

## **Britische Arzneimittelbehörde MHRA erneuert Early Access to Medicines Scheme Scientific Opinion für Santheras Raxone® (Idebenon) bei Duchenne-Muskeldystrophie**

Pratteln, Schweiz, 22. Juni 2018 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass die britische Arzneimittelbehörde MHRA (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency) die Early Access to Medicines Scheme (EAMS) Scientific Opinion für Raxone® (Idebenon) erneuert hat. Dies erlaubt die Behandlung von Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) und abnehmender Atmungsfunktion ohne Glukokortikoid-Begleitmedikation. Anlässlich der jährlichen Überprüfung hat die MHRA ihre positive wissenschaftliche Beurteilung für Raxone im Rahmen des EAMS bestätigt und das Programm für die Dauer eines weiteren Jahres erneuert.

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. Dank Einbindung in das EAMS kann das Entwicklungspräparat Raxone, dessen Zulassungsantrag von Santhera gegenwärtig für Europa und die USA vorbereitet wird, bereits jetzt DMD-Patienten verabreicht werden, sofern sie bestimmte Einschlusskriterien erfüllen.

Raxone ist seit Juni 2017 in Grossbritannien über das EAMS erhältlich. Gegenwärtig nehmen über 40 DMD-Patienten in mehreren spezialisierten DMD-Zentren in Großbritannien am EAMS teil.

„Wir freuen uns sehr über die Erneuerung des EAMS für Raxone. Es eröffnet Patienten mit DMD und abnehmender Atmungsfunktion, die ansonsten keine therapeutischen Alternativen haben, eine Behandlungsmöglichkeit“, sagte **Thomas Meier**, PhD, CEO von Santhera. „Mit der Erneuerung anerkennt die MHRA auch den hohen medizinischen Bedarf von DMD-Patienten und das positive Nutzen/Risiko-Profil von Raxone in dieser Patientenpopulation. Wir sind entschlossen, diesem dringenden medizinischen Bedarf zu entsprechen und werden Raxone auf Anfrage der behandelnden Ärzte allen Patienten in Grossbritannien zugänglich machen, die die Zulassungskriterien für das EAMS erfüllen.“

**Janet Bloor**, Vorsitzende von Action Duchenne und Mutter eines Jugendlichen mit DMD, sagte: „Wir haben viele Jahre daran gearbeitet, einen frühzeitigen Zugang zu neuen Behandlungsoptionen zu erwirken. Dies gelang erst mit Santhera, einem Unternehmen, das sich darauf konzentriert, den medizinischen Bedarf zur Behandlung des Atmungsfunktionsverlusts bei Patienten mit DMD zu decken. Zeit ist etwas, was Patienten mit DMD nicht haben und deshalb begrüsse ich die Erneuerung des EAMS, welche das MHRA nach Konsultation mit der Patientengemeinschaft beschlossen hat.“

Im Rahmen des EAMS, und wie im öffentlichen Beurteilungsbericht<sup>1</sup> dargelegt, kann Raxone als Behandlung eingesetzt werden, um den Atmungsfunktionsverlust bei DMD-Patienten zu verlangsamen, welche mindestens 10 Jahre alt sind und gleichzeitig keine Glukokortikoide einnehmen. Patienten müssen die klinischen Aufnahmekriterien für das EAMS erfüllen, einschliesslich des Nachweises eines bestehenden Atmungsfunktionsverlusts vor Beginn der Behandlung. Raxone kann Patienten verabreicht werden, die zuvor mit Glukokortikoiden behandelt wurden, oder bei denen diese nicht verträglich oder nicht angezeigt sind.

<sup>1</sup> 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>

### **Über das UK Early Access to Medicines Scheme (EAMS)**

Das 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), 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. 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 über 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, Head External Communications

Tel.: +41 79 875 27 80

[eva.kalias@santhera.com](mailto:eva.kalias@santhera.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.