

Santhera präsentiert Daten zur Langzeitwirksamkeit von Idebenon bei DMD an der 2019 MDA Clinical and Scientific Conference

Pratteln, Schweiz, 15. April 2019 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) wird, zusammen mit klinischen Experten, Resultate zur langfristigen Wirksamkeit auf den Erhalt der Atmungsfunktion bei mit Idebenon behandelten Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) an der **2019 Muscular Dystrophy Association (MDA) Clinical and Scientific Conference (Orlando, USA, 13.-17. April 2019)** präsentieren.

Die an der MDA-Konferenz präsentierten Poster zeigen übereinstimmende Langzeitdaten aus zwei randomisierten, Placebo-kontrollierten Studien mit jeweils anschliessender langfristiger Datenerhebung bei mit Idebenon behandelten Patienten (Poster #7 und #9). Darüber hinaus belegen neue Daten zum natürlichen Krankheitsverlauf, dass die Verlangsamung des Atmungsfunktionsverlustes die Zeitspanne bis zum Beginn der Beatmungsunterstützung bzw. zum Tod verlängert (Poster #11). Insgesamt unterstreichen diese Daten das langfristige Behandlungspotenzial mit Idebenon, um die Zeit bis zu klinisch relevanten Ereignissen zu verzögern.

Poster #7: “SYROS study – long-term reduction in rate of respiratory function decline in patients with Duchenne Muscular Dystrophy (DMD) treated with idebenone”

Vortragender: Oscar H Mayer, MD, pediatric pulmonologist and Director of the Pulmonary Function Laboratory at Children's Hospital of Philadelphia, USA

Poster #9: “Consistent long-term effect of idebenone in reducing respiratory function decline in advanced patients with Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)”

Vortragender: Oscar H Mayer, MD

Poster #11: “Crossing thresholds and changing rates of respiratory function decline are predictive of clinical outcomes in Duchenne Muscular Dystrophy (DMD)”

Vortragender: Craig McDonald, MD, Professor and Chair, Department of Physical Medicine & Rehabilitation and Director of Neuromuscular Disease Clinics, UC Davis Health, USA

Zeit/Ort: Montag, 15. April 2019, 18:00 – 20:00 Uhr, während der *Networking and Poster Reception* in der Exhibit Hall (Posterausstellung ganztags).

Die neuen Daten werden ebenfalls an Santheras *Industry Forum Lunch* von klinischen Experten präsentiert:

Titel: “Respiratory function decline in Duchenne muscular dystrophy: insights and evolving treatment strategies”

Vortragende: Craig McDonald, MD und Oscar H Mayer, MD

Zeit/Ort: Dienstag, 16. April 2019, 12:30 – 1:45 Uhr, Raum Florida B-C.

Im Februar gab Santhera die wichtigsten Resultate der SYROS-Studie bekannt, die zeigten, dass die Langzeitbehandlung mit Idebenon das Ausmass des Atmungsfunktionsverlusts bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) im Therapiealltag und über einen Zeitraum von bis zu 6 Jahren nachhaltig verringerte. Diese Langzeitdaten verdeutlichen das Behandlungspotenzial von Idebenon, den Verlauf des Atmungsfunktionsverlustes zu beeinflussen und dadurch die Zeitspanne bis zum Eintreten klinisch relevanter Ereignisse zu verlängern.

Die Poster können [hier](#) eingesehen werden. Zudem werden die Ergebnisse der SYROS-Studie bei einem anerkannten wissenschaftlichen Journal zur Veröffentlichung eingereicht.

Über Duchenne-Muskeldystrophie

DMD, eine der am weitesten verbreiteten und schwerwiegendsten Formen von fortschreitender Muskelschwäche und Muskelschwund, tritt bereit im frühen Kindesalter auf und führt aufgrund von Atmungsversagen zu früher Morbidität und Mortalität. DMD ist eine genetische, degenerative Erkrankung, die fast ausschliesslich Knaben betrifft und weltweit mit einer Inzidenz von bis zu 1 in 3'500 männlichen Lebendgeburten vorkommt. Charakteristisch für DMD ist der Verlust des Proteins Dystrophin, der zu Zellschädigung, gestörtem zellulärem Kalziumhaushalt, erhöhtem oxidativem Stress und verringerter zellulärer Energieproduktion in Muskelzellen führt. Die mit zunehmendem Alter fortschreitende Schwäche der Atemmuskulatur betrifft primär die Thorakalmuskulatur und das Zwerchfell. Als Folge treten wiederkehrende pulmonale Infektionen aufgrund von ineffektivem Husten und der Ansammlung von Atemwegssekreten und schliesslich Atmungsfunktionsverlust auf. Derzeit gibt es keine zugelassene Behandlung zur Verlangsamung des Atmungsfunktionsverlustes für Patienten mit DMD.

Über Idebenon bei Duchenne-Muskeldystrophie

Idebenon ist ein synthetisches Benzoquinone und Kofaktor für das zelluläre Enzym NAD(P)H:quinone oxidoreductase (NQO1). Der Wirkstoff kann den mitochondrialen Elektronentransport stimulieren, den oxidativen Stress vermindern und die zelluläre Energieversorgung verbessern.

DELOS war eine Phase-III, doppelblinde, Placebo-kontrollierte Studie über 52 Wochen mit 64 Patienten ohne Glukokortikoid-Begleittherapie, welche entweder Idebenon (900 mg/Tag) oder entsprechendes Placebo erhielten. Die Studie erreichte den primären Endpunkt, eine Veränderung der maximalen expiratorischen Atemflussrate (Peak Expiratory Flow, PEF) und zeigte, dass Idebenon den Verlust der Atmungsfunktion verzögern kann. Zusätzliche unterstützende Daten zur Wirksamkeit von Idebenone zeigte die Phase-II, doppelblinde, Placebo-kontrollierte DELPHI-Studie sowie deren 2-jährige offene Verlängerungsstudie (DELPHI-E).

SYROS war eine prospektiv geplante Erhebung von retrospektiven Langzeitdaten zur Atmungsfunktion im Praxisalltag von 18 Patienten, die die DELOS-Studie abgeschlossen hatten und anschliessend Idebenon (900 mg/Tag) im Rahmen von erweiterten Zugangsprogrammen erhielten. Diese langfristigen Daten zeigten, dass der zuvor beobachtete positive Effekt von Idebenon bei der Verringerung der Abnahme der Atmungsfunktion über einen Behandlungszeitraum bis zu 6 Jahren aufrechterhalten wurde.

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, Israel und Serbien zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) zugelassen und wird derzeit in über 20 Ländern vermarktet. Weitere Informationen sind verfügbar unter www.santhera.com.

Raxone® und Puldysa® sind eingetragene Marken von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:

public-relations@santhera.com oder

Eva Kalias, Head External Communications

Tel.: +41 79 875 27 80

eva.kalias@santhera.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.

###