

Santhera unterstützt und präsentiert am ersten von Parent Project Muscular Dystrophy (PPMD) organisierten “Duchenne Pulmonary Outcomes Workshop”

Liestal, Schweiz, 14. April 2016 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist Co-Sponsor und präsentiert klinische Daten am “Duchenne Pulmonary Outcomes Workshop”, organisiert von Parent Project Muscular Dystrophy (PPMD), der führenden Interessenorganisation in den USA im Kampf gegen Duchenne. Am Workshop, der am 14.–15. April 2016 in Bethesda, MD, stattfindet, kommen über 50 Experten aus den USA und Europa zusammen, um etablierte und neue Methoden zur Messung und Beurteilung der Atmungsfunktion bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) zu erörtern.

Während des Workshops unter dem gemeinsamen Vorsitz von **Jonathan Finder**, MD, Children’s Hospital of Pittsburgh, und **Craig McDonald**, MD, UC Davis Health System, erörtern klinische Experten für DMD bereits etablierte und neue Mess- und Beurteilungsverfahren der Atmungsfunktion. Insbesondere werden am Workshop verfügbare Daten zum natürlichen Krankheitsverlauf präsentiert, Einschränkungen der gegenwärtigen Messverfahren der Atmungsfunktion erörtert, Korrelationen zwischen Atmungsfunktionsmessungen und anderen klinischen Endpunkten diskutiert und klinisch relevante Schwellenwerte der Wirksamkeit im Hinblick auf potentielle therapeutische Massnahmen ermittelt.

„Das Versagen der Atmungsfunktion ist eine der Hauptursachen von frühzeitiger Morbidität und Mortalität bei Duchenne-Muskeldystrophie. Daher sind die korrekte Beurteilung der Atmungsfunktion für die Entwicklung neuer Therapieansätze zur Behandlung von DMD von grösster Bedeutung“, erläuterte **Thomas Meier**, PhD, Chief Executive Officer von Santhera. „Wir sind begeistert, dass PPMD eine führende Rolle bei der Konsensbildung übernimmt und zahlreiche Experten zusammenführt, um das Verständnis bei der Beurteilung von Veränderungen der Atmungsfunktion bei DMD-Patienten zu fördern. Es freut uns, als Co-Sponsor teilzunehmen und Daten von unserer Phase-III-DELOS-Studie zu präsentieren, welche eine klinisch relevante Wirksamkeit von idebenone (Raxone®) beim Erhalt der Atmungsfunktion zeigten.“

Über den PPMD Duchenne Pulmonary Outcomes Workshop

Ziel des Workshops ist es, den aktuellen Kenntnisstand von Experten in der klinischen Betreuung von DMD (und Vertretern von PPMD) zu konsolidieren. Im Zentrum stehen dabei die Messung der Atmungsfunktion bei der Überwachung des Krankheitsverlaufs und der Bedarf nach neuen Messparametern, um Ergebnisse auf die Atmungsfunktion sowie deren Anwendung in der klinischen Entwicklung und bei der Patientenbetreuung im Alltag zu beurteilen. Die Organisatoren werden einen Bericht zu den Ergebnissen des Workshops veröffentlichen.

Santhera unterstützt und präsentiert am ersten von Parent Project Muscular Dystrophy (PPMD) organisierten “Duchenne Pulmonary Outcomes Workshop“

14. April 2016 / Seite 2 von 3

Über Duchenne-Muskeldystrophie und DELOS

Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine der am weitesten verbreiteten und schwerwiegendsten Formen von rasch fortschreitendem Muskelschwund. Charakteristisch ist der Verlust des Proteins Dystrophin, der zu Zellschädigung, gestörtem zellulärem Kalziumhaushalt, erhöhtem oxidativem Stress und verringerter zellulärer Energieproduktion in Muskelzellen führt. Diese zellulären Schäden resultieren in fortschreitender Muskelschwäche und Muskelschwund und führen aufgrund von Atmungsversagen zu früher Morbidität und Mortalität. Idebenone ist ein synthetisches Benzoquinone und Kofaktor für das zelluläre Enzym NAD(P)H:quinone oxidoreductase (NQO1). Der Wirkstoff kann den mitochondrialen Elektronentransport stimulieren, den oxidativen Stress vermindern und die zelluläre Energieversorgung verbessern.

