

## **Santhera startet Phase-Ib/Ila-Studie mit POL6014 bei Patienten mit Mukoviszidose**

**Pratteln, Schweiz, 24. Oktober 2018 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt den Beginn einer Phase-Ib/Ila-Studie mit ansteigenden Mehrfachdosierungen (MAD) mit POL6014 bei Patienten mit Mukoviszidose (zystische Fibrose, CF) bekannt.**

POL6014, ein innovativer, hochwirksamer und selektiver Inhibitor der humanen neutrophilen Elastase (hNE), ist in der klinischen Entwicklung zur Behandlung von CF. Die Phase-Ib/Ila-MAD-Studie dient zur Beurteilung der Sicherheit, Verträglichkeit, Pharmakokinetik und Pharmakodynamik von oral inhalierten Mehrfachdosen von POL6014 bei bis zu 40 Patienten mit CF. Die Patienten werden 15 Tage lang entweder mit Placebo oder mit einer von drei ansteigenden Dosierungen von POL6014 behandelt, die einmal oder zweimal täglich verabreicht werden. Der Abschluss der an Standorten in Deutschland und Polen durchgeführten Studie wird im zweiten Halbjahr 2019 erwartet.

„Chronischen Entzündungszustände der Lunge führen zur Anreicherung von Neutrophilen im Gewebe und im Sputum der Patienten“, sagte **Marcus Mall**, MD, Professor und Leiter der Klinik für Pädiatrie mit Schwerpunkt Pneumologie und Immunologie an der Charité – Universitätsmedizin Berlin. „POL6014 bringt neue Hoffnung für Patienten mit Mukoviszidose, die trotz der Einführung verschiedener Behandlungsoptionen weiterhin an Entzündungen des Lungengewebes leiden, was ihre Erkrankung zusätzlich verschlimmert. Ich freue mich sehr, an dieser Phase-Ib/Ila-Studie mitzuarbeiten, die POL6014 als innovative Behandlungsoption weiter profilieren wird.“

„POL6014 könnte ein neuartiger Therapieansatz verschiedener Lungenerkrankungen sein, bei denen erhöhte Spiegel der neutrophilen Elastase zur Entzündung des Lungengewebes führen. Wir freuen uns, nun diese Phase-Ib/Ila-Studie bei Patienten mit CF beginnen zu können“, sagte **Kristina Sjöblom Nygren**, MD, Chief Medical Officer und Head of Development von Santhera. „Für die Entwicklung von POL6014 wird Santhera mit führenden CF-Experten sowie mit dem Therapeutics Development Network (TDN) und dem Clinical Trial Network (CTN) zusammenarbeiten.“

Santhera erwarb die weltweiten Exklusivrechte zur Entwicklung und Vermarktung von POL6014 bei CF und anderen Lungenerkrankungen von Polyphor AG. Die Cystic Fibrosis Foundation (CFF) unterstützt finanziell die Durchführung der Sicherheits- und Verträglichkeitsstudien mit POL6014.

### **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. Die Resultate der Phase-I-Studie bei Patienten mit CF wurden an der North American Cystic Fibrosis Conference (18.-20. Oktober 2018, Denver, CO, USA) präsentiert. Das Prüfmedikament war gut verträglich und zeigte Anzeichen einer

starken 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 (NCFB), Alpha-1-Antitrypsin-Mangel (AATD) oder primäre ziliäre Dyskinesie (PCD). POL6014 besitzt in der EU Orphan-Drug-Designation zur Behandlung von AATD, PCD und CF.

### **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 CFF und die Netzwerke TDN und CTN**

Die Cystic Fibrosis Foundation (CFF) ist weltweit führend bei der Suche nach einem Heilmittel, finanziert vielversprechende Forschung und setzt sich ein für den Zugang zu hochwertiger, spezialisierter Pflege und Behandlung für Menschen mit CF. [www.cff.org](http://www.cff.org). Das Therapeutics Development Network (TDN, USA) und das Clinical Trial Network (CTN, Europa) sind Netzwerke von klinischen Experten, die ein effizientes und patientenorientiertes Studiendesign, eine optimierte Durchführung klinischer Studien und qualitativ hochwertige Daten durch Zugang zu grossen und erfahrenen CF-Zentren unterstützen und so die Bereitstellung von neuen Therapien für Menschen mit Mukoviszidose fördern.

### **Über Santhera**

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN), ein Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, ist auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für seltene 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 Optikusatrophie (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.

###