

Santhera wird heute, 3. September 2019, um 13:00 MESZ, 12:00 BST, 07:00 EDT eine Telefonkonferenz durchführen. Details dazu am Ende dieser Mitteilung.

Santhera veröffentlicht Finanzergebnisse für das erste Halbjahr 2019

Pratteln, Schweiz, 3. September 2019 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt die Resultate des ersten Halbjahres per 30. Juni 2019 bekannt und informiert über die Pipeline und die strategische Ausrichtung.

Thomas Meier, PhD, Chief Executive Officer von Santhera, erklärte: „Nach einer Reihe von Transaktionen zur strategischen Neuausrichtung des Unternehmens sind wir jetzt gut positioniert, um unsere langfristige Wachstumsstrategie fortzusetzen, die sich auf Medikamente zur Behandlung von neuromuskulären und pulmonalen Erkrankungen konzentriert. Mit der Antragseinreichung auf bedingte europäische Zulassung von Puldysa® (Idebenon) zur Erhaltung der Atmungsfunktion bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) sind wir auf Kurs, unsere strategischen Ziele für 2019 zu erreichen. Mitte 2020 erwarten wir eine Stellungnahme des Ausschusses für Humanarzneimittel (CHMP) der EMA zu unserem Zulassungsantrag. Unser Ziel ist es, allen DMD-Patienten zu helfen, unabhängig von ursächlichen Mutationen, Krankheitsstadium und Alter. Wir waren daher sehr erfreut über die jüngste Veröffentlichung der positiven Ergebnisse der Phase-IIa-Verlängerungsstudie mit Vamorolone durch ReveraGen in der Fachzeitschrift *Neurology*. Zusammen mit früheren Publikationen belegen diese Daten, dass Vamorolone die Muskelfunktion bei jungen Patienten mit DMD verbessern kann, kombiniert mit einem im Vergleich zu Standard-Kortikosteroiden günstigeren Verträglichkeitsprofil.“

„Im Berichtszeitraum haben wir eine exklusive Vereinbarung mit Chiesi Group zur Auslizenzierung von Raxone® zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) für einen Gesamttransaktionswert von bis zu EUR 93 Millionen, davon EUR 44 Millionen als Vorauszahlung, bekannt gegeben. Dank der Monetarisierung dieses im Markt befindlichen Produkts haben wir unsere finanzielle Position gestärkt, um uns auf anstehende regulatorische Meilensteine und Kommerzialisierungsaktivitäten für unsere neuromuskulären und pulmonalen Produktkandidaten zu konzentrieren, die den Kern unserer langfristigen Wachstumsstrategie ausmachen.“

Wichtige Finanzkennzahlen:

- 1H-2019 Umsatz mit CHF 18,3 Millionen auf Kurs; Wachstum von 14% gegenüber 1H-2018
- Operativer Gesamtaufwand von CHF 38,2 Millionen (1H-2018: CHF 39,9 Millionen)
- Operatives Ergebnis von CHF –22,4 Millionen (1H-2018: CHF –26,3 Millionen) und Nettoergebnis von CHF –26,9 Millionen (1H-2018: CHF –27,4 Millionen)
- Liquide Mittel von CHF 43,7 Millionen (31. August 2019)
- Umsatzerwartung für das Gesamtjahr von CHF 25-27 Millionen

Überblick erstes Halbjahr

Regulatorischer Status für Puldysa in DMD

Im Juni validierte die Europäische Arzneimittelbehörde (EMA) den Antrag von Santhera auf bedingte Marktzulassung (Conditional Marketing Authorization, CMA) für Puldysa (Idebenon) zur Behandlung von Atemwegsdysfunktion bei DMD-Patienten, die keine Glukokortikoide verwenden. Der Überprüfungsprozess durch den CHMP der EMA hat begonnen und das Unternehmen erwartet eine Entscheidung seitens des CHMP um die Jahresmitte 2020. Bereits zuvor hat die britische Arzneimittelzulassungsbehörde (MHRA) im Rahmen des Early Access to Medicines Scheme (EAMS) ihr positives wissenschaftliches Gutachten für Idebenon für Patienten mit DMD und Atemfunktionsverlust, die keine Glukokortikoide einnehmen, erneuert.

