

Santhera wird heute um 13:00 MESZ, 12:00 BST, 07:00 EDT eine Telefonkonferenz durchführen. Details dazu am Ende dieser Mitteilung.

Santhera veröffentlicht Finanzergebnisse für das erste Halbjahr 2020 und informiert über Unternehmensfortschritte

- **Nettoumsatz von CHF 7,8 Millionen, operativer Aufwand um 16% tiefer, Nettoergebnis von CHF -31,8 Millionen**
- **Abschluss von Finanzierungsvereinbarungen im April und Juli zur Bereitstellung von insgesamt bis zu CHF 32 Millionen mit der Option auf eine Aufstockung auf bis zu CHF 44 Millionen**
- **Puldysa® (idebenone): CHMP-Stellungnahme wird erwartet für Q4-2020 nach Einschluss der Daten aus der Interimsanalyse der SIDEROS-Studie**
- **Vamorolone: Abschluss der Patientenaufnahme in die VISION-DMD-Studie steht bevor und Top-Line 6-Monatsresultate werden für Q2-2021 erwartet**
- **Weltweite Rechte gesichert im September 2020 für Vamorolone bei Duchenne-Muskeldystrophie und allen anderen Indikationen**

Pratteln, Schweiz, 8. September 2020 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt die Finanzergebnisse des Unternehmens für das erste Halbjahr 2020 bekannt und informiert über die Fortschritte bei der Weiterentwicklung seiner Prüfmedikamente zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD).

„Unser Hauptaugenmerk liegt weiterhin darauf, unser Geschäft mit unseren DMD-Medikamentenkandidaten Puldysa und Vamorolone in Richtung mehrerer wichtiger Meilensteine voranzutreiben und ausreichende Mittel für die weitere Umsetzung unserer Wachstumspläne zu sichern“, sagte **Dario Eklund, Chief Executive Officer** von Santhera. „Nachdem wir uns erfolgreich alle Rechte an Vamorolone gesichert haben, verfügen wir nun über ein DMD-Portfolio, welches das Potenzial hat, die ungedeckten medizinischen Bedürfnisse einer breiten Patientenpopulation zu adressieren. Für Puldysa beabsichtigen wir, die Daten aus der geplanten Interimsanalyse der SIDEROS-Studie den europäischen Zulassungsbehörden vorzulegen und, vorbehaltlich einer positiven Stellungnahme des CHMP im vierten Quartal 2020, streben wir die Markteinführung in Europa im ersten Quartal 2021 an. Für Vamorolone, unseren zweiten DMD-Medikamentenkandidaten, rechnen wir verzögerungsbedingt durch Covid-19 nun im zweiten Quartal 2021 mit dem Vorliegen der Top-Line-Daten aus der Zulassungsstudie VISION-DMD.“

Er ergänzte: „Unser aufrichtiger Dank gilt allen Teilnehmern an klinischen Studien, ihren Familien und Betreuern für ihr Engagement, unsere Arzneimittelkandidaten trotz den schwierigen Umständen der Covid-19-Pandemie mit minimalen Verzögerungen voranzubringen. Ebenso sind wir dankbar für die Unterstützung durch Investoren, die es uns ermöglichte, unter schwierigen Marktbedingungen zusätzliche Finanzmittel zu erhalten. Ich bin zuversichtlich, dass die bevorstehenden wertsteigernden Meilensteine ein verstärktes Interesse an Santhera auslösen und die Beschaffung zusätzlicher Finanzmittel zur Unterstützung der laufenden Entwicklungs- und Vermarktungsaktivitäten erleichtern werden.“

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

WICHTIGE FINANZKENNZAHLEN

- Umsatz aus Produktverkäufen von CHF 7,8 Millionen
- Operativer Gesamtaufwand von CHF -31,9 Millionen, Abnahme von 16%
- Nettoergebnis von CHF -31,8 Millionen (1H-2019: CHF -26,9 Millionen)
- Liquide Mittel von CHF 19,4 Millionen (30. Juni 2020)
- Cashflow aus Geschäftstätigkeit von CHF -19,8 Millionen

Verkäufe von Raxone nach Übertragung des Geschäfts an Chiesi Group abnehmend

In den ersten sechs Monaten des Jahres 2020 erzielte Santhera Umsätze aus Verträgen mit Kunden in Höhe von CHF 7,8 Millionen (1H-2019: CHF 18,3 Millionen). Der Grossteil dieses Umsatzes resultierte aus dem Verkauf von Raxone zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) in Frankreich, wo Santhera das Produkt nach der Auslizenzierung und dem Transfer an Chiesi Group weiterhin vermarktet. Wie früher angekündigt, hat Chiesi Group Raxone für LHON und alle anderen ophthalmologischen Indikationen für alle Gebiete weltweit, mit Ausnahme der USA und Kanadas, für einen Gesamtbetrag von bis zu CHF 105 Millionen einlizenziert, wovon CHF 46,4 Millionen im Jahr 2019 als Ertrag verbucht wurden.

