

Santheras Raxone® erhält erste positive Scientific Opinion von der britischen Arzneimittelbehörde MHRA für Duchenne-Muskeldystrophie

Liestal, Schweiz, 22. Juni 2017 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass die britische Arzneimittelbehörde MHRA (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency) im Rahmen des Early Access to Medicines Scheme (EAMS) eine positive wissenschaftliche Beurteilung für Raxone® (Idebenon) abgegeben hat. Die jetzt erteilte Beurteilung betrifft die Behandlung von Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) und abnehmender Atmungsfunktion ohne Glukokortikoid-Begleittherapie.

Das Early Access to Medicines Scheme 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.¹ Mit dem MHRA-Entscheid kann Raxone, ein Entwicklungspräparat, dessen Marktzulassung für DMD gegenwärtig durch die Europäische Arzneimittelbehörde (European Medicines Agency, EMA) geprüft wird, DMD-Patienten verschrieben werden, sofern sie bestimmte Einschlusskriterien erfüllen.

Im Rahmen des EAMS, und wie im öffentlichen Beurteilungsbericht² dargelegt, kann Raxone eingesetzt werden, um den Atmungsfunktionsverlust bei DMD-Patienten zu verlangsamen, welche mindestens 10 Jahre alt sind und gleichzeitig keine Glukokortikoide einnehmen. Die Abnahme der Atmungsfunktion muss vor Beginn der Therapie durch wiederholte Messung nachgewiesen werden. Raxone kann bei Patienten verwendet werden, die früher mit Glukokortikoiden behandelt wurden oder bei denen diese nicht verträglich oder nicht angezeigt sind.

“Wir sind stolz auf die positive wissenschaftliche EAMS-Beurteilung zu Raxone in Grossbritannien. Damit ist unser Medikament das erste zur Behandlung von DMD, welches als Promising Innovative Medicine ausgezeichnet ist”, sagte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. “Dieser Entscheid ermöglicht es Patienten mit DMD eine Behandlung des Atmungsfunktionsverlusts zu erhalten, denen ansonsten keine solche Therapieoption zur Verfügung steht.”

“Das ist eine hervorragende Nachricht für Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie, die von Atmungsfunktionsverlust betroffen sind”, sagte **Janet Bloor**, Vorsitzende des Trägervereins Action Duchenne. “Der Bedarf an neuen Behandlungen für DMD ist sehr hoch und EAMS kann helfen, den Zugang für Patienten zu beschleunigen. Gerne stand Action Duchenne bei der Entwicklung des EAMS-Programms beratend zur Seite und freut sich sehr über diese für DMD erste positive Beurteilung.”

**Santheras Raxone® erhält erste positive Scientific Opinion von der britischen
Arzneimittelbehörde MHRA für Duchenne-Muskeldystrophie**

22. Juni 2017 / 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. Im Rahmen des EAMS begutachtet die MHRA Nutzen und Risiken eines Arzneimittels in einer wissenschaftlichen Beurteilung (Scientific Opinion) basierend auf den bei der EAMS-Einreichung verfügbaren Daten. Die Beurteilung ist für ein Jahr gültig und kann erneuert werden. Das EAMS ist freiwillig und die Beurteilung seitens der MHRA ist kein Ersatz für das normale Zulassungsverfahren für Medikamente.

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	Christoph Rentsch, Chief Financial Officer
Telefon +41 61 906 89 64	Telefon +41 61 906 89 65
thomas.meier@santhera.com	christoph.rentsch@santhera.com

Sue Schneidhorst, Head Group Communications
Telefon +41 61 906 89 26
sue.schneidhorst@santhera.com

Medienkontakt (Anfragen deutsch)

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

Public Relations Kontakt Europa

Amber Fennell, Consilium Strategic Communications
Telefon +44 20 3709 5700
santhera@consilium-comms.com

**Santheras Raxone® erhält erste positive Scientific Opinion von der britischen
Arzneimittelbehörde MHRA für Duchenne-Muskeldystrophie**

22. Juni 2017 / Seite 3 von 3

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.

Quellen

¹ Medicines and Healthcare products Regulatory Agency Patient safety and Marketing authorisations, variations and licensing guidance. Verfügbar unter: <https://www.gov.uk/guidance/apply-for-the-early-access-to-medicines-scheme-eams> (Juni 2017)

² Öffentlicher Beurteilungsbericht. Link: <https://www.gov.uk/government/publications/early-access-to-medicines-scheme-eams-scientific-opinion-raxone-to-treat-the-decline-of-respiratory-function-in-patients-with-duchenne-muscular-dys>

#