Langzeitdaten mit Puldysa

Im Februar gab Santhera die Ergebnisse der SYROS-Studie bekannt, die die Langzeitwirkung von Idebenon bei der Verlangsamung des Atmungsfunktionsverlusts bei Patienten mit DMD untersuchte. Die Studie zeigte, dass die Langzeitbehandlung mit Idebenon den Erhalt der Atmungsfunktion im Therapiealltag und über einen Zeitraum von bis zu 6 Jahren nachhaltig unterstützte. Diese Langzeitdaten verdeutlichen das Potenzial von Idebenon, den Verlauf des Atmungsfunktionsverlustes positiv zu beeinflussen und die Zeitspanne bis zum Eintreten klinisch relevanter Meilensteine zu verlängern.

Starke Verkaufsentwicklung von Raxone unterstreicht die kommerzielle Kompetenz von Santhera

Der Nettoumsatz von Raxone in Europa belief sich auf CHF 18,3 Millionen (1H-2018: CHF 16,0 Millionen), was einer Steigerung von 14% gegenüber dem Vorjahr entspricht und der früheren Prognose für den ganzjährigen Produktumsatz entspricht. Im Mai gab das Unternehmen den Abschluss eines exklusiven Lizenzvertrages mit Chiesi Group für Raxone® zur Behandlung von LHON in einem Gesamttransaktionswert von bis zu EUR 93 Millionen bekannt. Mit dem Closing Ende Juli hat Santhera nun alle Rechte für die Entwicklung, Vermarktung und den Vertrieb von Raxone zur Behandlung von LHON und alle anderen potenziellen ophthalmologischen Indikationen für alle Gebiete weltweit ausser den USA und Kanada an Chiesi Group übertragen. Nach dem Closing und für eine Übergangszeit wird Santhera Chiesi Group zur Sicherstellung der reibungslosen Übergabe des Geschäfts unterstützen und Raxone für LHON in Frankreich weiter vermarkten.

Positive Studienresultate mit Vamorolone publiziert – Patientenrekrutierung in pivotale Studie läuft

Im letzten Monat wurden positive Daten der 6-monatigen Phase-IIa-Erweiterungsstudie (VBP15-003) mit Vamorolone bei DMD durch ReveraGen im Fachjournal Neurology veröffentlicht [1]. Die Daten zeigten eine dosisabhängige Verbesserung der Muskelfunktion bei mit Vamorolone behandelten DMD Patienten. Vamorolone war bis zu der getesteten Höchstdosis (6.0 mg/kg/Tag) sicher und gut verträglich. Biomarker-Messungen wiesen auf ein reduziertes Auftreten von Nebenwirkungen hin, wie sie typischerweise bei traditionellen Kortikosteroid-Medikamenten beobachtet werden. Basierend auf diesen Daten hat Vamorolone das Potenzial, Standard-Kortikosteroide, wie sie derzeit bei Patienten mit DMD eingesetzt werden, zu ersetzen.

ReveraGen rekrutiert derzeit Patienten in die zulassungsrelevante VISION-DMD Phase-IIb-Studie (VBP15-004; clinicaltrials.gov: NCT03439670) zur Bestätigung der Wirksamkeit und Verträglichkeit von Vamorolone. Die Patientenaufnahme dürfte erwartungsgemäss bis Ende 2019 abgeschlossen sein. Dementsprechend würde die 6-monatige randomisierte Placebo-kontrollierte Behandlungsperiode

Mitte 2020 enden, gefolgt von der Analyse der Daten. Die Einreichung des US-Zulassungsantrags NDA (New Drug Application) in den USA könnte gegen Ende 2020 erfolgen.

