

## **Santhera veröffentlicht vorläufige Finanzkennzahlen 2017 und informiert über die aktuelle Unternehmensentwicklung**

**Liestal, Schweiz, 29. Januar 2018 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt vorläufige, ungeprüfte Finanzkennzahlen für 2017 bekannt. Das Unternehmen steigerte seinen Nettoumsatz aus Verkäufen seines Produktes Raxone® zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) im Vorjahresvergleich um 21% auf CHF 22,9 Millionen (2016: CHF 19,0 Millionen). Zum Jahresende verfügte Santhera über frei verfügbare liquide Mittel von CHF 58,2 Millionen (31. Dezember 2016: CHF 49,8 Millionen). Nach der negativen Stellungnahme des Ausschusses für Humanarzneimittel (CHMP) zum Zulassungsantrag für Raxone bei Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) wird das Unternehmen mit der Arzneimittelbehörde und klinischen Experten zusammenarbeiten, um so rasch als möglich eine erneute Antragstellung vorzubereiten. Weitere Entwicklungsprojekte verliefen planmässig.**

### **Finanz- und Geschäftserfolge**

- 2017 erreichte der Nettoumsatz von Raxone für LHON CHF 22,9 Millionen, was einem Wachstum von 21% gegenüber Vorjahr entspricht (2016: CHF 19,0 Millionen). Die Markteinführung für Raxone in der zugelassenen Indikation schreitet planmässig voran, das Produkt wird derzeit in 20 europäischen Ländern verkauft.
- Per Ende 2017 gewährten 8 Länder in Europa eine volle Arzneimittelersatzung für Raxone bei LHON. In weiteren 12 Ländern Europas ist die Rückerstattung der Arzneimittelkosten für Raxone über spezielle Vergütungsmodelle geregelt.
- Die Vertriebsorganisation in den regionalen Länderclustern in Europa wurde weiter verstärkt, um die Vermarktung von Raxone für LHON zu unterstützen. Zudem wurde im Februar mit der Gründung einer Tochtergesellschaft im Grossraum Boston eine US-Präsenz geschaffen. Das US-Team intensiviert derzeit die Beziehungen zu Patientenorganisationen und Klinikern, unterstützt die in den USA laufenden Studien, erstellt einen Zulassungsantrag für die USA (NDA) für Raxone bei DMD und bereitet sich auf einen Markteintritt vor.
- Im Februar 2017 platzierte Santhera erfolgreich eine vorrangige unbesicherte Wandelanleihe in der Höhe von CHF 60 Millionen und einer Laufzeit bis 2022. Die Geldmittel werden primär eingesetzt für die Vermarktung von Raxone in der derzeit zugelassenen Indikation LHON, für laufende und künftige klinische Studien mit Raxone bei DMD zur Vorbereitung von Zulassungsanträgen, um die Produktpipeline voranzutreiben sowie für die Unternehmensentwicklung und weitere geschäftliche Zwecke.
- Per 31. Dezember 2017 verfügte Santhera über frei verfügbare flüssige Mittel (liquide Mittel und kurzfristige finanzielle Vermögenswerte) von CHF 58,2 Millionen (31. Dezember 2016: CHF 49,8 Millionen). Zusätzlich meldete das Unternehmen CHF 7,5 Millionen verfügbarsbeschränkte Barmittel, die für Zinszahlungen der Wandelanleihe während den ersten drei Jahren bestimmt sind.
- Das ausstehende Aktienkapital des Unternehmens belief sich zum Jahresende 2017 auf 6'288'555 Aktien.

"Wir freuen uns sehr über die gute Geschäftsentwicklung von Santhera im Jahr 2017. Gleichzeitig sind wir enttäuscht über den regulatorischen Entscheid bezüglich der Zulassung von Raxone bei DMD", kommentierte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. "Unsere Prioritäten für 2018 sind klar: im Interesse der Patienten und überzeugt vom Therapienutzen von Raxone bei DMD werden wir, in Zusammenarbeit mit klinischen Experten, Patientenorganisationen und Zulassungsbehörden, eine erneute Antragstellung vorbereiten, um Patienten, die an abnormaler Atmungsfunktion leiden und keine Glukokortikoide einnehmen können, eine Behandlung zu ermöglichen. Parallel dazu werden wir die Vermarktung von Raxone bei LHON vorantreiben und die Produktpipeline weiterentwickeln."