DELOS war eine Phase-III, doppelblinde, Plazebo-kontrollierte Studie mit 64 Patienten im Alter von 10-18 Jahren, welche entweder Raxone-Tabletten oder entsprechendes Plazebo erhielten. Die Studie erreichte den primären Endpunkt und zeigte, dass Raxone den Verlust der Atmungsfunktion bei Patienten ohne gleichzeitige Behandlung mit Glucocorticoid-Steroiden verzögern kann. Die positiven Resultate der Phase-III-DELOS-Studie wurden in *The Lancet* veröffentlicht ([Buyse et al., The Lancet 2015 385\(9979\):1748-57](#)).

Über Parent Project Muscular Dystrophy (PPMD)

Parent Project Muscular Dystrophy (PPMD) ist die grösste und umfassendste gemeinnützige Patientenorganisation in den USA, die sich für die Suche nach Therapie- und Heilungsansätzen für Duchenne-Muskeldystrophie einsetzt – ihre Mission ist es, Duchenne zu überwinden. PPMD investiert bedeutende Mittel in Therapien für diese Generation junger Männer, die von Duchenne betroffen ist, und in die Forschung und Entwicklung zum Wohle künftiger Generationen. Sie ist Verfechterin ihrer Mission in Washington, DC, und hat Fördergelder in dreistelliger Millionenhöhe eingeworben. Sie fordert die bestmögliche Patientenversorgung und stärkt, vereinigt und informiert die globale Duchenne-Gemeinschaft. Alles, was PPMD tut – und alles, was sie seit ihrer Gründung 1994 getan hat – hilft Knaben mit Duchenne, ein längeres und besseres Leben zu leben. Für weitere Informationen: www.parentprojectmd.org.

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente zur Behandlung seltener neuromuskulärer und mitochondrialer Krankheiten fokussiertes Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen. Santheras erstes Produkt Raxone[®] ist in der Europäischen Union zur Behandlung von Leber Hereditärer Optikusneuropathie (LHON) zugelassen. Santhera entwickelt Raxone[®] in den zwei weiteren Indikationen Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) und primär progredienter Multipler Sklerose (PPMS), sowie Omigapil für Patienten mit kongenitaler Muskeldystrophie (CMD). Für alle diese Krankheiten besteht ein sehr hoher medizinischer Bedarf. Weitere Informationen zu Santhera finden Sie unter www.santhera.com.

Raxone[®] und Catena[®] sind eingetragene Marken von Santhera Pharmaceuticals.

Santhera unterstützt und präsentiert am ersten von Parent Project Muscular Dystrophy (PPMD) organisierten "Duchenne Pulmonary Outcomes Workshop"

14. April 2016 / Seite 3 von 3

Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:

Thomas Meier, PhD, Chief Executive Officer

Telefon +41 61 906 89 64

thomas.meier@santhera.com

Christoph Rentsch, Chief Financial Officer

Telefon +41 61 906 89 65

christoph.rentsch@santhera.com

Medienkontakt

Eva Kalias, Vio Consult

Telefon +41 78 671 98 86

kalias@vioconsult.com

Disclaimer / Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Pressemitteilung kann gewisse in die Zukunft gerichtete Aussagen über Santhera und ihre Geschäftsaktivitäten enthalten. Solche Aussagen beinhalten gewisse Risiken, Unsicherheiten und andere Faktoren, die zur Folge haben können, dass tatsächlich erzielte Geschäftsergebnisse, die finanzielle Verfassung, die Leistungsfähigkeit und die Zielerreichung wesentlich von dem abweichen, was in solchen Aussagen implizit oder explizit erwähnt ist. Leserinnen und Leser sollten diesen Aussagen daher kein übermässiges Gewicht beimessen; dies ganz besonders nicht im Zusammenhang mit Verträgen oder Investitionsentscheidungen. Santhera übernimmt keine Verpflichtung, diese in die Zukunft gerichteten Aussagen zu aktualisieren.

###