

Europäische Arzneimittelbehörde validiert Santheras Zulassungsantrag für Puldysa® bei Duchenne-Muskeldystrophie

Pratteln, Schweiz, 25. Juni 2019 - Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass die Europäische Arzneimittelbehörde (EMA) den Zulassungsantrag (Marketing Authorization Application, MAA) für Puldysa® zur Behandlung von Atmungsdysfunktion bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD), die keine Glukokortikoide verwenden, validiert hat. Mit der Validierung bestätigt die Behörde, dass der als Conditional Marketing Authorization (CMA) eingereichte Zulassungsantrag vollständig ist und das formale Prüfverfahren durch den EMA-Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) begonnen hat. Santhera erwartet um die Jahresmitte 2020 eine Stellungnahme seitens des CHMP.

„Der Beginn der CHMP-Überprüfung unseres Antrags ist ein wichtiger Meilenstein für Patienten mit DMD, die derzeit keine alternative Behandlung zur Erhaltung der Atmungsfunktion haben. Wir freuen uns auf eine enge Zusammenarbeit mit den Rapporteurs und dem CHMP während des Zulassungsverfahrens, um Puldysa den Patienten so schnell wie möglich zur Verfügung zu stellen“, sagte **Kristina Sjöblom Nygren, MD, Chief Medical Officer und Head of Development von Santhera.**

Die Antragsprüfung erfolgt nach dem zentralisierten Verfahren. Sofern die EMA den Antrag genehmigt, wird Puldysa® in allen Mitgliedsstaaten der Europäischen Union sowie in Norwegen, Liechtenstein und Island die Marktzulassung erhalten.

Die EMA hat den Orphan Drug Status für Idebenon in DMD erteilt.

Über Duchenne-Muskeldystrophie

DMD, eine der am weitesten verbreiteten und schwerwiegendsten Formen von fortschreitender Muskelschwäche und Muskelschwund, tritt bereits im frühen Kindesalter auf und führt aufgrund von Atmungsfunktionsverlust 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 Idebenon 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, welche 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.

###