Verringerung des operativen Gesamtaufwands um 16%

Der operative Gesamtaufwand verringerte sich infolge rigoroser Sparmassnahmen im ersten Halbjahr 2020 gegenüber Vorjahr um 16% auf CHF 31,9 Millionen (1H-2019: CHF 38,2 Millionen). Die Entwicklungskosten sanken um 8% auf CHF 17,7 Millionen (1H-2019: CHF 19,3 Millionen) und widerspiegeln in erster Linie die Kosten für laufende klinische Studien im Spätstadium, einschliesslich der Phase-3-Studie SIDEROS bei DMD und der Arbeiten im Zusammenhang mit dem in Europa hängigen Zulassungsantrag für Puldysa bei DMD. Der Marketing- und Vertriebsaufwand sank um 42% auf CHF 6,8 Millionen (1H-2019: CHF 11,6 Millionen), da kommerzielle Aktivitäten neu geplant und im Hinblick auf den erwarteten Markteintritt von Puldysa im ersten Quartal 2021 angepasst wurden. Der Verwaltungs- und allgemeine Aufwand in Höhe von CHF 7,2 Millionen blieb gegenüber Vorjahr unverändert (1H-2019: CHF 7,2 Millionen). Insgesamt verzeichnete das Unternehmen ein operatives Ergebnis von CHF -25,9 Millionen (1H-2019: CHF -22,4 Millionen). Rückläufige Einnahmen infolge der Auslizenzierung wurden teilweise durch Kostensenkungsmassnahmen kompensiert, was zu einem Nettoergebnis von CHF -31,8 Millionen führte (1H-2019: CHF -26,9 Millionen).

Jüngste Finanzierungen sorgen für zusätzliche Liquidität

Zum 30. Juni 2020 beliefen sich die flüssigen Mittel auf CHF 19,4 Millionen (31. Dezember 2019: CHF 31,4 Millionen). In den letzten Monaten sicherte sich Santhera erfolgreich zusätzliche Mittel für wertsteigernde Aktivitäten in der Entwicklung und für Vorarbeiten im Hinblick auf die Vermarktung der neuromuskulären Wirkstoffe Puldysa und Vamorolone.

Im April schloss Santhera mit IRIS (Frankreich) eine Finanzierungsvereinbarung mit einem anfänglichen Bruttobetrag von bis zu CHF 12 Millionen über 12 Monate ab, mit einer Verlängerungsoption für weitere CHF 12 Millionen über die folgenden 12 Monate. Bis zum 30. Juni 2020 hatte das Unternehmen aus der Vereinbarung mit IRIS einen Bruttoerlös von CHF 8 Millionen erhalten. Nach Ende der Berichtsperiode, am 14. Juli 2020, schloss Santhera eine Finanzierungsvereinbarung von bis zu CHF 20 Millionen mit einem von Highbridge Capital Management, LLC, einem bestehenden Investor des Unternehmens, verwalteten

Fonds ab. Bis zum 7. September 2020 hat das Unternehmen die erste Tranche von CHF 7,5 Millionen aus dieser Vereinbarung mit Highbridge Capital Partners, LLC, erhalten, von denen CHF 5 Millionen mittels Umtausch in Aktien des Unternehmens zurückgezahlt wurden. Weitere Tranchen von bis zu CHF 12,5 Millionen können bei Erreichen bestimmter Meilensteine in Anspruch genommen werden. Das im April von der Generalversammlung bewilligte bedingte und genehmigte Kapital wurde teilweise zur Bedienung dieser aktiegebundenen Finanzierungsvereinbarungen verwendet.

Parallel dazu evaluiert das Unternehmen eine Restrukturierung der vorrangigen unbesicherten Wandelanleihe von CHF 60 Millionen mit einer Fälligkeit im Februar 2022.

Für die laufenden Entwicklungsaktivitäten, die Vorbereitung der Markteinführung von Puldysa und die Zahlungen, die durch der Ausübung der Sublizenzoption für Vamorolone fällig werden, wird Santhera weitere zusätzliche Mittel benötigen.

