

## **Santhera präsentiert Daten und veranstaltet Symposium über Atmungsfunktionsverlust bei Duchenne-Muskeldystrophie am World Muscle Society Kongress**

**Liestal, Schweiz, 3. Oktober 2017 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt die Präsentation von weiteren Daten aus der positiven Phase-III-DELOS-Studie in Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) am 22. Internationalen Kongress der World Muscle Society (WMS) in Saint Malo, Frankreich, bekannt.**

„Wir freuen uns über die Möglichkeit, am diesjährigen WMS-Kongress weitere Ergebnisse unserer Forschung vorzutragen sowie die Diskussion zum Thema Atmungsfunktionsverlust bei DMD-Patienten und neue Behandlungsstrategien zu ermöglichen“, sagte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. „Wir bestätigen gleichzeitig, dass wir, wie angekündigt, gegen die negative Beurteilung unseres Zulassungsantrags für Raxone® bei DMD Einspruch eingelegt und eine erneute Prüfung durch das CHMP beantragt haben. Das Verfahren wird im Q1 2018 abgeschlossen. Wir sind überzeugt, dass Raxone bei jugendlichen Patienten ohne Glukokortikoid-Therapie – einer Patientenpopulation mit hohem medizinischen Bedarf – therapeutischen Nutzen beim Erhalt der Atmungsfunktion zeigt. Daher werden wir weiter eng mit der Patientengemeinschaft und der Zulassungsbehörde zusammenarbeiten, um Raxone den Patienten so schnell als möglich zur Verfügung zu stellen.“

Folgende Poster werden während der ganzen Dauer des Internationalen Kongresses der World Muscle Society vom 3. – 7. Oktober 2017 im Palais du Grand Large in Saint Malo, Frankreich, gezeigt:

- *Consistency of efficacy of idebenone in respiratory decline in Duchenne muscular dystrophy (DMD): Comparison of analysis methods* (Poster P.408)
- *Meta-analysis of two clinical trials with idebenone in patients with Duchenne muscular dystrophy (DMD): Impact on respiratory decline* (Poster P.409)
- *Impact of idebenone on pulmonary morbidity, including bronchopulmonary adverse events, in Duchenne muscular dystrophy (DMD)* (Poster P.410)

Am Donnerstag, 5. Oktober (14:00-15:30 Uhr) wird Santhera zudem ein Symposium mit dem Titel *Respiratory Function Decline in Duchenne Muscular Dystrophy (DMD) – New insights and evolving treatment strategies* und folgendem Expertengremium veranstalten:

- **Rosaline Quinlivan**, MD, Consultant, MCR Centre for Neuromuscular Disease Institute of Neurology at National Hospital, London and Consultant, Dubowitz Neuromuscular Centre, Great Ormond Street Hospital, London, UK
- **Craig McDonald**, MD, Professor and Chair, Department of Physical Medicine & Rehabilitation and Director of Neuromuscular Disease Clinics, UC Davis Health, USA

**Santhera präsentiert Daten und veranstaltet Symposium über Atmungsfunktionsverlust bei Duchenne-Muskeldystrophie am World Muscle Society Kongress**

3. Oktober 2017 / Seite 2 von 3

- **Oscar Henry Mayer**, MD, Associate Professor of Clinical Pediatrics, Perelman School of Medicine at the University of Pennsylvania, Division of Pulmonary Medicine Medical and Director of Pulmonary Function Testing Laboratory, The Children's Hospital of Philadelphia, USA
- **Gunnar Buyse**, MD, PhD, Pediatric Neurologist, University Hospital Leuven, and Full Professor of Medicine, University of Leuven, Belgium

**Über Duchenne-Muskeldystrophie**

DMD ist eine der am weitesten verbreiteten und schwerwiegendsten Formen von rasch fortschreitendem Muskelschwund. DMD ist eine genetische, degenerative Erkrankung, die fast ausschliesslich Knaben betrifft und weltweit mit einer Inzidenz von bis zu 1 in 3'500 männlichen Lebendgeburten auftritt.

**Über Idebenon bei Duchenne-Muskeldystrophie**

Charakteristisch für DMD 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.

Idebenon 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 über 52 Wochen mit 64 Patienten ohne Glukokortikoid-Begleittherapie, welche entweder Idebenon (900 mg/Tag) oder entsprechendes Plazebo erhielten. Die positiven Resultate der Phase-III-DELOS-Studie wurden in mehreren Fachartikeln veröffentlicht: Buyse et al., *The Lancet* 2015, 385:1748-1757; McDonald et al., *Neuromuscular Disorders* 2016, 26: 473-480; Buyse et al., *Pediatric Pulmonology* 2017, 52:580-515 und Mayer et al., *Journal of Neuromuscular Diseases* 2017, 4: 189-198.

**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](http://www.santhera.com).

*Raxone® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.*

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

**Santhera präsentiert Daten und veranstaltet Symposium über Atmungsfunktionsverlust  
bei Duchenne-Muskeldystrophie am World Muscle Society Kongress**

3. Oktober 2017 / Seite 3 von 3

**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](mailto:sue.schneidhorst@santhera.com)

**Investoren:**

Christoph Rentsch, Chief Financial Officer

Europa: +41 61 906 89 65

[christoph.rentsch@santhera.com](mailto:christoph.rentsch@santhera.com)

Hans Vitzthum, LifeSci Advisors

USA: +1 212 915 2568

[hans@lifesciadvisors.com](mailto: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 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.

###