

## **Britische Arzneimittelbehörde MHRA erneuert EAMS Scientific Opinion für Santhera's Idebenon bei Duchenne-Muskeldystrophie**

**Pratteln, Schweiz, 23. Juni 2020 – 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 EAMS-Verlängerung bestätigte die MHRA erneut ihre positive wissenschaftliche Beurteilung für Idebenon, für das derzeit ein entsprechender europäischer Zulassungsantrag (MAA) geprüft wird.**

Mit der Erneuerung des EAMS<sup>1</sup> ermöglicht die MHRA weiterhin den Zugang zu Idebenon für DMD-Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion, einer Hauptursache für erhöhte Morbidität und frühen Tod, für die es keine zugelassene Therapie gibt. Ein Antrag auf bedingte Marktzulassung (CMA) für Idebenon (unter dem Markennamen Puldysa®) zur Behandlung des Atmungsfunktionsverlustes bei DMD wird derzeit von den Behörden geprüft und Santhera erwartet eine Stellungnahme des Ausschusses für Humanarzneimittel (CHMP) im vierten Quartal 2020.

„Diese EAMS-Erneuerung für Idebenon ermöglicht eine dringend benötigte therapeutische Option für DMD-Patienten mit sich verschlechternder Atmungsfunktion, die keine Behandlungsalternative haben. Wir begrüßen die Anerkennung des positiven Nutzen-Risiko-Profiles von Idebenon in dieser Patientenpopulation durch die britische MHRA“, sagte **Kristina Sjöblom Nygren, MD, Chief Medical Officer und Head of Development von Santhera.**

Idebenon ist seit Juni 2017 in Grossbritannien über das EAMS erhältlich. Derzeit erhalten 84 Patienten mit DMD in mehreren spezialisierten DMD-Zentren Grossbritanniens Zugang zu Idebenon über EAMS.

Im Rahmen des EAMS, und wie im öffentlichen Beurteilungsbericht<sup>2</sup> dargelegt, kann Idebenon bei DMD-Patienten, welche mindestens 10 Jahre alt sind und gleichzeitig keine Glukokortikoide einnehmen, als Behandlung eingesetzt werden, um den Atmungsfunktionsverlust zu verlangsamen. Patienten müssen vor Beginn der Behandlung die klinischen Aufnahmekriterien für das EAMS erfüllen, einschliesslich des Nachweises eines bestehenden Atmungsfunktionsverlusts. Idebenon kann Patienten verabreicht werden, die zuvor mit Glukokortikoiden behandelt wurden, oder bei denen diese nicht verträglich oder nicht angezeigt sind.

<sup>1</sup> Annex zum öffentlichen Beurteilungsbericht (3. Erneuerung, 2020). Einsehbar unter:  
[https://assets.publishing.service.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment\\_data/file/893913/FINAL\\_ANNEX\\_to\\_PAR\\_Raxone\\_EAMS\\_THIRD\\_Renewal.pdf](https://assets.publishing.service.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment_data/file/893913/FINAL_ANNEX_to_PAR_Raxone_EAMS_THIRD_Renewal.pdf)

<sup>2</sup> Öffentlicher Beurteilungsbericht. Link:  
[https://assets.publishing.service.gov.uk/government/uploads/system/uploads/attachment\\_data/file/620862/Raxone\\_FINAL\\_Public\\_Assessment\\_Report.pdf](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 neuromuskuläre und pulmonale Erkrankungen mit hohem medizinischem Bedarf fokussiert. Santhera baut ein Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) Produktportfolio zur Behandlung von Patienten unabhängig von ursächlichen Mutationen, Krankheitsstadium oder Alter auf. Ein Antrag auf Marktzulassung für Puldysa® (Idebenon) wird gegenwärtig von der Europäischen Arzneimittelagentur geprüft. Ausserdem hat Santhera eine Lizenzoption auf Vamorolone, ein first-in-class entzündungshemmender Arzneimittelkandidat mit neuartigem Wirkmechanismus als Ersatz von Standard-Kortikosteroiden, welcher derzeit in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit DMD getestet wird. Die klinische Pipeline umfasst auch Lonodelestat 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](http://www.santhera.com).

*Puldysa® und Raxone® sind eingetragene Marken 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)

### **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.