

Santhera gibt erfolgreichen Abschluss der ersten klinischen Studie mit Omigapil bei Patienten mit kongenitaler Muskeldystrophie bekannt

Pratteln, Schweiz, 5. April 2018 - Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) berichtet über den erfolgreichen Abschluss der ersten klinischen Studie mit Omigapil bei Patienten mit zwei Formen der kongenitalen Muskeldystrophie (CMD), durchgeführt in den USA an den National Institutes of Health (NIH). Die Kohortenstudie (CALLISTO) mit ansteigenden Mehrfachdosierungen erreichte mit dem Nachweis eines günstigen pharmakokinetischen Profils von Omigapil das primäre Studienziel und zeigte, dass das Prüfmedikament bei Kindern und Jugendlichen mit CMD gut verträglich war. Nach weiterer Datenanalyse wird das Unternehmen die Ergebnisse mit klinischen Experten und regulatorischen Behörden erörtern, um eine Zulassungsstudie für Patienten mit CMD vorzubereiten.

Die monozentrische Studie zur Bestimmung des pharmakokinetischen Profils und zur Beurteilung der Verträglichkeit von Omigapil bei Kindern und Jugendlichen mit CMD wurde an den klinischen Zentren des NIH in Bethesda, Maryland (USA) durchgeführt, mit Carsten Bönnemann, MD, und A. Reghan Foley, MD, vom National Institute of Neurological Disorders and Stroke des NIH, als leitende Studienärzte. Ambulante und nicht mehr gehfähige Patienten im Alter von 5 bis 16 Jahren mit einer der beiden häufigsten CMD-Formen, bedingt durch einen Kollagen VI-Mangel (COL6-bedingte Dystrophie oder COL6-RDs) oder Laminin-alpha2-Mangel (LAMA2 bedingte Dystrophie oder LAMA-RD), waren zur Teilnahme an der Studie berechtigt. Insgesamt wurden 20 Patienten in diese Kohortenstudie mit ansteigenden Mehrfachdosierungen aufgenommen. Die Teilnehmenden wurden in eine von fünf Gruppen randomisiert und erhielten Omigapil als flüssige orale Formulierung in einer Einmal-Tagesdosis von 0.02 mg/kg bis 0.08 mg/kg Körpergewicht über einen Zeitraum von drei Monaten.

Die Studie erreichte das primäre Studienziel und zeigte, dass das pharmakokinetische Profil von Omigapil für die weitere Entwicklung bei Kindern und jugendlichen Patienten geeignet und in dieser fragilen Population von CMD-Patienten gut verträglich ist.

"Wir danken den mitwirkenden Patienten und ihren Familien für die Teilnahme an dieser ersten interventionellen Studie mit einem Prüfmedikament für CMD. Unser Dank geht auch an die klinischen Experten des NIH für ihr Engagement bei dieser Studie, die für diese Formen von CMD einen Meilenstein darstellt", sagte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. "Dies ist ein bedeutender Schritt zur Beurteilung des therapeutischen Potenzials von Omigapil für die LAMA2- und COL6-bedingten Formen von CMD, für die derzeit keine Behandlung verfügbar ist. Wir werden nun mit internationalen Experten zusammenarbeiten und uns mit regulatorischen Behörden abstimmen, um die klinische Entwicklung von Omigapil in einer Zulassungsstudie voranzutreiben."

"Diese Zusammenarbeit mit Santhera und der Patientengemeinschaft erlaubte uns erstmals einen Therapieansatz bei Kindern mit diesen häufigeren Formen von CMD zu testen, für die es derzeit keine anderen Behandlungsmöglichkeiten gibt", erläuterte **Carsten Bönnemann**. "Mit der Hilfe von Ken Cheung, PhD an der Columbia University, wurde bei dieser klinischen Studie ein innovatives Design angewendet, bei dem ein neuartiger adaptiver Dosisfindungsalgorithmus zum Einsatz kam. Nach einer vollständigen Analyse werden wir detaillierte Daten aus der CALLISTO-Studie an zukünftigen wissenschaftlichen Konferenzen und der Patientengemeinschaft präsentieren. Wir freuen uns auf die weitere Zusammenarbeit mit Santhera, allen Interessensgruppen und den Behörden, um schnellstmöglich Zulassungsstudien für dieses Prüfmedikament festzulegen."

