

Santhera lanciert Expanded Access Program in den USA mit Idebenon für Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)

Liestal, Schweiz, 6. Februar 2018 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt den Beginn eines erweiterten Zugangsprogramms (Expanded Access Program, EAP) in den USA – genannt **BreatheDMD** – mit Idebenon für Patienten mit DMD bekannt.

Im Rahmen des BreatheDMD-Programms können aufnahmeberechtigte DMD-Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion und die mindestens 10 Jahre alt sind, über ein USA-weites Netz von Forschungszentren kostenlos Zugang zu Santheras Prüfmedikament Idebenon erhalten.

EAPs wie **BreatheDMD** sind von der US-amerikanischen Food and Drug Administration (FDA) genehmigt. Solche Programme ermöglichen aufnahmeberechtigten Patienten mit schweren oder lebensbedrohlichen Erkrankungen den Zugang zu einem Prüfmedikament noch vor dessen Zulassung, sofern keine geeignete Therapiealternative zu Verfügung steht.

Einzelheiten zu diesem EAP, einschliesslich der Teilnahmevoraussetzungen, sind auf der Website www.breatheDMD.com verfügbar.

Idebenon ist ein Prüfmedikament, das zur Behandlung von DMD untersucht wird. Es ist derzeit von der US FDA noch nicht zugelassen und die Verträglichkeit und Wirksamkeit werden weiterhin in klinischen Studien evaluiert.

"Ich spreche Santhera meine Anerkennung aus für die Einführung des BreatheDMD-Programms, das aufnahmeberechtigten Patienten den Zugang zu Idebenon ermöglicht. Die abgeschlossene Phase-III-Studie (DELOS) zeigte, dass dieses Prüfmedikament den Atmungsfunktionsverlust verlangsamen kann. Wir brauchen dringend alternative Behandlungsmöglichkeiten für Patienten mit DMD, die auf die respiratorische Komponente der Krankheit abzielen", sagte **Oscar H. Mayer, MD**, ein auf die Behandlung von neuromuskulären Erkrankungen spezialisierter Kinder-Pneumologe.

"Mehrere Patientenorganisationen in den USA, darunter Parent Project Muscular Dystrophy (PPMD), die Jett Foundation, CureDuchenne und die Muscular Dystrophy Association (MDA), haben wiederholt darauf hingewiesen, dass Patienten Zugang zu neuen Behandlungsmethoden benötigen, vor allem ältere Patienten mit Atmungsfunktionsverlust, und dass diese Patienten nicht länger warten können. Santhera ist stolz darauf, dieses EAP auf den Weg zu bringen, welches aufnahmeberechtigten Patienten den Zugang zum Prüfmedikament Idebenon ermöglicht", sagte **Thomas Meier, PhD**, CEO von Santhera.

Das BreatheDMD-Programm folgt kurz nachdem Santhera die Aufklärungswebsite www.TakeABreathDMD.com lanciert hat, auf der in den USA wohnhafte Patienten und Familien praktische und detaillierte Informationen finden über den Erhalt der Atmungsfunktion bei Patienten und den Umgang mit Atmungskomplikationen, wie Husten.

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. Die mit zunehmendem Alter fortschreitende Schwäche der Atemmuskulatur betrifft primär die Atemhilfsmuskulatur und das Zwerchfell. Als Folge treten Atemwegserkrankungen, wiederkehrende pulmonale Infektionen aufgrund von ineffektivem Husten und Ansammlung von Atemwegssekreten und schliesslich Atmungsfunktionsverlust auf. Derzeit gibt es keine zugelassene Behandlung zur Verlangsamung des Atmungsfunktionsverlustes für Patienten mit DMD.

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, 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. 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.

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 Idebenon bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) mit abnehmender Atmungsfunktion und Glukokortikoid-Begleittherapie durch. In Zusammenarbeit mit dem US National Institute of Neurological Disorders and Stroke (NINDS) entwickelt Santhera Idebenon 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:

public-relations@santhera.com oder

Eva Kalias, Vio Consult

Tel.: +41 78 671 98 86

kalias@vioconsult.com

Investoren:

investor-relations@santhera.com oder

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 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.

###