

Santheras Raxone® als Promising Innovative Medicine (PIM) und geeigneter Kandidat für weitere Prüfung im Rahmen des UK Early Access to Medicines Scheme (EAMS) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie anerkannt

Liestal, Schweiz, 23. Dezember 2016 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass die britische Arzneimittelbehörde MHRA (Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency) Raxone® (idebenone) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion und ohne Glucocorticoid-Begleittherapie den Status eines „vielversprechenden innovativen Arzneimittels“ (Promising Innovative Medicine, PIM) zuerkannt und als geeigneten Kandidaten für die Stufe II des EAMS Prozesses ausgewählt hat.

Das Early Access to Medicines Scheme soll Patienten in Grossbritannien mit lebensbedrohlichen oder zu schwerer Beeinträchtigung führenden Erkrankungen, für die es keine oder keine zufriedenstellenden Behandlungsoptionen gibt, den Zugang zu noch nicht zugelassenen Arzneimitteln ermöglichen.

„Wir sind hocheifrig über die Entscheidung der MHRA, Raxone als Kandidaten für den Einschluss in das Early Access to Medicines Scheme zu benennen, da dies den hohen medizinischen Bedarf bei DMD unterstreicht und den innovativen Behandlungsansatz von Raxone anerkennt“, sagte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera.

Nic Bungay, Director of Campaigns, Care and Information bei Muscular Dystrophy UK, ergänzte: „Wir begrüßen diese äusserst ermutigende Nachricht, dass Raxone als geeignet für die Stufe II des EAMS-Prozesses angesehen wurde, zumal dies das erste Arzneimittel zur Behandlung einer Muskeldystrophie ist, das dieses Stadium erreicht hat. Dies zeigt, dass die Einführung von EAMS, um das Muscular Dystrophy UK ersucht hatte, zur raschen Beurteilung von neuen Behandlungen beitragen kann. Wir fordern die Regierung auf, den Einsatz von EAMS durch pharmazeutische Unternehmen weiterhin zu unterstützen, um potenziell vielversprechende Behandlungen zu ermöglichen.“

Die Europäische Arzneimittelbehörde (EMA) und das Schweizerische Heilmittelinstitut Swissmedic prüfen derzeit Anträge auf Marktzulassung für Raxone zur Behandlung von DMD-Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion und ohne Glucocorticoid-Begleittherapie. Dies würde Patienten miteinschliessen, die früher mit Glucocorticoiden behandelt wurden oder bei denen diese unerwünscht, nicht verträglich oder kontraindiziert sind.

**Santheras Raxone® als Promising Innovative Medicine (PIM) und geeigneter Kandidat
für weitere Prüfung im Rahmen des UK Early Access to Medicines Scheme (EAMS)
zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie anerkannt**

23. Dezember 2016 / Seite 2 von 3

Über das UK Early Access to Medicines Scheme (EAMS)

Das von der Industrie unterstützte EAMS in Grossbritannien soll Patienten mit lebensbedrohlichen oder zu schwerer Beeinträchtigung führenden Erkrankungen, für die es keine oder keine zufriedenstellenden Behandlungsoptionen gibt, den Zugang zu noch nicht zugelassenen Arzneimitteln ermöglichen. EAMS ist ein zweistufiger Prozess:

Stufe I beinhaltet die Ausweisung als „vielversprechendes innovatives Arzneimittel“ (Promising Innovative Medicine, PIM). Die PIM-Ausweisung ist ein Frühindikator dafür, dass ein Arzneimittel ein vielversprechender Kandidat für das EAMS ist und bestätigt, auf Grund einer vorläufigen Überprüfung der Studiendaten durch die Arzneimittelbehörde, dass dessen klinische Entwicklung planmässig verläuft.

Stufe II umfasst eine wissenschaftliche Stellungnahme (Scientific Opinion) seitens der Medicines and Healthcare Products Regulatory Agency (MHRA, britische Arzneimittelbehörde). Diese Stellungnahme beurteilt Nutzen und Risiken eines Arzneimittels und unterstützt verschreibende Ärzte und Patienten bei der Entscheidung zur Verabreichung eines Medikaments vor dessen Marktzulassung.

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. Das erste Produkt von Santhera, 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 und der Schweiz einen Antrag auf Marktzulassung gestellt. 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

Eva Kalias, Vio Consult
Telefon +41 78 671 98 86
kalias@vioconsult.com

**Santheras Raxone[®] als Promising Innovative Medicine (PIM) und geeigneter Kandidat
für weitere Prüfung im Rahmen des UK Early Access to Medicines Scheme (EAMS)
zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie anerkannt**

23. Dezember 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.

###