

Santhera präsentiert Daten und veranstaltet Symposium zur Atmungsfunktion bei Duchenne-Muskeldystrophie an der 113. Jahreskonferenz der American Thoracic Society

Liestal, Schweiz, 16. Mai 2017 – Santhera Pharmaceuticals, ein auf die Entwicklung innovativer Medikamente zur Behandlung seltener neuromuskulärer und mitochondrialer Krankheiten fokussiertes Spezialitätenpharmaunternehmen, gibt die Präsentation zweier Poster mit Daten aus der positiven Phase-III-DELOS-Studie bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) an der 113. Jahreskonferenz der American Thoracic Society (ATS) in Washington D.C. bekannt.

Während der vom 19.-24. Mai 2017 stattfindenden Konferenz wird Santhera mit einem klinischen Messestand vertreten sein, um Ärzte über die neue SIDEROS-Studie zu informieren. Die SIDEROS-Studie ist eine Phase III, doppelblinde, randomisierte, Placebo-kontrollierte Studie, welche die Wirksamkeit, Sicherheit und Verträglichkeit von Idebenon auf die Verlangsamung der Abnahme der Atmungsfunktion bei DMD-Patienten untersucht. Patienten mit reduzierter Atmungsfunktion und einem beliebigen stabilen Glukokortikoid-Behandlungsschema werden zur Studie zugelassen, unabhängig von ihrer zugrundeliegenden Dystrophin-Mutation oder Gehfähigkeit. Weitere Informationen zur SIDEROS-Studie sind auf der neuen Webseite unter www.siderosdmd.com verfügbar.

Santhera wird zudem ein Symposium mit folgendem Expertenpanel unterstützen:

- **Oscar H. Mayer**, MD, Associate Professor of Clinical Pediatrics Perelman School of Medicine at the University of Pennsylvania, Division of Pulmonary Medicine Medical Director, Pulmonary Function Testing Laboratory The Children's Hospital of Philadelphia
- **Erik Henricson**, PhD, MPH, Assistant Professor Associate Director for Clinical Research UC Davis Department of Physical Medicine & Rehabilitation Neuromuscular Research Center
- **Hemant Sawhani**, MD, Associate Professor, Division of Pulmonary Medicine, Section of Sleep Medicine Comprehensive Neuromuscular Program Cincinnati Children's Hospital Medical Center

Zu den Themen dieses Symposiums gehören die Pathophysiologie von DMD und Daten zur Bedeutung des Erhalts der Atmungsfunktion bei DMD.

"Santhera freut sich über die Gelegenheit, unseren Fokus bei der Erforschung der Atmungsfunktionsverringern bei DMD-Patienten anlässlich der diesjährigen ATS-Konferenz zu präsentieren", sagte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. "Die Abnahme der Atmungsfunktion ist eine ernsthafte medizinische Komplikation bei Patienten mit DMD. Allerdings wird dies vor allem in der frühen Phase der Krankheit oft übersehen. Unsere Placebo-kontrollierte Phase-III-DELOS-Studie bei 10 bis 18 Jahre alten Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion welche nicht mit Steroiden

Santhera präsentiert Daten und veranstaltet Symposium zur Atmungsfunktion bei Duchenne-Muskeldystrophie an der 113. Jahreskonferenz der American Thoracic Society

16. Mai 2017 / Seite 2 von 4

behandelt wurden, erreichte den primären Endpunkt und zeigte, dass Idebenon den Atmungsfunktionsverlust verlangsamt. Santhera ist stolz darauf, in diesem wichtigen Aspekt der DMD-Forschung führend zu sein."

Details zu den Veranstaltungen

Symposium (non-CME)

Datum: Dienstag, 23. Mai, 18:30 - 21:30 Uhr

Ort: Constitution Ballroom C-E (Constitution Level 3B)

Titel: Duchenne Muscular Dystrophy (DMD): Importance of Preserving Pulmonary Function and Impact of Idebenone (An Investigational Treatment) in Boys with DMD

Referenten: Oscar H. Mayer, MD; Erik Henricson, PhD, MPH; Hemant Sawnani, MD

Über: Wir laden Sie ein, unsere informative und interaktive Veranstaltung zu Duchenne-Muskeldystrophie (DMD), eine der häufigsten und schwersten Arten von Muskelschwund, zu besuchen. Dieses Expertengremium wird die Pathophysiologie von DMD, Daten zum natürlichen Krankheitsverlauf von DMD sowie Daten zur Bedeutung des Erhalts der Atmungsfunktion bei DMD erörtern.

Posters mit Daten der Phase-III-Studie DELOS

Datum: 22. Mai, 9:15 - 16:15 Uhr

Session: B69 - WHEN KIDS CANNOT SLEEP (OR BREATHE)

Titel: A4125 - Correlation Between Volume- and Flow-Related Pulmonary Function Outcomes in Patients with DMD

Ort: Walter E. Washington Convention Center, Area F, Hall B-C

Bezeichnung: Thematic Poster Session; **Posterwand:** P676

Autoren: O. H. Mayer, MD; E. Henricson, PhD; M. Leinonen, MS; J. Karafilidis, PharmD; C. McDonald, MD; G. Buyse, MD, PhD

Datum: 23. Mai, 14:15 - 16:15 Uhr

Session: C105 - DISORDERS OF RESPIRATORY PHYSIOLOGY AND SLEEP IN CHILDREN

Titel: A6875 - Effect of Idebenone on Bronchopulmonary Adverse Events and Hospitalizations in Patients with Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)

Ort: Walter E. Washington Convention Center, Room 201 (South Building, Level 2)