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

"Cure CMD und die CMD-Gemeinschaft sind begeistert vom erfolgreichen Abschluss dieser allerersten interventionellen Studie bei kongenitaler Muskeldystrophie, durchgeführt in einer Partnerschaft zwischen dem NIH und Santhera Pharmaceuticals", ergänzte **Rachel Alvarez**, Director of Operations von Cure CMD, einer führenden Non-Profit-Organisation, die sich dafür einsetzt, Behandlungen zu finden und die CMD-Gemeinschaft zu unterstützen. "Für die betroffenen Patienten und ihre Familien war die Teilnahme an der CALLISTO-Studie eine erhebliche Belastung und wir sind sehr dankbar für ihre Bereitschaft, bis zum Studienende mitzuwirken."

Über Omigapil und die CALLISTO Studie

Omigapil ist ein Deprenylanalog mit anti-apoptotischer Wirkung. Santhera besitzt eine exklusive Lizenz von Novartis für Omigapil zur Entwicklung bei kongenitalen Muskeldystrophien (CMDs). Präklinische Studien in krankheitsrelevanten Modellen haben gezeigt, dass Omigapil den programmierten Zelltod (Apoptose) hemmt, Gewichtsverlust begrenzt und Skelettdeformationen verringert, bei gleichzeitiger Verbesserung der motorischen Aktivitäten und Lebenserwartung (Erb M et al., J Pharmacol Exp Ther 2009, 331:787-795).

Omigapil hat Orphan-Drug-Designation für CMD in den USA und der EU sowie den Fast-Track-Status von der US Food and Drug Administration (FDA).

Die Vorbereitung und Durchführung der Phase-I-Studie CALLISTO wurde finanziell unterstützt durch eine öffentlich-private Partnerschaft mit zwei Patientenorganisationen, der US-amerikanischen Cure CMD und der Schweizerischen Stiftung für die Erforschung von Muskelkrankheiten (FRSMM), EndoStem im Rahmen des 7. EU-Forschungsrahmenprogramms sowie Fördermitteln des NIH. Zusätzlich wurde die CALLISTO Studie mit Forschungsgeldern des FDA Office of Orphan Products Development (OOPD, Abteilung für die Entwicklung von Produkten für seltene Krankheiten) gefördert.

Über kongenitale Muskeldystrophie

Kongenitale Muskeldystrophien (CMDs) umfassen verschiedene erbliche neuromuskuläre Krankheiten, die von Geburt an zu Schwäche und muskulärer Hypotonie führen, deren Ursprung in durch Biopsien bestätigtem Muskelschwund liegt. Progressive Muskeler schlaffung, Gelenkkontrakturen und Atembeschwerden sind typisch für CMDs. LAMA2- und COL6-bedingte Dystrophien gehören zu den häufigsten Formen von CMD, für welche derzeit keine medikamentöse Behandlung zugelassen oder in fortgeschrittener klinischer Entwicklung ist.

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN), ein Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, ist auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für Orphan- und andere Erkrankungen mit hohem medizinischen Bedarf fokussiert. Das Produktportfolio umfasst Arzneimittel für neuro-ophthalmologische, neuromuskuläre und pulmonale Krankheiten, die entweder in der klinischen Entwicklung sind oder bereits die Marktzulassung erhalten haben. Das am weitesten fortgeschrittene Prüfmedikament, Idebenon, ist in der klinischen Phase III zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD). Santheras Raxone® (Idebenon) ist in der Europäischen Union, Norwegen, Island, Liechtenstein und Israel zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) zugelassen und wird derzeit in 20 Ländern vermarktet. Weitere Informationen 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, Head External Communications

Tel.: +41 78 671 98 86

eva.kalias@santhera.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.

###