

Santhera erhält FDA Fast-Track-Status für Omigapil zur Behandlung von kongenitalen Muskeldystrophien (CMD)

Liestal, Schweiz, 20. Mai 2015 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass die US-amerikanische Gesundheitsbehörde (Food and Drug Administration, FDA) Santhera's Omigapil den Fast-Track-Status zur Behandlung von kongenitalen Muskeldystrophien (CMD) zuerkannt hat. Der Fast-Track-Status der FDA erleichtert die Entwicklung und beschleunigt die regulatorische Überprüfung von wichtigen Arzneimitteln, die der Behandlung von schwerwiegenden Erkrankungen dienen und einem unerfüllten medizinischen Bedarf nachkommen, damit sie den Patienten rascher zur Verfügung stehen. Bereits früher erhielt Omigapil den Orphan-Drug-Status für CMD in der EU und den USA. Santhera führt derzeit, in Zusammenarbeit mit den US National Institutes of Health (NIH), eine klinische Phase-I-Studie (CALLISTO) mit Omigapil bei CMD-Patienten durch.

„Wir sind sehr erfreut, dass die FDA uns für Omigapil den Fast-Track-Status gewährt hat und damit den hohen medizinischen Bedarf nach wirksamen Behandlungen für Patienten mit CMD und die Schwere dieser Krankheiten unterstreicht“, erläuterte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. „Nach Raxone[®] ist Omigapil unser zweites neuromuskuläres Pipelineprodukt und bekräftigt unser Engagement in der Entwicklung von Medikamenten, um die Bedürfnisse von Patienten mit mitochondrialen und anderen seltenen Krankheiten zu erfüllen.“

Kongenitale Muskeldystrophien (CMD) umfassen verschiedene erbliche neuromuskuläre Krankheiten, die alle zu progressivem Muskelschwund führen und oft junge Kinder betreffen. Derzeit ist kein Medikament zur Behandlung verfügbar, das den Krankheitsverlauf verlangsamen oder aufhalten kann. Santhera prüft Omigapil in der Phase-I-Studie (CALLISTO), welche die Pharmakokinetik, Sicherheit und Verträglichkeit einer neu entwickelten Flüssigformulierung bei CMD-Patienten im Kindes- und Jugendalter untersucht. Die Studie wird am National Institute of Neurological Disorders and Stroke (NINDS) der NIH in Bethesda (Maryland, USA) mit Prof. **Carsten Bönnemann** als Studienleiter durchgeführt. Die Patientenrekrutierung ist abgeschlossen und die Studie dürfte anfangs 2017 beendet werden. Bereits zuvor teilte Santhera mit, dass die CALLISTO Studie finanziell unterstützt wird von einer öffentlich-privaten Partnerschaft, welcher unter anderem zwei Patientenorganisationen, die US-amerikanische Cure CMD und die Schweizerische Stiftung für die Erforschung von Muskelkrankheiten, sowie EndoStem, ein Projekt des 7. EU-Rahmenprogramms, angehören.

Über den FDA Fast-Track-Status

Die FDA hat das Fast-Track-Entwicklungsprogramm 1997 anlässlich des FDA Modernization Act eingeführt. Das Programm soll die Entwicklung von Arzneimitteln erleichtern und deren Prüfung beschleunigen, wenn diese der Behandlung schwerwiegender oder lebensbedrohlicher Krankheiten dienen und das Potenzial zeigen, einen bisher nicht gedeckten medizinischen Bedarf zu erfüllen. Zu

Santhera erhält FDA Fast-Track-Status für Omigapil zur Behandlung von kongenitalen Muskeldystrophien (CMD)

20. Mai 2016 / Seite 2 von 3

den Vorteilen des Fast-Track-Status gehören die Gelegenheit zu häufigeren Kontakten mit der FDA, die Eignung für eine beschleunigte Zulassung und vorrangige Prüfung, sofern die klinischen Daten dies unterstützen, sowie die Möglichkeit laufend Teile des Zulassungsdossiers gemäss ihrer Fertigstellung einzureichen. Im Normalfall beginnt die FDA die Überprüfung erst nachdem ein kompletter Zulassungsantrag vorliegt.

Über kongenitale Muskeldystrophien

Kongenitale Muskeldystrophien (CMD) umfassen verschiedene erbliche neuromuskuläre Krankheiten, die alle zu progressivem Muskelschwund führen. Schwere Formen verursachen bereits bei Neugeborenen oder jungen Kindern eine lebensbedrohliche und fortschreitende Schläffheit der Muskulatur, die klinisch als «floppy infant syndrome» bezeichnet wird. Krankheitsbedingte Begleiterscheinungen wie Gewichtsverlust, Deformierungen des Skeletts und Atemnot führen zu zunehmender Bewegungsunfähigkeit in jungen Jahren und reduzierter Lebenserwartung. Derzeit ist kein Medikament zur Behandlung zugelassen oder in fortgeschrittener klinischer Entwicklung. Therapeutische Massnahmen beschränken sich auf Atmungsunterstützung und orthopädische Chirurgie für Skoliose sowie Nahrungsergänzung um Mangelernährung zu vermeiden.

Über Omigapil

Omigapil ist ein Deprenylanalog mit anti-apoptotischer Wirkung. Santhera hat den ursprünglich von Novartis entwickelten Wirkstoff exklusiv zur Entwicklung in kongenitalen Muskeldystrophien (CMD) einlizensiert. Präklinische Studien in krankheitsrelevanten Modellen haben gezeigt, dass Omigapil den programmierten Zelltod (Apoptose) hemmt, Gewichtsverlust begrenzt und Skelettdeformationen verringert. Gleichzeitig verbessern sich motorische Aktivitäten und die Lebenserwartung. Santhera prüft Omigapil im Rahmen einer Prüfgenehmigung, welche das Unternehmen von der US Food and Drug Administration erhalten hat.

Über CALLISTO

CALLISTO ist eine Phase-I-Studie zur Evaluierung der Pharmakokinetik, Sicherheit und Verträglichkeit von Omigapil bei 20 gehfähigen und nicht mehr gehfähigen Patienten im Alter von 5 bis 16 Jahren, die von den CMD-Subtypen Ullrich oder MDC1A betroffen sind. Die Studie wird an den US National Institutes of Health (NIH) in Bethesda (Maryland, USA) durchgeführt und die Patientenrekutierung ist abgeschlossen. Weitere Details zur Studie sind verfügbar unter www.clinicaltrials.gov (Identifizier NCT01805024).

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.

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

**Santhera erhält FDA Fast-Track-Status für Omigapil zur Behandlung
von kongenitalen Muskeldystrophien (CMD)**

20. Mai 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.

#