

Santhera veröffentlicht Halbjahresresultate 2016 mit solidem Umsatzwachstum

Das Unternehmen baut Geschäftstätigkeit in den USA auf und verstärkt den Verwaltungsrat

Liestal, Schweiz, 6. September 2016 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) veröffentlicht die Halbjahresresultate 2016 mit solidem Umsatzwachstum. Die Verkäufe von Raxone® für Leber Hereditäre Optikusneuropathie (LHON) erreichten zum Ende der Berichtsperiode CHF 7,2 Millionen. Dazu beigetragen haben primär die Umsätze in Deutschland und Frankreich sowie in weiteren mittelgrossen Märkten. Santhera hat in Europa einen Zulassungsantrag (Marketing Authorization Application, MAA) für Raxone zur Behandlung von Duchenne Muskeldystrophie (DMD) bei Patienten ohne Glucocorticoid-Begleittherapie eingereicht. Der als Typ-II-Variation zur bestehenden Marktzulassung für LHON eingereichte Zulassungsantrag wird derzeit durch den Ausschuss für Humanarzneimittel (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) geprüft. In Kürze wird Santhera eine randomisierte, doppelblinde, Placebo-kontrollierte Phase-III-Studie (SIDEROS) beginnen, um die Wirksamkeit von Raxone bei DMD-Patienten mit gleichzeitiger Glucocorticoid-Behandlung zu untersuchen. Erfolgreiche Ergebnisse vorausgesetzt, dürften die Daten eine Erweiterung der Indikation von Raxone für alle DMD Patienten, unabhängig von der Verwendung von Glucocorticoiden, unterstützen. Santhera beabsichtigt ausserdem, mit der amerikanischen Zulassungsbehörde FDA (Food and Drug Administration), die Möglichkeit einer beschleunigten Zulassung (Accelerated Approval) für Patienten ohne Glucocorticoid-Begleittherapie weiter zu erörtern. Für diese Patientengruppe wurde ein klinisch relevanter Nutzen mit Raxone bereits nachgewiesen.

Santhera hat mit dem Aufbau der Geschäftstätigkeit in den USA unter der Führung von Todd Bazemore begonnen, der als neu ernannter Chief Operating Officer von Santhera Pharmaceuticals (USA) Inc. auch Mitglied der Geschäftsleitung von Santhera wird. Des Weiteren gibt das Unternehmen die Nominierung von Dr. Patrick Vink in den Verwaltungsrat bekannt. Patrick Vink ist eine ausgewiesene Führungskraft im Bereich Life Science mit umfangreicher Erfahrung beim Auf- und Ausbau von global tätigen pharmazeutischen Unternehmen.

Thomas Meier, PhD, Chief Executive Officer von Santhera, äussert sich positiv über die Halbjahresresultate 2016: „Das robuste Umsatzwachstum von Raxone für LHON in den ersten Ländern Europas und die Einreichung des Zulassungsantrages in Europa für DMD sind die Höhepunkte des

Santhera veröffentlicht Halbjahresresultate 2016 und informiert über die Unternehmensentwicklung

6. September 2016 / Seite 2 von 7

ersten Halbjahres. Das Umsatzwachstum von Raxone liegt etwas unter den ursprünglichen Erwartungen auf Grund der komplexen Preisfindungs- und Rückerstattungsprozesse in verschiedenen EU Ländern. Wir erwarten jedoch entsprechende Entscheide in den kommenden Monaten, was zur weiteren Steigerung der Verkäufe von Raxone führen dürfte. Während wir auf den Bescheid zu unserem Zulassungsantrag für DMD warten, sind wir derzeit bereits aktiv dabei, den Markteintritt vorzubereiten.“

Aufbau der Geschäftstätigkeit in den USA – Ernennung von Todd Bazemore als Chief Operating Officer für Santhera Pharmaceuticals U.S. und Mitglied der Santhera Geschäftsleitung

