

Santheras Zulassungsantrag für Raxone® bei Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) durch die Europäische Arzneimittelbehörde validiert

Liestal, Schweiz, 21. Juni 2016 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass die Europäische Arzneimittelbehörde (EMA) den Zulassungsantrag (Marketing Authorization Application, MAA) für Raxone® zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion und ohne Glucocorticoid-Begleittherapie validiert hat. Mit der Validierung bestätigt die Behörde, dass der als Typ-II-Variation zur bestehenden Zulassung eingereichte Zulassungsantrag vollständig ist und das formale Prüfverfahren durch den Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) begonnen hat. Santhera erwartet eine Stellungnahme des CHMP im ersten Quartal 2017.

Das Zulassungsdossier, das als Typ-II-Variation zur bestehenden Marktzulassung eingereicht wurde, basiert auf Daten von Santheras Phase-II-Programm (DELPHI) und der erfolgreichen, zulassungsrelevanten Phase-III-Studie (DELOS) bei Patienten ohne Glucocorticoid-Begleittherapie. Diese Daten belegten einen statistisch signifikanten und klinisch relevanten Nutzen der Raxone-Behandlung auf den Erhalt der Atmungsfunktion im Vergleich zu Placebo. Erhärtet wurden diese Daten durch eine Studie zum natürlichen Krankheitsverlauf, die zeigte, dass der beobachtete Nutzen auf die Atmungsfunktion in der Raxone-Gruppe nicht dem natürlichen Krankheitsverlauf entspricht. Die MAA schliesst auch kürzlich veröffentlichte Daten ein, die nachwiesen, dass in der DELOS-Studie mit Raxone behandelte Patienten einem geringeren Risiko für bronchopulmonale Komplikationen unterlagen, weniger häufig wegen solcher Komplikationen hospitalisiert wurden und einen geringeren Bedarf an systemischer Behandlung mit Antibiotika hatten, als Patienten in der Placebo-Gruppe. Die klinische Bedeutung dieser Resultate wurde untermauert durch die Ergebnisse einer patientenorientierten Nutzen/Risiko-Studie. Diese Studie zeigte, dass sowohl DMD-Patienten als auch deren Betreuungspersonen einer Behandlung, welche bronchopulmonale Komplikationen verringern kann, grosse Bedeutung beimessen.

„Mit der Validierung unseres Zulassungsantrags bestätigt die EMA die Vollständigkeit unseres Dossiers, welches Daten aus unserem klinischen Programm und unterstützende Daten zum natürlichen Krankheitsverlauf zum Nachweis des klinischen Nutzens einer Raxone-Behandlung bei DMD beinhaltet“, sagte **Thomas Meier**, PhD und CEO von Santhera. „Der Erhalt der Atmungsfunktion ist ein bedeutendes Ziel der DMD-Therapie und der Beginn der Überprüfung unseres Zulassungsantrags durch das CHMP ist ein wichtiger Meilenstein für DMD-Patienten, denen derzeit keine Behandlungsalternative zur Verfügung steht.“

**Santheras Zulassungsantrag für Raxone® bei Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)
durch die Europäische Arzneimittelbehörde validiert**

21. Juni 2016 / Seite 2 von 3

Raxone ist seit September 2015 für die Behandlung von Sehbeeinträchtigungen bei jugendlichen und erwachsenen Patienten mit Leber Hereditärer Optikusneuropathie (LHON) in allen EU-Mitgliedstaaten, Norwegen, Island und Liechtenstein zugelassen.

Über Raxone® (Idebenone), 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, welche entweder Raxone-Tabletten oder entsprechendes Plazebo erhielten. Die Studie erreichte den primären Endpunkt und zeigte, dass Raxone den Verlust der Atmungsfunktion verzögern und das Auftreten bronchopulmonaler Komplikationen verringern kann. Die positiven Resultate der Phase-III-DELOS-Studie wurden erstmals in *The Lancet* (Buyse et al., *The Lancet* 2015 385(9979):1748-57) und in *Neuromuscular Disorders* (Article in Press: <http://dx.doi.org/10.1016/j.nmd.2016.05.008>) veröffentlicht.

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. Für Duchenne-Muskeldystrophie (DMD), die zweite Indikation für Raxone®, hat Santhera in der Europäischen Union die Zulassung beantragt (Marketing Authorization Application, MAA). Santhera entwickelt Raxone® in einer dritten Indikation, 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.

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

**Santheras Zulassungsantrag für Raxone® bei Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)
durch die Europäische Arzneimittelbehörde validiert**

21. Juni 2016 / Seite 3 von 3

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.

###