

Santhera gibt Resultate der am NIH durchgeführten Pilotstudie mit Idebenon bei PPMS bekannt

Pratteln, Schweiz, 5. März 2018 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass die Phase-I/II-Pilotstudie, welche am National Institutes of Health (NIH) durchgeführt wurde, das Verträglichkeitsprofil von Idebenon in einer Tagesdosis von 2'250 mg über einen zweijährigen Behandlungszeitraum bei Patienten mit primär progredienter multipler Sklerose (PPMS) bestätigt. Bei der Beurteilung der Wirksamkeit von Idebenon auf den Krankheitsverlauf wurde kein Unterschied zwischen der aktiven Behandlungsgruppe und Placebo beobachtet.

Das zum US NIH gehörende National Institute of Neurological Disorders and Stroke (NINDS) hat diese doppelblinde, Placebo-kontrollierte Phase-I/II-Studie (IPPoMS) zur Untersuchung der Verträglichkeit und therapeutischen Wirksamkeit von Idebenon bei PPMS durchgeführt. Von den insgesamt 77 randomisierten Patienten schlossen 66 (Idebenon: 33, Placebo: 33) die Studie ab, bei der auf eine einjährige Beobachtungsphase eine zweijährige Placebo-kontrollierte Behandlungsphase folgte. Zwischen den Behandlungsgruppen gab es keinen Unterschied hinsichtlich Häufigkeit und Schweregrad der Nebenwirkungen, was die gute Verträglichkeit von Idebenon auch bei der eingesetzten Tagesdosis von 2'250 mg bestätigt.

Als primärer Wirksamkeitsendpunkt für Idebenon diente die Veränderung von CombiWISE, einer Ratingskala, die vor Kurzem von **Bibiana Bielekova**, MD, und Forscherkollegen am NINDS entwickelt wurde. Eine erste Analyse der CombiWISE-Daten und weiterer klinischer Befunde und Biomarker (wie EDSS-plus, eine Skala zur Beurteilung der Krankheitsprogression, und ventrikuläre Volumenveränderungen) liessen für diese Messgrössen des Krankheitsverlaufs keinen Unterschied zwischen den Behandlungsgruppen erkennen.

"Die Langzeitstudie bei Patienten mit PPMS bestätigt das vorteilhafte Verträglichkeitsprofil von Idebenon bei einer höheren Dosis als der zurzeit zugelassenen Dosierung von Raxone® bei Leber hereditärer Optikusneuropathie", sagte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. "Wir danken dem NIH-Team für die Durchführung dieser Langzeit-Pilotstudie, die unser Verständnis über den Krankheitsverlauf und die Methoden zur Datenerhebung erweitern wird. Die neuartige CombiWISE-Skala wurde erstmals in einer klinischen Studie erfolgreich getestet. Es ist verständlich, dass in dieser sehr komplexen und kontinuierlich fortschreitenden neurologischen Erkrankung eine begrenzte Patientenzahl den Wirksamkeitsnachweis erschwert."

Über PPMS

Multiple Sklerose (MS) ist eine entzündliche und neurodegenerative Erkrankung des Zentralnervensystems, die eine Vielzahl körperlicher Symptome verursacht wie Bewegungsstörungen, Erschöpfung, Taubheits- und Kribbelgefühle, sowie Gedächtnis- und Konzentrationsschwierigkeiten. Bei MS wird die Nervenfunktion durch eine Beschädigung der äusseren Hülle der Nervenfasern (genannt Myelin) beeinträchtigt. Die primär progrediente multiple Sklerose (PPMS) ist die aggressivere der beiden MS-Formen und betrifft etwa 10-15% aller Patienten mit MS. Bei dieser Verlaufsform nimmt die körperliche

Behinderung stetig zu und symptomfreie Phasen bleiben aus. Bei der schubförmig wiederkehrenden MS (RRMS) treten die Symptome in Abständen (sog. Schüben) auf und das Fortschreiten der Krankheit bis hin zu dauerhafter Behinderung verläuft langsamer als bei PPMS. Bei PPMS verschlechtert sich die körperliche Behinderung im Laufe der Zeit ohne symptomfreie Intervalle.

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.

Raxone® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:

public-relations@santhera.com oder

Eva Kalias, Vio Consult

Tel.: +41 78 671 98 86

kalias@vioconsult.com

Investoren:

investor-relations@santhera.com oder

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.

###