Santhera baut ihre Geschäftstätigkeit in den USA in der Region Boston auf und gibt die Ernennung von **Todd Bazemore** als Chief Operating Officer von Santhera Pharmaceuticals (USA) Inc. bekannt. Als Führungskraft mit 22 Jahren Erfahrung in der Produkt lancierung und Markenbildung von biopharmazeutischen Produkten, hat er massgeblich zum kommerziellen Erfolg einer Reihe von Medikamenten in verschiedenen Therapiegebieten beigetragen, von sehr seltenen bis zu weit verbreiteten Krankheiten. Vor seinem Eintritt zu Santhera war Todd Bazemore EVP & Commercial Officer bei Dyax Corp. und verantwortlich für die weltweite Vermarktungsstrategie sowie Leiter aller kommerziellen Funktionen. Im Januar dieses Jahres wurde Dyax von Shire plc übernommen. Die US Niederlassung von Santhera wird sich anfänglich personell auf die Funktionen Regulatory und Medical Affairs konzentrieren und die Umsetzung der klinischen Programme und die Zusammenarbeit mit Patientenorganisationen unterstützen sowie die kommerzielle Strategie für den Markteintritt in DMD erarbeiten.

„Der US Markt ist ein bedeutender Faktor für die langfristige Bewertung von Santhera“, kommentierte **Thomas Meier**. „Der Aufbau unserer operativen Tätigkeiten in den USA zum jetzigen Zeitpunkt ist ein wichtiger Schritt für unser Unternehmen, insbesondere im Hinblick auf die geplante weitere Interaktion mit der FDA bezüglich einer beschleunigten Zulassung von Raxone für DMD. Todds beeindruckender Leistungsausweis in der strategischen Führung, operativen Umsetzung sowie der Einführung von Medikamenten wird bei der Strategieentwicklung für den US Markteintritt von grosser Bedeutung sein. In dieser wichtigen Funktion wird Todd Mitglied der Geschäftsleitung von Santhera.“

Erweiterung des Verwaltungsrats

Santhera beabsichtigt, seinen Verwaltungsrat mit der Nominierung von Dr. Patrick Vink zu erweitern. Patrick Vink ist Mediziner und eine ausgewiesene Führungskraft aus der Life-Science-Branche mit nachweislichen Erfolgen beim Auf- und Ausbau globaler Unternehmen. Aus seiner Tätigkeit als Geschäftsleitungsmitglied verschiedener Europäischer und US Unternehmen bringt er eine fundierte Erfahrung mit im Umgang mit wichtigen Interessengruppen, wie Investoren, der Finanzbranche und Behörden. In seiner letzten operativen Funktion war er Executive Vice President und Chief Operating Officer bei Cubist Pharmaceuticals. Mit sofortiger Wirkung agiert Patrick Vink als Berater des Verwaltungsrates und wird der Generalversammlung 2017 zur Wahl als neues Verwaltungsratsmitglied vorgeschlagen.

Zur Erweiterung des Verwaltungsrates sagte **Martin Gertsch**, Verwaltungsratspräsident von Santhera: „Ich bin sehr erfreut über die Nominierung von Patrick Vink in unseren Verwaltungsrat.

Patricks beeindruckende Erfolgsbilanz beim Ausbau globaler Life-Science-Unternehmen und seine strategische Führungsstärke sind eine gute Ergänzung der Expertise der bestehenden Verwaltungsratsmitglieder.“