Kooperation zur Förderung der Gentherapieforschung bei seltenen neuromuskulären Erkrankungen

Santhera ist mit dem Biozentrum der Universität Basel eine Kooperation im Bereich Gentherapieforschung zur Behandlung der LAMA2-defizienten kongenitalen Muskeldystrophie (LAMA2 MD oder MDC1A) eingegangen. Die präklinische Forschungszusammenarbeit stützt sich auf frühere Erfahrungen mit Omigapil, welches kürzlich in einer Phase I Studie untersucht wurde und komplementär wirken könnte. Das Programm wird unterstützt durch Innosuisse, die Schweizerische Agentur für Innovationsförderung, welche öffentliche Fördermittel zur Innovation in der Schweiz vergibt.

Kontinuierliche Investitionen in die klinische Entwicklung

Santhera führt mehrere klinische Studien durch, darunter SIDEROS, die grösste jemals durchgeführte Studie bei Patienten mit DMD. Die SIDEROS-Studie ist derzeit zu 84% rekrutiert und wird, positive Resultate vorausgesetzt, die Grundlage bilden für die im zweiten Halbjahr 2021 geplante Einreichung eines Zulassungsantrags in den USA zur Behandlung von Patienten mit DMD, unabhängig von deren Glukokortikoid-Status. Zum leicht höheren Entwicklungsaufwand von CHF 19,3 Millionen (+2% gegenüber dem Vorjahr) trugen auch die Vorbereitung der MAA für Puldysa, die verbleibenden klinischen Arbeiten für Raxone nach erfolgter Zulassung bei LHON und die verstärkten klinischen Entwicklungsarbeiten mit POL6014 bei. Insgesamt sank der operative Geschäftsaufwand leicht (–4%), was auf niedrigere Aufwendungen für kommerzielle Aktivitäten (–10%) zurückzuführen war.

Liquiditätsbasis ermöglicht planmässige Fortführung der Strategie.

Im April nahm Santhera durch die Platzierung von 500'000 Aktien CHF 7,1 Millionen auf. Per Ende Juni 2019 verfügte Santhera über liquide Mittel von CHF 12,7 Millionen (31. Dezember 2018: CHF 22,0 Millionen). Zusammen mit dem Nettoerlös aus der ersten Zahlung von Chiesi Group nach Abschluss der Lizenzierungstransaktion beliefen sich die liquiden Mittel auf CHF 43,7 Millionen (31. August 2019), so dass das Unternehmen sein klinisches Studienprogramm und seine Zulassungsanträge wie beabsichtigt fortsetzen kann.

Ausblick und Umsatzerwartung

Basierend auf dem Leistungsausweis des ersten Halbjahrs 2019 rechnet das Unternehmen damit, im Jahr 2019 einen Jahresumsatz mit Raxone in der derzeit zugelassenen Indikation LHON von CHF 25-27 Millionen zu erzielen, wobei berücksichtigt ist, dass Chiesi Group ab August den kommerziellen Vertrieb für Raxone in allen europäischen Ländern mit Ausnahme von Frankreich übernommen hat. Die Prioritäten für 2019 sind die Vorbereitung des europäischen Markteintritts von Puldysa bei DMD im Jahr 2020, der Abschluss der Patientenrekrutierung für die DMD-SIDEROS-Studie zur Unterstützung der geplanten US-Einreichung von Puldysa bei DMD sowie die Weiterentwicklung der anderen Pipeline-Kandidaten in der klinischen Phase, insbesondere von Vamorolone und POL6014.

Literaturverweise:

[1] Hoffman EP et al. (2019). Vamorolone trial in Duchenne muscular dystrophy shows dose-related improvement of muscle function. *Neurology* 2019. <https://n.neurology.org/lookup/doi/10.1212/WNL.00000000000008168>

[2] <https://vision-dmd.info/>

Halbjahresbericht 2019

Der Bericht zum ersten Halbjahr 2019 von Santhera ist verfügbar auf der Unternehmenswebseite unter www.santhera.com/investors-and-media/investor-toolbox/financial-reports.

Telefonkonferenz

Santhera wird am 3. September 2019, um 13:00 MESZ, 12:00 BST, 07:00 EDT eine Telefonkonferenz durchführen. Thomas Meier, PhD, CEO von Santhera, wird die Halbjahresresultate erläutern und einen Update zur Unternehmensentwicklung geben. Teilnehmende sind eingeladen, eine der folgenden Telefonnummern 10-15 Minuten vor Konferenzbeginn zu wählen (kein Zugangscodes erforderlich). Konferenzsprache ist Englisch.

