

## Santhera erhält nach Einspruch negativen CHMP-Entscheid für die Zulassung von Raxone® bei Duchenne-Muskeldystrophie

Liestal, Schweiz, 26. Januar 2018 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) nach erfolgtem Einspruch an seinem Negativentscheid zum Typ-II-Erweiterungsantrag für Raxone® (Idebenon) bei Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) festhält.

Das CHMP gelangte zu dem Schluss, dass eine Zulassung für Raxone bei DMD, als Typ-II-Erweiterungsantrag zur bestehenden Marktzulassung, auf der Grundlage der derzeit vorliegenden Erkenntnisse zum jetzigen Zeitpunkt nicht erteilt werden kann. Obschon das positive Resultat der Phase-III-DELOS-Studie anerkannt wurde, hat das CHMP Santhera ermutigt, zusätzliche Daten vorzulegen um den Zusammenhang der beobachteten Behandlungseffekte auf die Atmungsfunktion mit dem Patientennutzen zu erhärten.

Die Abnahme der Atmungsfunktion ist eine der häufigsten Todesursachen bei Patienten mit DMD und es gibt derzeit keine zugelassene Behandlung. Santhera engagiert sich weiterhin dafür, den dringenden medizinischen Bedarf zu erfüllen und ist von den Behandlungsvorteilen von Raxone bei DMD überzeugt. Santhera beabsichtigt, weitere Daten zu erheben, um das klinische Datenpaket für Raxone im Hinblick auf eine erneute Einreichung eines Zulassungsantrags in Europa zu stärken.

Santhera wird weiterhin mit den Zulassungsbehörden zusammenarbeiten, um den Patienten diese Therapieoption so rasch als möglich zugänglich zu machen. Die vorgesehene Indikation für Raxone ist die Verlangsamung des Atmungsfunktionsverlusts bei DMD-Patienten ohne Glukokortikoid-Begleittherapie. Die Indikation würde Patienten einschliessen, bei denen die Behandlung mit Glukokortikoiden nicht länger verträglich oder nicht ratsam ist.

“Die Daten aus der Phase-III-DELOS-Studie zeigte statistisch signifikante und klinisch relevante Resultate, dass Raxone den Verlust der Atmungsfunktion verlangsamt und das Risiko von bronchopulmonalen Komplikationen und Krankenhausaufenthalten bei Patienten mit DMD, die keine Glukokortikoide verwenden, verringert. Das CHMP hat den dringenden medizinischen Bedarf dieser Patientengruppe anerkannt“, sagte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. “Wir sind der DMD-Gemeinschaft, den Patienten, ihren Betreuern und ihren behandelnden Ärzten sehr dankbar für ihre unermüdliche Unterstützung. Santhera bekennt sich weiterhin vollumfänglich dazu, das Potenzial von Raxone bei der Behandlung von DMD-Patienten durch klinische Studien und Massnahmen, die das Bewusstsein für die Krankheit fördern, zu realisieren. Dies geschieht in enger Zusammenarbeit mit medizinischen Experten und den Patientenorganisationen.“

**Jon Hastie**, PhD und CEO von DMD Pathfinders, einer Organisation von Erwachsenen mit Duchenne, die anderen mit dieser Krankheit lebenden Menschen Unterstützung und Beratung bietet, kommentierte die heutige Nachricht: “Die Nachricht über den negativen Entscheid ist enttäuschend für jeden Einzelnen mit DMD, vor allem für Jugendliche und Erwachsene mit abnehmender Atmungsfunktion. Die Notwendigkeit für unterstützende Beatmung und das Risiko von Atemwegsinfektionen und die oftmals daraus resultierende Notaufnahme im Krankenhaus weckt Ängste und ist eine erhebliche Einschränkung in unseren Leben. –

