

Führendes medizinisches Fachjournal publiziert Wirksamkeit von Santheras Raxone auf die inspiratorische Atmungsfunktion bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)

Liestal, Schweiz, 13. September 2016 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass zusätzliche Daten aus der zulassungsrelevanten Phase-III-Studie (DELOS), welche die Wirksamkeit von Raxone (Idebenone) auf die inspiratorische Atmungsfunktion bei DMD-Patienten belegen, in der medizinischen Fachzeitschrift *Pediatric Pulmonology* online veröffentlicht wurden (<http://dx.doi.org/10.1002/ppul.23547>).

Die Diagnose der dynamischen inspiratorischen Atmungsfunktion liefert wertvolle Informationen über die Lungenfunktionalität bei Patienten mit DMD. Die nun in der Fachzeitschrift *Pediatric Pulmonology* veröffentlichten Daten untersuchten die Wirkung von Raxone auf den maximalen Inspirationsfluss, der während der Messung der forcierten Vitalkapazität (FVC) erzeugt wird (maximaler Inspirationsfluss; $V'_{I,max}(FVC)$). DMD-Patienten in beiden Behandlungsgruppen von DELOS (Raxone n=31; Placebo n=33) hatten vergleichbare und ungewöhnlich niedrige $V'_{I,max}(FVC)$ -Werte zu Beginn der Studie. Während der Studiendauer sank der $V'_{I,max}(FVC)$ weiter um -0,29 L/s (Liter/Sekunde) bei Patienten, die Placebo erhielten (95% CI: -0,51, -0,08, p=0,008 nach 52 Wochen), während er bei mit Raxone behandelten Patienten stabil blieb (Veränderung vom Ausgangswert bis Woche 52: 0,01 L/s; 95% CI: -0,22, 0,24; p=0,950). Die zwischen den Gruppen entstandene Differenz zeigte einen positiven Behandlungseffekt für Raxone von 0,27 L/s (p=0,043) bei Woche 26 und 0,30 L/s (p=0,061) bei Woche 52. Während der Studiendauer verbesserte sich zudem die maximale Strömung, die nicht während der Ruheatmung verwendet wird (sog. inspiratorische Flussreserve, IFR), um 2,8% bei Raxone-Patienten und verschlechterte sich um -3,0% bei den Placebo-Patienten (Unterschied zwischen den Gruppen bei Woche 52: 5,8%; p=0,040).

"Diese neuen Daten ergänzen die bisher veröffentlichten Ergebnisse mit Raxone aus der erfolgreichen Phase-III-Studie DELOS bei Patienten, die keine Glucocorticoide einnehmen“, kommentierte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera Pharmaceuticals. "Seit Abschluss der Studie hat die DELOS-Studiengruppe Daten veröffentlicht, die einen statistisch signifikanten und klinisch relevanten Nutzen einer Behandlung mit Raxone auf die expiratorische und inspiratorische Atmungsfunktion nachweisen. Ausserdem zeigen die Daten ein geringeres Risiko für bronchopulmonale Komplikationen für mit Raxone behandelte Patienten und einen geringeren Bedarf an systemischer Antibiotika-Behandlung. Gesamthaft belegen diese Ergebnisse eindeutig die Wirksamkeit von Raxone in der Behandlung von DMD-Patienten hinsichtlich verschiedener relevanter Aspekte der Atmungsfunktion."

**Führendes medizinisches Fachjournal publiziert Wirksamkeit von Santhera's
Raxone auf die inspiratorische Atmungsfunktion bei Patienten DMD**

13. September 2016 / Seite 2 von 3

Über Raxone (Idebenone) bei Duchenne-Muskeldystrophie

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.

Nach einer initialen Phase-II-Studie (DELPHI) wurde die Verträglichkeit und Wirksamkeit von Raxone (Idebenone) in der doppelblinden, Plazebo-kontrollierten Phase-III-Studie DELOS bestätigt. In der DELOS-Studie wurden 64 Patienten ohne Glucocorticoid-Begleittherapie randomisiert und erhielten entweder Raxone (900 mg/Tag) oder entsprechendes Plazebo. 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 bisher veröffentlicht von Buyse et al., *The Lancet* 2015, 385:1748-57 und McDonald et al., *Neuromuscular Disorders* 2016, 26: 473–480.

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, Norwegen, Island und Liechtenstein 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). In Zusammenarbeit mit dem US National Institute of Neurological Disorders and Stroke (NINDS) entwickelt Santhera 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® ist eine eingetragene Marke 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

Medienkontakt

Daniel Piller, Head Communications
Telefon +41 61 906 89 26
daniel.piller@santhera.com

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

**Führendes medizinisches Fachjournal publiziert Wirksamkeit von Santhera's
Raxone auf die inspiratorische Atmungsfunktion bei Patienten DMD**

13. September 2016 / Seite 3 von 3

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.

#