Europa: +41 58 310 50 00

GB: +44 207 107 06 13

USA: +1 631 570 56 13

2019 Halbjahresresultate

Santheras 2019 Halbjahresbericht: www.santhera.com/investors-and-media/investor-toolbox/financial-reports.

Zusammengefasste Angaben zur Erfolgsrechnung (eingeschränkt geprüft, IFRS, Halbjahr per 30. Juni, in TCHF)	1H-2019	1H-2018
Nettoumsatz	18,315	16,027
Kosten der verkauften Produkte (davon Amortisierung immaterieller Vermögenswerte: 2019 -1,519 / 2018 -1,519)	-2,557	-2,441
Entwicklung	-19,325	-18,854
Marketing und Vertrieb	-11,611	-12,921
Verwaltungs- und allgemeiner Aufwand	-7,206	-8,051
Operativer Gesamtaufwand	-38,208	-39,883
Operatives Ergebnis	-22,434	-26,297
Nettofinanzergebnis	-4,065	-961
Steuern	-401	-93
Nettoergebnis	-26,900	-27,351
(Verwässerter) Verlust pro Aktie (in CHF)	-2.47	-4.25

Zusammengefasste Angaben zur Bilanz (IFRS, in TCHF)	30. Juni 2019 (eingeschränkt geprüft)	31. Dez. 2018 (geprüft)
Liquide Mittel	12,698	21,971
Sonstiges Umlaufvermögen	25,774	21,112
Anlagevermögen	67,620	67,211
Total Aktiven	106,092	110,294
Eigenkapital	9,254	27,829
Langfristige Verbindlichkeiten	69,609	62,756
Kurzfristige Verbindlichkeiten	27,229	19,709
Total Passiven	106,092	110,294

Zusammengefasste Angaben zum Cashflow (eingeschränkt geprüft, IFRS, in TCHF)	2019	2018
Cashflow aus Geschäftstätigkeit (Halbjahr per 30. Juni)	-20,219	-22,154
Cashflow aus Investitionstätigkeit (Halbjahr per 30. Juni)	1,448	137
Cashflow aus Finanzierungstätigkeit (Halbjahr per 30. Juni)	9,465	-1,107
Liquide Mittel per 1. Januar	21,971	45,195
Liquide Mittel per 30. Juni	12,698	22,082
Nettomittelverbrauch	-9,273	-23,113

Aktienkapital (Anzahl Aktien mit Nominalwert CHF 1)	30. Juni 2019 (eingeschränkt geprüft)	31. Dez. 2018 (geprüft)
Ausgegebene Aktien	11,164,563	10,664,563
Bedingtes Kapital für Eigenkapitalrechte	687,552	687,552
Bedingtes Kapital für Wandlungsrechte	2,500,000	930,000
Autorisiertes Kapital	3,000,000	500,000

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN), ein Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, ist auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente für seltene neuromuskuläre und pulmonale Erkrankungen mit hohem medizinischen Bedarf fokussiert. Santhera baut im Bereich Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ein führendes Produktportfolio auf. Ein Antrag auf Marktzulassung für Puldysa® (Idebenon) wird gegenwärtig von der Europäischen Arzneimittelagentur geprüft. Ausserdem hat Santhera eine Lizenzoption auf das first-in-class dissoziative Steroid Vamorolone, welches derzeit in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit DMD als Ersatz von Standard-Kortikosteroiden getestet wird. Die klinische Pipeline umfasst auch POL6014 zur Behandlung von Mukoviszidose (CF) und anderen neutrophilen Lungenerkrankungen sowie Omigapil und einen explorativen Gentherapieansatz für kongenitale Muskeldystrophien. Santhera hat die Ex-Nordamerika-Rechte an seinem ersten zugelassenen Produkt, Raxone® (Idebenon), zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) an Chiesi Group lizenziert. 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

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.

###