

## **Santhera reicht Zulassungsantrag für Raxone® zur Behandlung von LHON in Südkorea ein**

Pratteln, Schweiz, 12. Juni 2018 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass die koreanische Arzneimittelbehörde (Ministry of Food and Drug Safety, MFDS) Santheras Zulassungsantrag (New Drug Application, NDA) für Raxone® (Idebenon) zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) zur Überprüfung angenommen hat. Raxone wurde in Südkorea für die Behandlung von LHON der Orphan-Drug-Status zuerkannt.

Raxone® (Idebenon) ist ein oral verabreichtes Medikament, das derzeit in der Europäischen Union, Norwegen, Island, Liechtenstein und Israel in einer Tagesdosis von 900 mg zur Behandlung von Sehstörungen bei jugendlichen und erwachsenen Patienten mit LHON zugelassen ist. Es ist das erste und einzige genehmigte Arzneimittel für diese seltene Erbkrankheit, die ohne Behandlung unweigerlich zu einem starken Verlust der Sehfähigkeit und zur Erblindung führt.

Der jetzt bei der MFDS eingereichte Zulassungsantrag basiert auf der europäischen Marktzulassung und Santhera erwartet den Entscheid seitens der südkoreanischen Arzneimittelbehörde in rund einem Jahr.

„Der Zulassungsantrag für Raxone zur Behandlung von Patienten mit LHON in Südkorea, einem der wichtigsten asiatischen Märkte, unterstreicht unsere geographische Expansion und unser Engagement, Patienten weltweit Zugang zu einer Behandlung zu ermöglichen und dem hohen medizinischen Bedarf bei dieser seltenen Krankheit zu entsprechen“, sagte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera.

Raxone wurde in Südkorea für die Behandlung von LHON der Orphan-Drug-Status zuerkannt, welcher eine Marktexklusivität von bis zu 10 Jahren ab dem Datum der Zulassung gewährt.

### **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. Vorliegende Daten zeigen, dass die Behandlung mit Raxone in bis zu 50% der Patienten vor dem Fortschreiten des Sehverlustes schützt oder eine klinisch relevante Wiederherstellung der Sehschärfe herbeiführt.

Raxone besitzt für die Behandlung von LHON den Orphan-Drug-Status in der EU, den USA, der Schweiz und Südkorea.

### **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 über 20 Ländern vermarktet. Weitere Informationen 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, Head External Communications

Tel.: +41 79 875 27 80

[eva.kalias@santhera.com](mailto:eva.kalias@santhera.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.

###