Ab 21. September 2020 wird Santhera in die beiden Gesundheitsindizes der SIX Swiss Exchange aufgenommen: in den SXI Life Sciences®, der Pharma-, Biotechnologie- und Medizinaltechnologie-Unternehmen umfasst, und in den enger gefassten Subindex SXI Bio+Medtech®, der sich auf Biotech- und Medtech-Unternehmen konzentriert. Beides dürfte den Bekanntheitsgrad bei Investoren weiter erhöhen.

PIPELINE MEILENSTEINE UND FORTSCHRITTE

Mit Puldysa® und Vamorolone baut Santhera ein komplementäres DMD-Produktportfolio auf. Das Unternehmen geht davon aus, dass die Verfügbarkeit von Vamorolone und Puldysa die medizinischen Bedürfnisse von DMD-Patienten vom frühen bis zum späten Krankheitsstadium abdecken dürfte, unabhängig von Alter, zugrunde liegender Dystrophin-Mutation oder ambulantem Status. Santheras Pipeline-Prioritäten für den Rest des Jahres 2020 konzentrieren sich weiterhin darauf, die neuromuskuläre DMD-Franchise mit Puldysa und Vamorolone in Richtung wertsteigernder Wendepunkte voranzutreiben:

- 2. September 2020: Santhera erhält weltweite Rechte für Vamorolone in allen Indikationen
- Q4-2020: Interimsanalyse der SIDEROS-Studie und Dateneinschluss in den Zulassungsantrag
- Q4-2020: CHMP-Stellungnahme zum Zulassungsantrag für Puldysa bei DMD in Europa
- Q1-2021: Markteinführung von Puldysa in den ersten europäischen Ländern
- Q2-2021: Vorliegen der Top-Line-Daten der pivotalen Phase-2b-Studie mit Vamorolone bei DMD
- Q4-2021: Einreichung des NDA (Zulassungsantrag) in den USA für Vamorolone bei DMD

Puldysa—Interimsanalyse von SIDEROS und Stellungnahme des CHMP stehen bevor

Highlights für Puldysa im ersten Halbjahr waren die Erneuerung der Early Access to Medicines Scheme (EAMS) Scientific Opinion in Grossbritannien und der Abschluss der Rekrutierung in die Phase-3-Studie SIDEROS bei DMD. Mit der Erneuerung des EAMS für ein weiteres Jahr ermöglicht die britische Arzneimittelbehörde MHRA (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency) für DMD-Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion und ohne Glukokortikoid-Begleittherapie weiterhin vor dessen Zulassung den Zugang zu Idebenon. Im Mai kündigte Santhera die vollständige Rekrutierung ihrer Phase-3-Studie SIDEROS an und gab die Absicht bekannt, vorbehaltlich der Genehmigung der erforderlichen Änderung des Studienprotokolls, eine Interimsanalyse durch das unabhängige Data and Safety Monitoring Board (DSMB) durchzuführen. Positive Resultate vorausgesetzt, werden die zusätzlichen klinischen Daten in den europäischen Antrag auf bedingte Marktzulassung aufgenommen, für den das

Unternehmen nun eine Stellungnahme des CHMP im vierten Quartal 2020 erwartet. Gleichzeitig werden die Vorbereitungen für den Markteintritt in Europa vorangetrieben, um bei zeitnaher Produktzulassung eine Markteinführung im ersten Quartal 2021 zu ermöglichen. In den USA könnte ein positives Ergebnis der Interimsanalyse, gefolgt von einem frühen Abschluss der SIDEROS-Studie, eine Beschleunigung der Einreichung eines Zulassungsantrags bei der FDA um etwa ein Jahr ermöglichen. Santhera schätzt das Spitzenumsatzpotenzial von Puldysa in den USA und den fünf grössten EU-Märkten auf insgesamt über USD 500 Millionen.

Vamorolone—ermutigende neue klinische Langzeitdaten und VISION-DMD fast vollständig rekrutiert

