

Santhera erhält in der EU Empfehlung für die Orphan-Drug-Designation für POL6014 bei Mukoviszidose

Pratteln, Schweiz, 15. Oktober 2018 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass der Ausschuss für Arzneimittel für seltene Krankheiten (COMP) der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) eine positive Stellungnahme zur Orphan-Drug-Designation für POL6014 zur Behandlung von Mukoviszidose (CF) abgegeben hat. Von der seltenen Krankheit CF sind in der EU rund 35 000 Menschen betroffen.

„Der Erhalt der Orphan-Drug-Designation für POL6014 in der Europäischen Union ist ein wichtiger regulatorischer Meilenstein“, sagte **Kristina Sjöblom Nygren**, MD, Chief Medical Officer und Head of Development von Santhera. „Mit dieser positiven Stellungnahme anerkennt das COMP die Bedürfnisse von Patienten mit Mukoviszidose und den Bedarf nach einem neuartigen Behandlungsansatz mit POL6014, um diese Patienten zu behandeln.“

POL6014, ein von Polyphor lizenzierter neuartiger, hochwirksamer und selektiver Inhibitor der humanen neutrophilen Elastase (hNE), steht am Anfang der Phase I/II der klinischen Entwicklung zur Behandlung von CF.

Die positive Beurteilung von EMAs COMP wird nun an die Europäische Kommission (EC) weitergeleitet, die voraussichtlich innerhalb von 30 Tagen die Orphan-Drug-Designation erteilen wird. Der Status als Arzneimittel für seltene Krankheiten bietet Santhera regulatorische und finanzielle Anreize während der Entwicklung von POL6014 zur Behandlung von CF.

Über POL6014

POL6014 ist ein hochwirksamer und selektiver Inhibitor der humanen neutrophilen Elastase (hNE) und wurde nach Inhalation mit dem optimierten eFlow[®] Nebuliser System (PARI Pharma GmbH) in der Lunge in hoher Konzentration nachgewiesen. Eine Phase-1-Studie mit Verabreichung an gesunde Probanden sowie eine Phase-1-Studie zur Sicherheit und Verträglichkeit von ansteigenden Einzeldosierungen bei Mukoviszidose-Patienten wurden mit POL6014 erfolgreich abgeschlossen. Das Prüfmedikament war gut verträglich und zeigte Anzeichen einer starken Elastase-Hemmung, wie bereits zuvor in Tiermodellen. POL6014 könnte einen Therapieansatz bieten für eine Reihe von neutrophilen Lungenerkrankungen mit hohem medizinischem Bedarf wie Non-CF-Bronchiektasie (NCFB), Alpha-1-Antitrypsin-Mangel (AATD) oder primäre ziliäre Dyskinesie (PCD). POL6014 besitzt in der EU Orphan-Drug-Designation zur Behandlung von AATD und PCD.

Über Mukoviszidose

Mukoviszidose (zystische Fibrose, CF) ist eine seltene, erbliche, lebensbedrohliche und chronisch verlaufende Erkrankung, von der in den USA und Europa etwa 70'000 Patienten betroffen sind. Kennzeichnend für Mukoviszidose sind anhaltende Infektionen und chronische Entzündungen der Lunge, die im Laufe der Zeit zu einer Atmungsinsuffizienz führen. Von aktivierten oder nekrotischen Neutrophilen in der Lunge freigesetzte humane neutrophile Elastase (hNE) schädigt strukturelle, zelluläre

und lösliche Bestandteile der Lungenmikroumgebung. Hohe Konzentrationen von hNE spielen eine zentrale Rolle in der Pathophysiologie der Mukoviszidose und, wie Messungen von Lungenfunktionsparametern zeigen, korrelieren mit der Schwere der Erkrankung. Es ist zu erwarten, dass eine Hemmung von hNE die Schädigung des Lungengewebes stoppt oder verlangsamt und dazu beitragen kann, die Lebensqualität von Menschen mit Mukoviszidose zu verbessern.

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN), ein Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, ist auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für seltene 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. 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.

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 79 875 27 80
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.

###