

Britische Arzneimittelbehörde MHRA erneuert EAMS Scientific Opinion für Santheras Idebenon bei Duchenne-Muskeldystrophie

Pratteln, Schweiz, 24. Juni 2019 – 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 Idebenon zur Behandlung von Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) und abnehmender Atmungsfunktion, ohne Glukokortikoid-Begleitmedikation, für ein weiteres Jahr erneuert hat. Mit dieser Verlängerung bestätigte die MHRA ihre positive wissenschaftliche Beurteilung für Idebenon, für das kürzlich ein entsprechender europäischer Zulassungsantrag (MAA) eingereicht wurde.

Bei der Beantragung der EAMS-Erneuerung reichte Santhera neue Wirksamkeitsdaten (einschliesslich der Ergebnisse der Langzeitstudie SYROS) ein, die das Potenzial für eine klinisch relevante Erhaltung der Atmungsfunktion während einer Idebenon-Behandlung für bis zu sechs Jahre im Therapiealltag aufzeigen. Mit der Erneuerung des EAMS¹ hat die MHRA den Zugang zu Idebenon für DMD-Patienten mit dem dringendsten medizinischen Bedarf ermöglicht. Erst kürzlich hat Santhera einen Antrag auf bedingte Zulassung (CMA) bei der Europäischen Arzneimittelagentur (EMA) für Idebenon (unter der Marke Puldysa®) zur Behandlung von Atmungsfunktionsverlust bei DMD eingereicht.

„Wir begrüssen die EAMS-Erneuerung für Idebenon, denn sie bietet eine therapeutische Option für DMD-Patienten mit Atmungsfunktionsverlust in Grossbritannien, die sonst keine Behandlungsalternative haben“, sagte **Kristina Sjöblom Nygren, MD, Chief Medical Officer und Head of Development bei Santhera**. „Letzten Monat haben wir einen europäischen Zulassungsantrag für Idebenon bei DMD eingereicht. In diesem Zusammenhang sehen wir die MHRA-Erneuerung nicht nur als weitere Anerkennung des positiven Nutzen/Risiko-Profiles von Idebenon in dieser Patientenpopulation, sondern es trägt auch dazu bei, die Zeit bis zur Arzneimittelzulassung zu überbrücken.“

Idebenon ist seit Juni 2017 in Grossbritannien über das EAMS erhältlich. Derzeit profitieren 67 Patienten mit DMD in mehreren spezialisierten DMD-Zentren Grossbritanniens vom Zugang zu Idebenon über EAMS.

Im Rahmen des EAMS, und wie im öffentlichen Beurteilungsbericht² dargelegt, kann Idebenon 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.

¹ Annex zum öffentlichen Beurteilungsbericht (2. Erneuerung, 2019). Einsehbar unter:

https://assets.publishing.service.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/809856/AN_NEX_to_PAR_Raxone_EAMS_Second_Renewal.pdf

² Öffentlicher Beurteilungsbericht. Link:

https://assets.publishing.service.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/620862/Raxone_FINAL_Public_Assessment_Report.pdf

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. 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 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.

###