#### **Pipeline und regulatorische Ereignisse und Ausblick**

- Am 26. Januar 2018 gab Santhera bekannt, dass das CHMP der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) nach erfolgtem Einspruch an seinem Negativentscheid für den Zulassungsantrag von Raxone® (Idebenon) bei DMD festhielt. Das CHMP gelangte zu dem Schluss, dass eine Zulassung für Raxone bei DMD, als Typ-II-Erweiterungsantrag zur bestehenden Marktzulassung, auf der Grundlage der derzeit vorliegenden Erkenntnisse zum jetzigen Zeitpunkt nicht erteilt werden kann. Santhera beabsichtigt das klinische Datenpaket für Raxone im Hinblick auf eine erneute Einreichung eines Zulassungsantrags in Europa zu ergänzen. Angesichts des CHMP-Entscheids hat Santhera den entsprechenden Zulassungsantrag in der Schweiz, mit der Absicht einer erneuten Einreichung zu einem späteren Zeitpunkt, zurückgezogen.
- Im Juni 2017 erhielt Raxone als erstes Medikament für DMD im Rahmen des Early Access to Medicines Scheme (EAMS) eine positive wissenschaftliche Beurteilung von der britischen Arzneimittelbehörde (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency, MHRA). Der MHRA-Entscheid erlaubt DMD-Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion, die keine Glukokortikoide einnehmen und definierte Programmkriterien erfüllen, Zugang zu Raxone noch vor dessen Marktzulassung. Das Unternehmen wird mit der MHRA Rücksprache nehmen hinsichtlich der Weiterführung dieses Programms.
- Santheras randomisierte, doppelblinde, Placebo-kontrollierte Phase-III-SIDROS-Studie untersucht die Wirksamkeit von Raxone zur Verlangsamung des Atmungsfunktionsverlustes bei DMD-Patienten, welche gleichzeitig mit Glukokortikoiden behandelt werden. In 56 Zentren in Europa und den USA werden derzeit Patienten für die Studie rekrutiert. Gemäss der geplanten Studiendauer von 18 Monaten wird der Abschluss der Studie im H2 2020 erwartet. Positive Studienergebnisse würden die Verwendung von Raxone bei allen DMD-Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion und unabhängig ihres Glukokortikoid-Status unterstützen.
- Im Dezember 2017 gab Santhera die Lancierung einer Aufklärungskampagne für die DMD-Gemeinschaft in den USA bekannt. Die „Take a Breath DMD“ Kampagne, [TakeABreathDMD.com](http://TakeABreathDMD.com), unterstreicht die Bedeutung des Erhalts der Atmungsfunktion bei DMD-Patienten und stellt Patienten mit DMD, deren Familien und Betreuern, Informationen über Massnahmen zum Erhalt der Atmungsfunktion und den Umgang mit Komplikationen der Atmungsfunktion zur Verfügung.
- Die Phase I/II Studie (IPPoMS) zur Beurteilung der Verträglichkeit und Wirksamkeit von Raxone bei der Behandlung von primär progredienter Multipler Sklerose (PPMS) wurde abgeschlossen. Erste Ergebnisse dieser Studie, die in Zusammenarbeit mit dem U.S. National Institute of Neurological Disorders and Stroke (NINDS) durchgeführt wurde, werden voraussichtlich im Q1 2018 veröffentlicht.

- Die Phase I Studie (CALLISTO) zur Evaluierung der Sicherheit und Verträglichkeit von Omigapil in Patienten mit kongenitaler Muskeldystrophie (CMD) wurde ebenfalls in Zusammenarbeit mit dem NINDS durchgeführt. Die Studie ist abgeschlossen und die Bekanntgabe der Resultate ist für anfangs Q2 2018 geplant. Omigapil hat den Fast-Track-Status und einen Förderbeitrag des Office of Orphan Products Development der US Food and Drug Administration (FDA).

#### **Guidance**

- Für 2017 erwartet Santhera ein Nettoresultat von CHF -50 bis -55 Millionen.
- Für 2018 rechnet das Unternehmen mit einem Nettoumsatz aus Raxone-Verkäufen in der derzeit zugelassenen Indikation LHON von CHF 28 bis 30 Millionen.

---

#### **Telefonkonferenz:**

In der heute, 29. Januar 2018, um 14:00 Uhr CET stattfindenden Telefonkonferenz wird Thomas Meier, PhD, CEO von Santhera, die Ergebnisse erläutern. Teilnehmende sind eingeladen, eine der folgenden Telefonnummern ca. 10 Minuten vor Konferenzbeginn zu wählen. Konferenzsprache ist Englisch.

+41 58 310 50 00 (Europa)

+44 207 107 0613 (UK)

+1 631 570 5613 (USA)

#### **Kommende Anlässe:**

- Veröffentlichung des Geschäftsberichtes 2017 (englisch) am 20. März 2018 um 07:00 Uhr CET
- Ordentliche Generalversammlung der Aktionäre am 12. April 2018

---

#### **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 Optikusneuropathie (LHON) zugelassen. Santhera führt derzeit die Phase-III-SIDEROS-Studie mit Raxone® bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) und abnehmender Atmungsfunktion durch. 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](http://www.santhera.com).

*Raxone® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.*

**Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:**

[public-relations@santhera.com](mailto:public-relations@santhera.com) oder

Eva Kalias, Vio Consult

Tel.: +41 78 671 98 86

[kalias@vioconsult.com](mailto:kalias@vioconsult.com)

**Investoren:**

[investor-relations@santhera.com](mailto:investor-relations@santhera.com) oder

Christoph Rentsch, Chief Financial Officer

Europa: +41 61 906 89 65

[christoph.rentsch@santhera.com](mailto:christoph.rentsch@santhera.com)

Hans Vitzthum, LifeSci Advisors

USA: +1 212 915 2568

[hans@lifesciadvisors.com](mailto: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.

###