

Santhera informiert über den Zeitrahmen des Zulassungsantrags für Raxone® für die Indikation Duchenne-Muskeldystrophie in Europa

Liestal, Schweiz, 19. Mai 2017 – Santhera Pharmaceuticals, ein auf die Entwicklung innovativer Medikamente zur Behandlung seltener neuromuskulärer und mitochondrialer Krankheiten fokussiertes Spezialitätenpharmaunternehmen, gibt einen aktualisierten Zeitrahmen für die derzeit laufende Beurteilung ihres Erweiterungsantrags für Raxone® (Idebenon) für Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) durch den Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) bekannt.

"Wir sind in konstruktiven Gesprächen mit Vertretern des CHMP und erwarten demnächst eine Aufforderung zur Einreichung ergänzender Informationen, um die klinische Bedeutung unserer Daten weiter zu unterstützen. Wir arbeiten eng mit dem CHMP zusammen, um den Antragsprozess zügig abzuschliessen und gehen jetzt von einem Entscheid im dritten Quartal 2017 aus", sagte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera.

Der Antrag wurde als Typ-II-Variation zur bestehenden Marktzulassung eingereicht und stützt sich auf Daten von Santheras Phase-II-Studie (DELPHI) und der erfolgreichen Phase-III-Studie (DELOS), letztere bei Patienten ohne Glukokortikoid-Begleittherapie. Diese Daten wiesen einen statistisch signifikanten und klinisch relevanten Nutzen von Raxone auf den Erhalt der Atmungsfunktion gegenüber Plazebo nach. Die Resultate wurden zudem durch eine Studie zum natürlichen Krankheitsverlauf erhärtet, die zeigte, dass der mit Raxone-Behandlung beobachtete Krankheitsverlauf beim natürlichen Fortschreiten der Erkrankung nicht zu erwarten gewesen wäre.

Die beantragte Indikation für Raxone ist die Verlangsamung des Atmungsfunktionsverlusts bei DMD-Patienten ohne Glukokortikoid-Begleittherapie. Die Indikation schliesst Patienten mit ein, die früher mit Glukokortikoiden behandelt wurden oder bei denen diese unerwünscht, nicht verträglich oder kontraindiziert sind.

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.

**Santhera informiert über den Zeitrahmen des Zulassungsantrags für die
Indikation Duchenne-Muskeldystrophie für Raxone® in Europa**

19. Mai 2017 / Seite 2 von 3

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 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* 2017, 52:580-515.

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

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.

**Santhera informiert über den Zeitrahmen des Zulassungsantrags für die
Indikation Duchenne-Muskeldystrophie für Raxone® in Europa**

19. Mai 2017 / 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

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.

#