

## **Santhera erhält weltweite Exklusivlizenz von Polyphor zur Entwicklung und Vermarktung eines klinischen Prüfmedikaments für Mukoviszidose und andere pulmonale Erkrankungen**

Pratteln, Schweiz, 15. Februar 2018 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt die Lizenzvereinbarung mit Polyphor Ltd. für POL6014, ein klinischer Entwicklungskandidat und selektiver Inhibitor der humanen neutrophilen Elastase (hNE), bekannt. POL6014 bietet einen potenziellen Therapieansatz für Krankheiten wie Mukoviszidose (zystische Fibrose, CF) und andere neutrophile Lungenerkrankungen, darunter Non-CF-Bronchiektasie (NCFB), Alpha-1-Antitrypsin-Mangel (AATD) oder primäre ziliäre Dyskinesie (PCD).

Santhera wird die weltweite Entwicklung, Registrierung und Vermarktung von POL6014 übernehmen. Das Entwicklungsprogramm wurde durch eine finanzielle Unterstützung der Cystic Fibrosis Foundation Therapeutics Inc. (CFFT), USA, an Polyphor gefördert. Mit POL6014 erweitert Santhera seine Entwicklungspipeline auf dem Gebiet der Lungenerkrankungen, auf die sich das Unternehmen bereits bei der Entwicklung von Idebenon zur Behandlung pulmonaler Komplikationen bei Duchenne-Muskeldystrophie konzentriert.

Im Rahmen der Vereinbarung erwirbt Santhera die weltweiten, exklusiven Rechte zur Entwicklung und Kommerzialisierung von POL6014, einem innovativen makrozyklischen Elastase-Inhibitor, und dessen Analoga für eine Erstzahlung von CHF 6,5 Millionen, zahlbar in Santhera-Aktien zu einem vereinbarten Wert von CHF 27.2053 pro Aktie. Weitere Barzahlungen von bis zu CHF 121 Millionen sind an das Erreichen künftiger Entwicklungs-, Zulassungs- und vor allem Umsatzmeilensteine gebunden. Zusätzlich hat Polyphor Anspruch auf gestaffelte Lizenzgebühren aus Santheras künftigen Nettoumsatz mit POL6014 und weitere nicht genannte Meilensteinzahlungen und Lizenzgebühren, sofern Santhera die Entwicklung und den Markteintritt von POL6014 bei anderen Lungenerkrankungen vorantreibt. Santhera beabsichtigt, die für die Erstzahlung an Polyphor erforderlichen 238'924 Aktien (3,8% des derzeit ausstehenden Aktienkapitals) aus dem bestehenden genehmigten Aktienkapital zu schaffen.

"Mit der Lizenzierung von POL6014 erweitert Santhera sein klinisches Entwicklungsportfolio für seltene Krankheiten mit der Möglichkeit, dieses Präparat für mehrere pulmonale Indikationen zu entwickeln", sagte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. "Bei der Behandlung der chronischen Entzündung bei Patienten mit Mukoviszidose und anderen neutrophilen Lungenerkrankungen besteht weiterhin ein hoher medizinischer Bedarf. In einem ersten Schritt beabsichtigen wir, eine von Polyphor bereits geplante Verträglichkeitsstudie mit aufsteigenden Dosierungen (MAD) in der zweiten Jahreshälfte 2018 durchzuführen. Parallel dazu werden wir das Gespräch mit den Zulassungsbehörden in der EU und den USA über das Entwicklungsprogramm für POL6014 bei CF und anderen Indikationen aufnehmen."

### **Über POL6014**

POL6014 ist ein hochwirksamer und selektiver Inhibitor der humanen neutrophilen Elastase (hNE) und wurde nach Inhalation mit dem optimierten eFlow® Nebuliser System (PARI Pharma GmbH) in der Lunge in hoher Konzentration nachgewiesen. Eine Phase-1-Studie mit Verabreichung an gesunde Probanden sowie eine Phase-1-Studie zur Sicherheit und Verträglichkeit von ansteigenden Einzeldosierungen bei

Mukoviszidose-Patienten wurden mit POL6014 erfolgreich abgeschlossen. Das Prüfmedikament war gut verträglich, wies ein vorteilhaftes pharmakokinetisches Profil auf und zeigte eine starke Elastase-Hemmung, wie bereits zuvor in Tiermodellen. POL6014 könnte einen Therapieansatz bieten für eine Reihe von neutrophilen Lungenerkrankungen mit hohem medizinischem Bedarf wie Non-CF-Bronchiektasie, Alpha-1-Antitrypsin-Mangel oder primäre ziliäre Dyskinesie.

### **Über Mukoviszidose**

Mukoviszidose (zystische Fibrose, CF) ist eine seltene, erbliche, lebensbedrohliche und chronisch verlaufende Erkrankung, von der in den USA und Europa etwa 70'000 Patienten betroffen sind. Kennzeichnend für Mukoviszidose sind anhaltende Infektionen und chronische Entzündungen der Lunge, die im Laufe der Zeit zu einer Atmungsinsuffizienz führen. Von aktivierten oder nekrotischen Neutrophilen in der Lunge freigesetzte humane neutrophile Elastase (hNE) schädigt strukturelle, zelluläre und lösliche Bestandteile der Lungenmikroumgebung. Hohe Konzentrationen von hNE spielen eine zentrale Rolle in der Pathophysiologie der Mukoviszidose und, wie Messungen von Lungenfunktionsparametern zeigen, korrelieren mit der Schwere der Erkrankung. Es ist zu erwarten, dass eine Hemmung von hNE die Schädigung des Lungengewebes stoppt oder verlangsamt und dazu beitragen kann, die Lebensqualität von Menschen mit Mukoviszidose zu verbessern.

### **Über Santhera**

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN), ein Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, ist auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für Orphan- und andere Erkrankungen mit hohem medizinischen Bedarf fokussiert. Das Produktportfolio umfasst Arzneimittel für neuro-ophthalmologische, neuromuskuläre und pulmonale Krankheiten, die entweder in der klinischen Entwicklung sind oder bereits die Marktzulassung erhalten haben. Das am weitesten fortgeschrittene Prüfmedikament, Idebenon, ist in der klinischen Phase III zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD). Santheras Raxone® (Idebenon) ist in der Europäischen Union, Norwegen, Island, Liechtenstein und Israel zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) zugelassen und wird derzeit in 20 Ländern vermarktet. Weitere Informationen 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.

###