Bezeichnung: Poster Discussion Session; **Posterwand:** 502

Autoren: O. H. Mayer, MD; C. McDonald, MD; T. Meier, PhD; M. Leinonen, MS; G. Buyse, MD, PhD

Über die SIDEROS-Studie

SIDEROS ist eine Phase-III, doppelblinde, randomisierte, Plazebo-kontrollierte Studie mit Idebenon bei 266 DMD-Patienten, welche gleichzeitig mit Glukokortikoiden behandelt werden. Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion unter stabiler Behandlung mit Glukokortikoiden können, unabhängig von der zugrundeliegenden Dystrophin-Mutation oder Gehfähigkeit, in die Studie aufgenommen werden. Die Studienteilnehmer erhalten entweder Idebenon (900 mg/Tag; Einnahme von zwei Tabletten drei Mal täglich mit den Mahlzeiten) oder Plazebo während 78 Wochen (18 Monaten). Der

Santhera präsentiert Daten und veranstaltet Symposium zur Atmungsfunktion bei Duchenne-Muskeldystrophie an der 113. Jahreskonferenz der American Thoracic Society

16. Mai 2017 / Seite 3 von 4

primäre Endpunkt der Studie ist die Veränderung der forcierten Vitalkapazität (Forced Vital Capacity % predicted, FVC%p) vom Ausgangswert bis Woche 78. Sekundäre Endpunkte sind unter anderem Veränderungen der maximalen expiratorischen Atemflussrate (Peak Expiratory Flow % predicted, PEF%p), die Dauer bis zur erstmaligen 10-prozentigen Abnahme der FVC und die Veränderung des inspiratorischen Reservevolumens vom Ausgangswert. Patienten, welche die Studie zu Ende führen, können an einer offenen Anschluss-Studie teilnehmen, bei der alle Patienten Idebenon erhalten. Die Studie wird in 63 Zentren in den USA, Europa und Israel durchgeführt. Weitere Informationen zur Studie sind verfügbar unter www.clinicaltrials.gov und www.siderosdmd.com.

Über Duchenne-Muskeldystrophie

Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine der am weitesten verbreiteten und schwerwiegendsten Formen von rasch fortschreitendem Muskelschwund. DMD ist eine genetische, degenerative Erkrankung, die fast ausschliesslich Knaben betrifft und weltweit mit einer Inzidenz von bis zu 1 in 3'500 männlichen Lebendgeburten auftritt.

Über Idebenon bei Duchenne-Muskeldystrophie

Charakteristisch für Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) 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.

Idebenon 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 über 52 Wochen mit 64 Patienten ohne Glukokortikoid-Begleittherapie, welche entweder Idebenon (900 mg/Tag) oder entsprechendes Plazebo erhielten. Die Studie erreichte den primären Endpunkt, eine Veränderung der maximalen expiratorischen Atemflussrate (Peak Expiratory Flow, PEF) und zeigte, dass Idebenon den Verlust der Atmungsfunktion verzögern kann. Idebenon war in der DELOS-Studie gut verträglich und die Gesamthäufigkeit von Nebenwirkungen vergleichbar zu Plazebo. Die am häufigsten beobachteten Nebenwirkungen waren Durchfall (Idebenon 25% gegenüber 12% für Plazebo), Verstopfung (Idebenon 9% gegenüber 18% für Plazebo) und Bauchschmerzen (Idebenon 9% und 9% für Plazebo).

Die statistisch signifikanten und klinisch relevanten Resultate der Phase-III-DELOS-Studie wurden veröffentlicht von Buyse et al., *The Lancet* 2015, 385:1748-1757; McDonald et al., *Neuromuscular Disorders* 2016, 26: 473-480 und Buyse et al., *Pediatric Pulmonology* 2016: <http://dx.doi.org/10.1002/ppul.23547>.

Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) und das Schweizerische Heilmittelinstitut Swissmedic prüfen derzeit einen Zulassungsantrag (Marketing Authorization Application, MAA) für Idebenon unter der Marke RAXONE® bei DMD-Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion und ohne Glukokortikoid-Begleittherapie.

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

Santhera präsentiert Daten und veranstaltet Symposium zur Atmungsfunktion bei Duchenne-Muskeldystrophie an der 113. Jahreskonferenz der American Thoracic Society

16. Mai 2017 / Seite 4 von 4

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® (Idebenon), ist in der Europäischen Union, Norwegen, Island und Liechtenstein zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) zugelassen. Für Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion und ohne Glukokortikoid-Begleittherapie 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 sind verfügbar 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

Sue Schneidhorst, Head Group Communications

Telefon +41 61 906 89 26

sue.schneidhorst@santhera.com

Medienkontakt (deutschsprachige Länder)

Eva Kalias, Vio Consult

Telefon +41 78 671 98 86

kalias@vioconsult.com

Disclaimer / Forward-looking statements

Diese Mitteilung stellt weder ein Angebot noch eine Aufforderung zur Zeichnung oder zum Kauf von Wertpapieren der Santhera Pharmaceuticals Holding AG dar. Diese Publikation kann bestimmte zukunftsgerichtete Aussagen über das Unternehmen und seine Geschäftsaktivitäten enthalten. Solche Aussagen beinhalten bestimmte Risiken, Unsicherheiten und andere Faktoren, die dazu führen können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die finanzielle Lage, der Leistungsausweis oder die Zielerreichung des Unternehmens wesentlich von den in diesen Aussagen ausgedrückten oder implizierten Erwartungen abweichen. Die Leser sollten sich daher nicht in unangemessener Weise auf diese Aussagen verlassen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit einer Vertrags- oder Investitionsentscheidung. Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung zur Aktualisierung dieser Aussagen ab.

###

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.