Santhera Pharmaceuticals Holding AG
Hammerstrasse 49
CH-4410 Liestal / Suisse
Téléphone +41 61 906 89 50
Fax +41 61 906 89 51
www.santhera.com

Autorisation Temporaire d'Utilisation accordée pour Raxone® dans le traitement de la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL) en France

Liestal, Suisse, 21 janvier 2014 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) annonce que l'Agence nationale de sécurité du médicament et des produits de santé (ANSM) a accordé une Autorisation Temporaire d'Utilisation (ATU) dite "de cohorte" pour Raxone®, dans le traitement de la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL). Le système d'ATU en France permet aux patients d'accéder à des traitements remboursés avant leur mise sur le marché en Europe.

Les médicaments n'ayant pas encore d'autorisation de mise sur le marché (AMM) mais susceptibles de présenter un bénéfice clinique réel, au vu des données présentées dans un dossier, peuvent obtenir une ATU de cohorte lorsqu'il n'existe pas de traitement approprié disponible sur le marché.

L'ATU pour Raxone® a été accordée après évaluation, par l'ANSM et par des experts cliniques, d'un dossier comprenant des données sur la qualité, la sécurité et l'efficacité du médicament, incluant de nouvelles données recueillies chez des patients atteints de la NOHL dans un programme d'accès élargi. Les patients atteints de la NOHL en France auront donc accès à Raxone® par l'intermédiaire de l'ATU de cohorte, sous le financement d'un organisme interministériel jusqu'à l'obtention d'une AMM.

"Nous sommes très satisfaits de la décision de l'ANSM d'accorder une ATU pour Raxone® dans le traitement de la NOHL et nous continuons à travailler sur le dépôt de dossier de demande d'AMM en Europe", a commenté Thomas Meier, Président de Santhera. "Nous assisterons les patients atteints de la NOHL à accéder Raxone® le plus rapidement dans ce programme. Les revenus permettront de recouvrer les couts de développement de Raxone® dans cette indication."

A propos de la Neuropathie Optique Héréditaire de Leber et de l'utilisation de Raxone®
La Neuropathie Optique Héréditaire de Leber (NOHL) est une maladie génétique héréditaire responsable de cécité. La maladie se présente typiquement chez les adultes jeunes, plus souvent les hommes, et se manifeste par une diminution rapide et sans douleur de la vision centrale sur un œil,

suivi du second œil dans les mois suivants, menant à la cécité. Environ 95% des patients sont porteurs d'une des trois mutations mitochondriales responsables d'une anomalie de sous-unités du complexe I de la chaine respiratoire mitochondriale. Cette anomalie cause une réduction de la production d'énergie cellulaire (ATP), une augmentation du stress oxydatif et un dysfonctionnement des cellules ganglionnaires de la rétine responsables de la perte progressive de la vue jusqu'à la cécité.

Raxone® (idebenone), une benzoquinone à chaine courte et cofacteur de l'enzyme NAD(P)H:quinone oxidoreductase (NQO1), peut potentiellement atténuer le dysfonctionnement des cellules ganglionnaires de la rétine dans la NOHL grâce à son activité de transporteur d'électrons sur le complexe III de la chaine de transport mitochondriale, court-circuitant ainsi le complexe I déficient et permettant la production d'énergie cellulaire dans les cellules atteintes. L'idébénone est capable de réactiver les cellules ganglionnaires de la rétine viables-mais-inactives chez les patients atteints de la NOHL.

Santhera prévoit de déposer une demande d'autorisation de mise sur le marché pour Raxone® dans l'Union Européenne au cours du 1er trimestre 2014.

* * *

À propos de Santhera
Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) est une société pharmaceutique Suisse spécialisée dans le développement et la commercialisation de produits pharmaceutiques novateurs destinés au traitement des maladies neuromusculaires orphelines et des maladies mitochondriales, domaines nécessitant des innovations thérapeutiques. Pour de plus amples informations, veuillez visiter www.santhera.com.

Raxone® est un nom de marque déposée de Santhera Pharmaceuticals.

Pour plus d'information, veuillez contacter
Thomas Meier, Chief Executive Officer
Téléphone: +41 61 906 89 64
thomas.meier@santhera.com

Avis de non-responsabilité/énoncés prospectifs
Cette communication ne constitue ni une offre ni une invitation à souscrire ou à acheter des actions de Santhera Pharmaceuticals Holding AG. Cette publication peut contenir certains énoncés prospectifs au sujet de l'entreprise et de ses activités. De tels énoncés prospectifs comportent des risques, des incertitudes et d'autres facteurs qui pourraient faire en sorte que les résultats, la condi-

tion financière, les réalisations et le rendement réels de l'entreprise diffèrent considérablement de ceux exprimés ou sous-entendus dans de tels énoncés prospectifs. Par conséquent, les lecteurs ne devraient pas surestimer l'importance de ces énoncés, particulièrement en ce qui a trait à tout contrat ou toute décision d'investissement. L'entreprise décline toute obligation de mettre à jour ces énoncés prospectifs.