Im Juni hat das Partnerunternehmen ReveraGen eine offene 24-monatige Langzeit-Anschlussstudie (VBP15-LTE) mit Vamorolone bei Patienten mit DMD beendet. Aufgenommen in die Studie wurden Patienten, die zuvor eine 6-monatige Studie (VBP15-003) abgeschlossen hatten, in der die Behandlung mit Vamorolone eine dosisabhängige Verbesserung bei zeitabhängigen Funktionstests und gute Verträglichkeit zeigte. Zusammengefasst hat ReveraGen nun Daten zur Verträglichkeit und Wirksamkeit mit Vamorolone über einen Zeitraum von 2.5 Jahren bei 41 Knaben mit DMD erhoben. Derzeit läuft die pivotale VISION-DMD-Studie in der die Wirkung und Verträglichkeit von Vamorolone im Vergleich zu Placebo und Prednisolon untersucht wird, um festzustellen, ob Vamorolone im Vergleich zu Placebo die Muskelkraft und -funktion verbessert und ob im Vergleich zu Prednisolon weniger Nebenwirkungen auftreten, wodurch Vamorolone möglicherweise zu einer wertvollen Alternative zu Standard-Kortikoidbehandlungen werden könnte. Der nächste Studienmeilenstein wird die bevorstehende vollständige Rekrutierung der Studie sein, gefolgt von der für das zweite Quartal 2021 erwarteten Verfügbarkeit der Top-Line 6-Monatsdaten, die bei einem positiven Ergebnis einen NDA-Antrag im vierten Quartal 2021 ermöglichen könnten.

Vamorolone—weltweite Rechte für alle Indikationen erhalten

Am 2. September 2020 gab Santhera die Unterzeichnung von Vereinbarungen mit Idorsia (SIX: IDIA) und ReveraGen BioPharma Inc. bekannt, die Santhera zu einem direkten Lizenznehmer von Vamorolone machen [1]. Im Rahmen der Vereinbarungen hat Santhera von ReveraGen, dem Urheber von Vamorolone, eine exklusive Lizenz für alle Indikationen weltweit erhalten. Die Vereinbarungen schaffen weiteren Wert für Santhera durch die nun eingeschlossenen Lizenzrechte für Japan und Südkorea, das nun enthaltene Recht zur Vergabe von Sublizenzen und einen Anteil am erwarteten Priority Review Voucher. Unter den geänderten Bedingungen erwartet Santhera in den nächsten 12-18 Monaten eine Verminderung des Geldabflusses in der Grössenordnung von USD 18-24 Millionen. Santhera schätzt das Spitzenumsatzpotenzial von Vamorolone allein für die DMD-Indikation in den USA und den fünf grössten EU-Märkten auf insgesamt über USD 500 Millionen.

Fortschritte bei Pipeline-Projekten in früheren Entwicklungsstadien

Santheras Phase-1b-Studie mit dem klinischen Prüfmedikament Lonodelestat bei Mukoviszidose schreitet voran. Das Potenzial des Wirkstoffs als therapeutische Intervention bei Covid-19-bedingtem akutem Atemnotsyndrom (ARDS) wird im Rahmen einer Kooperationsvereinbarung vom Cold Spring Harbor Laboratory (CSHL) in der präklinischen Forschung untersucht. Die Pipeline umfasst auch einen gentherapeutischen Ansatz im Forschungsstadium, für den Santhera Vereinbarungen mit der Universität Basel und vor kurzem auch der Rutgers-Universität als Teil ihres Programms zur Förderung der gentherapeutischen Forschung für die Behandlung der LAMA2-defizienten kongenitalen Muskeldystrophie (LAMA2 MD oder MDC1A) unterzeichnet hat. Im Rahmen der laufenden

Geschäftsentwicklung evaluiert Santhera die weitere Diversifizierung ihrer plattformartigen Pipeline-Produkte Vamorolone und Lonodelestat in zusätzliche Indikationen, wozu auch Partnerschaften mit anderen Unternehmen gehören können.

Ausblick

Die operativen Prioritäten für Santhera in der zweiten Hälfte des Jahres 2020 sind die Vorbereitung für den europäischen Markteintritt von Puldysa bei DMD anfangs 2021, die Weiterentwicklung von Vamorolone hin zum Vorliegen der VISION-DMD Top-Line-Daten und die Bereitstellung zusätzlicher Finanzmittel, damit das Unternehmen seine Aktivitäten wie geplant weiterführen kann.

Referenz:

[1] Pressemitteilung "Santhera Exercises Option to Obtain Worldwide Rights to Vamorolone in Duchenne Muscular Dystrophy and All Other Indications", September 2, 2020, verfügbar [hier](#).

Halbjahresbericht 2020

Der Bericht zum ersten Halbjahr 2020 von Santhera ist verfügbar auf der Unternehmenswebseite unter www.santhera.com/investors-and-media/investor-toolbox/financial-reports.

Telefonkonferenz

Santhera wird am 8. September 2020 um 13:00 MESZ, 12:00 BST, 07:00 EDT eine Telefonkonferenz durchführen. CEO Dario Eklund und CFO Andrew Smith werden die Halbjahresresultate erläutern und ein Update zur Unternehmensentwicklung geben. Teilnehmende sind eingeladen, eine der folgenden Telefonnummern 10-15 Minuten vor Konferenzbeginn zu wählen (kein Zugangscode erforderlich). Konferenzsprache ist Englisch.

