtete Aussagen über das Unternehmen und seine Geschäftsaktivitäten enthalten. Solche Aussagen beinhalten bestimmte Risiken, Unsicherheiten und andere Faktoren, die dazu führen können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die finanzielle Lage, der Leistungsausweis oder die Zielerreichung des Unternehmens wesentlich von den in diesen Aussagen ausgedrückten oder implizierten

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

**Erste Patienten mit DMD in Grossbritannien in das Early Access
to Medicines Scheme für Santheras Raxone® aufgenommen**

11. September 2017 / Seite 3 von 3

Erwartungen abweichen. Die Leser sollten sich daher nicht in unangemessener Weise auf diese Aussagen verlassen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit einer Vertrags- oder Investitionsentscheidung. Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung zur Aktualisierung dieser Aussagen ab.

Referenz

¹Öffentlicher EAMS Beurteilungsbericht verfügbar unter: <https://www.gov.uk/government/publications/early-access-to-medicines-scheme-eams-scientific-opinion-raxone-to-treat-the-decline-of-respiratory-function-in-patients-with-duchenne-muscular-dys>

###