Es besteht ein dringender medizinischer Bedarf, eine Behandlung zu finden, die bei Patienten, die keine Steroide nehmen, die Abnahme der Atmungsfunktion verlangsamt; für diese Patienten gibt es keine andere Behandlungsmöglichkeit. Ich bin froh, dass Santhera sich weiter bemüht, den Zugang zu Raxone für die Patienten zu ermöglichen.“

“In ganz Europa ist es etwa der Hälfte der Patienten mit DMD im Alter von 10-20 Jahren nicht möglich Steroide zu nehmen, oder sie mussten die Einnahme aufgrund der bekannten Nebenwirkungen stoppen. Diese Patienten haben zurzeit keine andere Behandlungsmöglichkeit für die fortschreitende Abnahme der Atmungsfunktion. Wir werden Santhera weiter unterstützen, zusätzliches Beweismaterial vorzulegen, damit diese Medizin für die ältere Gruppe von DMD-Patienten erlaubt wird“, sagte Professor **Thomas Voit**, MD vom Great Ormond Street Hospital und University College London.

Der Antrag auf Marktzulassung für Raxone bei DMD wurde als Typ-II-Erweiterungsantrag zur bestehenden Marktzulassung für Leber hereditäre Optikusneuropathie (LHON) eingereicht und stützt sich auf Daten der Phase-II-Studie (DELPHI) und der erfolgreichen Phase-III-Studie (DELOS), letztere bei Patienten ohne Glukokortikoid-Begleittherapie. Diese Daten zeigten einen statistisch signifikanten und klinisch relevanten Nutzen von Raxone bei der Erhaltung der Atmungsfunktion im Vergleich zu Placebo. Die Daten der Phase-III-DELOS-Studie wurden in mehreren Peer-Review-Fachzeitschriften 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; Mayer et al., Journal of Neuromuscular Diseases 2017, 4:189-198; Meier et al., Neuromuscular Disorders 2017, 27:307-314.

Angesichts des CHMP-Entscheids hat Santhera den entsprechenden Zulassungsantrag in der Schweiz, mit der Absicht einer erneuten Einreichung zu einem späteren Zeitpunkt, zurückgezogen.

---

#### **Telefonkonferenz:**

In der heute, 26. Januar 2018, um 14:00 Uhr CET stattfindenden Telefonkonferenz für Investoren wird Thomas Meier, PhD, CEO von Santhera, den CHMP Entscheid erläutern. Teilnehmende sind eingeladen, eine der folgenden Telefonnummern ca. 10 Minuten vor Konferenzbeginn zu wählen. Konferenzsprache ist Englisch.

+41 (0)58 310 50 00 (Europa)

+44 (0)207 107 0613 (UK)

+1 (1)631 570 5613 (USA)

---

#### **Über Duchenne-Muskeldystrophie**

DMD ist eine der am weitesten verbreiteten und schwerwiegendsten Formen von fortschreitendem Muskelschwund und tritt bereit im frühen Kindesalter auf. 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 Raxone® (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, Placebo-kontrollierte Studie über 52 Wochen mit 64 Patienten ohne Glukokortikoid-Begleittherapie, welche entweder Idebenon (900 mg/Tag) oder entsprechendes Placebo erhielten. Die Studie erreichte den primären Endpunkt, eine Veränderung der maximalen expiratorischen Atemflussrate (Peak Expiratory Flow, PEF) und zeigte, dass Idebenon den Verlust der Atmungsfunktion verzögern 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, Liechtenstein und Israel zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) zugelassen. Santhera führt derzeit die Phase-III-SIDEROS-Studie mit Raxone® bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) und abnehmender Atmungsfunktion durch. 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.*

### **Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:**

[public-relations@santhera.com](mailto:public-relations@santhera.com) oder

Eva Kalias, Vio Consult

Tel.: +41 78 671 98 86

[kalias@vioconsult.com](mailto:kalias@vioconsult.com)

### **Investoren:**

[investor-relations@santhera.com](mailto:investor-relations@santhera.com) oder

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.

###