

Santhera erhält negative Beurteilung durch das CHMP für den Antrag auf Marktzulassung für Raxone® in DMD und beabsichtigt dagegen Widerspruch einzulegen

Liestal, Schweiz, 15. September 2017 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt eine negative Beurteilung durch den Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) für den Typ-II-Erweiterungsantrag für Raxone® (Idebenon) in Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) bekannt. Santhera beabsichtigt gegen die Beurteilung Widerspruch einzulegen und eine erneute Überprüfung durch das CHMP zu beantragen.

Am Mittwoch dieser Woche fand die mündliche Anhörung von Santhera vor dem CHMP statt, um die klinische Relevanz der vorhandenen Daten in der vorgeschlagenen Indikation weiter zu erörtern. Das CHMP bezweifelte, dass die Phase-III-DELOS-Studie genügend Nachweis zur Wirksamkeit erbringt für die Bewilligung einer Typ-II-Variation der bestehenden Marktzulassung von Raxone.

„Die Beurteilung des CHMP überrascht und enttäuscht uns. Die Phase-III-DELOS-Studie erbrachte statistisch signifikante und klinisch relevante Daten, welche die Wirksamkeit von Raxone belegen. Diese betrifft die Verlangsamung des Atmungsfunktionsverlusts sowie das Verringern des Risikos von Atemwegskomplikationen und von Hospitalisierungen in DMD-Patienten ohne Glukokortikoid-Begleittherapie“, sagte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. „Für diese Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion steht zurzeit keine andere Behandlungsmöglichkeit zur Verfügung. Da wir zuversichtlich sind, dass diese Patienten von einer Behandlung mit Raxone profitieren können, planen wir, gegen diese Beurteilung Widerspruch einzulegen und eine erneute Überprüfung zu beantragen.“

Der derzeitige Antrag wurde als Typ-II-Variation zur bestehenden Marktzulassung für Leber hereditäre Optikusneuropathie (LHON) 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. Die Daten der Phase-III-DELOS-Studie wurden in mehreren medizinischen Fachartikeln veröffentlicht: Buyse et al., *The Lancet* 2015, 385:1748-1757; McDonald et al., *Neuromuscular Disorders* 2016, 26: 473-480; Buyse et al., *Pediatric Pulmonology* 2017, 52:580-515 und Mayer et al., *Journal of Neuromuscular Diseases* 2017, 4: 189-198.

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 nicht verträglich oder nicht ratsam sind.

Santhera erhält negative Beurteilung durch das CHMP für den Antrag auf Marktzulassung für Raxone® in DMD und beabsichtigt dagegen Widerspruch einzulegen

15. September 2017 / Seite 2 von 3

Über 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 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.

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, Liechtenstein und Israel zur Behandlung von Leber hereditärer Optikuser neuropathie (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:

Sue Schneidhorst, Head Group Communications

Europa: +41 61 906 89 26

USA: +1 646 586 2113

sue.schneidhorst@santhera.com

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

Santhera erhält negative Beurteilung durch das CHMP für den Antrag auf Marktzulassung für Raxone® in DMD und beabsichtigt dagegen Widerspruch einzulegen

15. September 2017 / Seite 3 von 3

Investoren:

Christoph Rentsch, Chief Financial Officer
Europa: +41 61 906 89 65
christoph.rentsch@santhera.com

Hans Vitzthum, LifeSci Advisors
USA: +1 212 915 2568
hans@lifesciadvisors.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.

###