

Santhera schliesst Patientenrekrutierung in die Phase-IV-Langzeitstudie mit Raxone® zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie ab

Pratteln, Schweiz, 12. März 2019 - Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt den Abschluss der Patientenrekrutierung in die laufende Phase-IV-Studie (LEROS) mit Raxone® (Idebenon) zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) bekannt. Ergebnisse der Studie mit einer 24-monatigen Behandlungsdauer, die in 31 Studienzentren in Europa und den USA durchgeführt wird, werden für 2021 erwartet.

LEROS ist eine offene Phase-IV-Studie zur weiteren Beurteilung der Wirksamkeit und Verträglichkeit von Raxone® bei Langzeitbehandlung von Patienten mit LHON im Vergleich zu einer externen Kontrollgruppe mit natürlichem Krankheitsverlauf (ClinicalTrials.gov Identifier: NCT02774005). An der Studie teilnahmeberechtigt waren Patienten, bei denen das Auftreten der ersten Symptome von Sehverlust höchstens fünf Jahre zurücklag. Bei Therapiebeginn wurden die aufgenommenen Patienten nach der Zeitdauer seit Einsetzen des Sehverlusts unterteilt, um den Einfluss der Krankheitsdauer auf die Behandlungswirksamkeit zu untersuchen.

Primäres Studienziel ist die Beurteilung der Wirksamkeit von Raxone bei der Verbesserung oder Stabilisierung der Sehschärfe bei Patienten mit einem Behandlungsbeginn innerhalb eines Jahres nach Einsetzen des Sehverlusts, im Vergleich zu einer externen Kontrollgruppe.

Im Anschluss an eine vorab geplante Neuberechnung der Stichprobengrösse ist die Rekrutierung jetzt mit 197 aufgenommenen Patienten abgeschlossen worden. Die Studienteilnehmer werden während 24 Monaten mit Raxone behandelt (150 mg Idebenon-Tabletten, tägliche Dosis von 900 mg). Santhera erwartet, die an 31 Studienstandorten in neun europäischen Ländern und den USA laufende LEROS-Studie im zweiten Quartal 2021 abzuschliessen.

Die LEROS-Studie baut auf Ergebnisse der doppelblinden, randomisierten, Placebo-kontrollierten RHODOS-Studie und Daten eines Expanded-Access-Programms, die klinisch bedeutende Wirksamkeit der Raxone-Behandlung für Patienten mit LHON nachwiesen^[1]. Der therapeutische Nutzen zeigte sich in einer klinisch relevanten Stabilisierung (CRS) oder einer klinisch relevanten Verbesserung (CRR) der Sehschärfe oder in beidem.^[2]

"Ich freue mich sehr, dass wir die Patientenaufnahme in diese Langzeitstudie mit Raxone bei der Behandlung von LHON jetzt abschliessen konnten", sagte **Kristina Sjöblom Nygren, MD, Chief Medical Officer and Head of Development von Santhera**. "Unser besonderer Dank geht an Studienteilnehmende und -mitarbeitende für ihre enorme Unterstützung bei der Weiterführung dieser wichtigen Studie, die für behandelnde Ärzte nützliche Erkenntnisse zur bestmöglichen Therapie ihrer LHON-Patienten mit Raxone liefern wird."

Im September 2015 erteilte die Europäische Kommission eine Marktzulassung in der gesamten Europäischen Union für Raxone zur Behandlung von Sehstörungen bei Erwachsenen und Jugendlichen mit LHON. Mit der Zulassung unter aussergewöhnlichen Umständen (sog. approval under exceptional circumstances) wurden mit der Europäischen Arzneimittelagentur mehrere spezifische Verpflichtungen – darunter die LEROS-Studie – vereinbart, um die Wirksamkeit und Verträglichkeit bei routinemässiger Anwendung und längerfristiger Behandlung weiter zu beurteilen.

Zusätzlich zur laufenden LEROS-Studie hat Santhera kürzlich ein Expanded-Access-Programm mit 111 mit Raxone behandelten Patienten sowie eine retrospektive Datenerhebung zum natürlichen Krankheitsverlauf mit 592 Patienten abgeschlossen. Derzeit führt Santhera eine multizentrische, prospektive, nicht-interventionelle Phase IV Studie (sog. post-authorization safety study, PASS) bei mit Raxone behandelten LHON-Patienten durch (ClinicalTrials.gov Identifier: NCT02771379).

Mehrere Abstracts mit zusätzlichen Daten aus dem Entwicklungsprogramm mit Raxone bei der Behandlung von LHON wurden zur Präsentation an bevorstehenden internationalen ophthalmologischen Kongressen angenommen: NANOS (16.-21. März 2019 in Las Vegas, USA), ARVO (28. April-2. Mai 2019 in Vancouver, Kanada) und EUNOS (16.-19. Juni 2019 in Porto, Portugal).

Quellenangaben:

- [1] Raxone Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels, [hier](#) abrufbar
- [2] Llòria X, et al. Poster Präsentation, NANOS, 2018; Hawaii, USA

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 Erwachsene, häufiger Männer, 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, die eine Störung im Komplex I der mitochondrialen Atmungskette verursachen. 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 führt.

Raxone (Idebenon), ein synthetisches kurzkettiges 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 schützen oder eine klinisch relevante Wiederherstellung der Sehschärfe herbeiführen kann.

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 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, Israel und Serbien 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.

###