

Erste internationale Konsensuserklärung zum klinischen und therapeutischen Management von LHON im *Journal of Neuro-Ophthalmology* veröffentlicht

Liestal, Schweiz, 23. Oktober 2017 – Santhera Pharmaceuticals (SIX:SANN) gibt die Veröffentlichung des ersten *International Consensus Statement on the Clinical and Therapeutic Management of Leber's Hereditary Optic Neuropathy (LHON)* im *Journal of Neuro-Ophthalmology* bekannt.

Die Konsensuserklärung widerspiegelt die unabhängigen Ansichten einer Gruppe von weltweit führenden Experten über die Behandlung von Patienten mit LHON. Sie soll Leitlinien für das klinische und therapeutische Management von LHON auf der Grundlage derzeit verfügbarer Erkenntnisse vorgeben. Neben anderen klinischen Aspekten konzentriert sich die Konsensuserklärung auf die Verwendung von Raxone® (Idebenon), der ersten und einzigen Therapie, die von der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) im Jahr 2015 zur Behandlung dieser erblichen Form des Sehverlustes zugelassen wurde. Die Autoren geben Empfehlungen hinsichtlich der optimalen Zielpopulation, dem Timing, der Dosis und der Häufigkeit der Verabreichung von Idebenon sowie zu anderen Aspekten der Krankheit, für die bislang keine akzeptierten Definitionen und allgemeinen Richtlinien für die klinische Behandlung von Patienten mit LHON vorlagen.

"Die Konsensuserklärung der Experten bietet eine Reihe dringend benötigter Empfehlungen für Ärzte, die LHON-Patienten behandeln, und die letztendlich zu einer verbesserten Patientenversorgung führen", sagte **Francesco Bandello**, MD, Professor am Scientific Institute San Raffaele der Università Vita Salute in Mailand und ehemaliger Präsident der European Society of Retina Specialists (EURETINA). "Im März 2016, anlässlich einer vom Scientific Institute San Raffaele unterstützten Konferenz, kamen sechzehn internationale Experten zusammen, um diese Empfehlungen herauszugeben, damit behandelnde Ärzte, medizinisches Fachpersonal und Gesundheitsorganisationen das Management von Patienten mit LHON weiter verbessern können."

Thomas Meier, PhD, CEO von Santhera, erläuterte: "Dies ist das erste Mal, dass ein Konsensus für das Management von LHON entwickelt wurde, und dieses Paper wird das Verständnis für die Krankheit und Raxone – die erste zugelassene Behandlung für diese erbliche Form des Sehverlustes – deutlich fördern. Wir hoffen, dass uns diese Publikation den Weg ebnet für weitere Kooperationen mit Experten für Neuro-Ophthalmologie, um den Wissenstand und die klinischen Behandlungsergebnisse für diejenigen, die an dieser seltenen Krankheit leiden, weiter verbessern zu können."

Die Publikation steht Abonnenten des *Journal of Neuro-Ophthalmology* in elektronischer Form zur Verfügung. Das Abstract ist unter folgendem Link verfügbar: http://journals.lww.com/jneuro-ophthalmology/Abstract/publishahead/International_Consensus_Statement_on_the_Clinical.99345.aspx

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

Über Leber hereditäre Optikusneuropathie und den therapeutischen Nutzen von Raxone

Leber hereditäre Optikusneuropathie (LHON) ist eine genetisch vererbte Augenerkrankung, die zu schwerem Sehverlust und 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 (Idebenon), 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 in der Europäischen Union, Norwegen, Island, Liechtenstein und Israel zugelassenen Tagesdosis von 900 mg zur Behandlung von Sehbeeinträchtigungen bei jugendlichen und erwachsenen Patienten mit LHON.

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

**Internationale Konsensuserklärung zum klinischen und therapeutischen Management
von LHON im *Journal of Neuro-Ophthalmology* veröffentlicht**

23. Oktober 2017 / Seite 3 von 3

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.

###