Europa: +41 58 310 50 00

GB: +44 207 107 06 13

USA: +1 631 570 56 13

2020 Halbjahresresultate

Santheras 2020 Halbjahresbericht: www.santhera.com/investors-and-media/investor-toolbox/financial-reports.

Zusammengefasste Angaben zur Erfolgsrechnung (eingeschränkt geprüft, IFRS, Halbjahr per 30. Juni, in TCHF)	1H-2020	1H-2019
Nettoumsatz	6'133	18'315
Nettoumsatz an Lizenzpartner	1'642	0
Umsätze aus Verträgen mit Kunden	7'775	18'315
Kosten der verkauften Produkte (davon Amortisierung immaterieller Vermögenswerte: 1H-2020 -1'519 / 1H-2019 -1'519)	-2'114	-2'557
Entwicklung	-17'688	-19'325
Marketing und Vertrieb	-6'766	-11'611
Verwaltungs- und allgemeiner Aufwand	-7'209	-7'206
Operativer Gesamtaufwand	-31'911	-38'208
Operatives Ergebnis	-25'893	-22'434
Nettofinanzergebnis	-5'573	-4'065
Steuern	-361	-401
Nettoergebnis	-31'827	-26'900
(Verwässerter) Verlust pro Aktie (in CHF)	-2.78	-2.47

Zusammengefasste Angaben zur Bilanz (IFRS, in TCHF)	30. Juni 2020 (eingeschränkt geprüft)	31. Dez. 2019 (geprüft)
Liquide Mittel	19'353	31'358
Sonstiges Umlaufvermögen	17'201	17'897
Anlagevermögen	63'520	65'796
Total Aktiven	100'074	115'051
Eigenkapital	210	21'247
Langfristige Verbindlichkeiten	69'894	69'840
Kurzfristige Verbindlichkeiten	29'970	23'964
Total Passiven	100'074	115'051

Zusammengefasste Angaben zum Cashflow (eingeschränkt geprüft, IFRS, in TCHF)	2020	2019
Cashflow aus Geschäftstätigkeit (Halbjahr per 30. Juni)	-19'795	-20'219
Cashflow aus Investitionstätigkeit (Halbjahr per 30. Juni)	1'506	1'448
Cashflow aus Finanzierungstätigkeit (Halbjahr per 30. Juni)	6'405	9'465
Liquide Mittel per 1. Januar	31'358	21'971
Liquide Mittel per 30. Juni	19'353	12'698
Nettomittelverbrauch	-12'005	-9'273

Aktienkapital (Anzahl Aktien mit Nominalwert CHF 1)	30. Juni 2020 (eingeschränkt geprüft)	31. Dez. 2019 (geprüft)
Ausgegebene Aktien	13'185'063	11'165'063
Bedingtes Kapital für Eigenkapitalrechte	687'052	687'052
Bedingtes Kapital für Wandlungsrechte	4'800'000	2'500'000
Autorisiertes Kapital	4'630'000	3'000'000

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN), ein Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, ist auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für seltene neuromuskuläre und pulmonale Erkrankungen mit hohem medizinischem Bedarf fokussiert. Santhera baut ein Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) Produktportfolio zur Behandlung von Patienten unabhängig von ursächlichen Mutationen, Krankheitsstadium oder Alter auf. Ein Antrag auf Marktzulassung für Puldysa® (Idebenon) wird gegenwärtig von der Europäischen Arzneimittelagentur geprüft. Ausserdem hat Santhera eine weltweite Exklusivlizenz für alle Indikationen für Vamorolone, ein first-in-class entzündungshemmender Arzneimittelkandidat mit neuartigem Wirkmechanismus, welcher derzeit in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit DMD als Alternative zu Standard-Kortikosteroiden getestet wird. Die klinische Pipeline umfasst auch Lonodelestat (POL6014) zur Behandlung von Mukoviszidose (CF) und anderen neutrophilen Lungenerkrankungen sowie Omigapil und einen explorativen Gentherapieansatz für kongenitale Muskeldystrophien. Santhera hat die Ex-Nordamerika-Rechte an seinem ersten zugelassenen Produkt, Raxone® (Idebenon), zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) an Chiesi Group lizenziert. Weitere Informationen unter www.santhera.com.

Puldysa® und Raxone® sind eingetragene Marken 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

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 in die Zukunft gerichtete 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.

###