Finanzielle Eckdaten im ersten Halbjahr

- **Beschleunigtes Umsatzwachstum dank steigenden Verkaufszahlen für Raxone**
In den ersten sechs Monaten 2016 stieg der Nettoumsatz von Raxone an LHON-Patienten hauptsächlich durch höhere Verkäufe in Deutschland und Frankreich auf CHF 7,2 Millionen (1H 2015: CHF 1,5 Millionen; 2H 2015: CHF 2,8 Millionen).
- **Höherer operativer Aufwand als Folge verstärkter kommerzieller und klinischer Aktivitäten**
Der operative Gesamtaufwand im ersten Halbjahr belief sich auf CHF 22,6 Millionen (1H 2015: CHF 7,5 Millionen). Die Vorbereitung der Zulassungsanträge für DMD in Europa und den USA sowie die Durchführung von klinischen Studien führten zu höheren Entwicklungskosten von CHF 8,1 Millionen (1H 2015: CHF 2,9 Millionen). Die Marketing- und Vertriebskosten stiegen auf CHF 8,9 Millionen (1H 2015: CHF 1,5 Millionen) und der Verwaltungs- und allgemeine Aufwand (G&A) auf CHF 5,5 Millionen (1H 2015: CHF 3,1 Millionen). Dieser Mehraufwand steht im Zusammenhang mit der Expansion von Santheras operativen Aktivitäten, vor allem im kommerziellen Bereich, der laufenden Markteinführung von Raxone für LHON in Europa und den Markteintrittsvorbereitungen für Raxone bei DMD. Insgesamt stieg der operative Verlust auf CHF 17,2 Millionen (1H 2015: CHF –6,2 Millionen) und führte zu einem Nettoergebnis von CHF –18,0 Millionen (1H 2015: CHF –6,4 Millionen).
- **Solide finanzielle Basis erlaubt planmässige Umsetzung der Markt- und Entwicklungsstrategien**
Per 30. Juni 2016 verfügte Santhera über liquide Mittel von CHF 63,6 Millionen (31. Dezember 2015: CHF 76,9 Millionen). Der Nettomittelverbrauch im ersten Halbjahr 2016 belief sich auf CHF –13,3 Millionen.

Highlights im ersten Halbjahr

- **Gute Marktakzeptanz für Raxone bei LHON in Europa**
Bis Ende des Berichtszeitraums wurden Verkaufserlöse für Raxone primär in Deutschland und Frankreich erzielt bei einem steigenden Umsatzanteil aus weiteren mittelgrossen Märkten. Santhera erwartet Erstattungsentscheidungen seitens verschiedener europäischer Behörden im zweiten Halbjahr 2016 und anfangs 2017.
- **Erster “Duchenne Pulmonary Outcomes Workshop” unterstrich Bedeutung von pulmonalem Nutzen für Patienten mit DMD**
Im April 2016 nahm Santhera am “Duchenne Pulmonary Outcomes Workshop” teil, der organisiert wurde von Parent Project Muscular Dystrophy (PPMD), der führenden Interessenorganisation in den USA im Kampf gegen DMD. Am Workshop kamen Experten aus Forschung und der klinischen Betreuung von DMD-Patienten zusammen, um etablierte und neue Methoden zur Messung und Beurteilung der Atmungsfunktion zu erörtern. Santhera präsentierte Daten aus ihrer Phase-III-Studie DELOS, welche eine klinisch relevante Wirksamkeit von Raxone

(Idebenone) beim Erhalt der Atmungsfunktion zeigte, einem bedeutenden Therapieziel bei DMD. Bereits zuvor unterstrich eine von PPMD durchgeführte Studie bei DMD-Patienten und deren Betreuungspersonen die grosse Bedeutung von Behandlungsmöglichkeiten für Komplikationen bei der Atmungsfunktion.

- **Zulassungsantrag für DMD in Europa eingereicht**

Im Mai 2016 hat Santhera bei der Europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) einen Zulassungsantrag für Raxone (Idebenone) zur Behandlung von DMD bei Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion und ohne Glucocorticoid-Begleittherapie eingereicht. Die neue Indikation wurde als Typ-II-Variation der Marktzulassung für Raxone eingereicht, die das Unternehmen im vergangenen Jahr erhalten hat. Kurz darauf, am 21. Juni, validierte die EMA Santheras Zulassungsantrag und bestätigte damit, dass der Antrag vollständig ist und das Prüfverfahren durch den Ausschuss für Humanarzneimittel (Committee for Medicinal Products for Human Use, CHMP) begonnen hat.

- **Zulassungsstrategie für DMD in den USA**

Im Juli 2016 berichtete Santhera über eine Stellungnahme der FDA zur vorgeschlagenen Möglichkeit einer Zulassung unter dem sogenannten „Subpart-H“ Verfahren und die Anforderung seitens der Behörde nach einer zweiten Phase-III-Studie. Diese zusätzlichen Daten sollen zum Zeitpunkt der Einreichung des Zulassungsantrags vorgelegt werden, um die Behandlung von DMD-Patienten unabhängig von einer Glucocorticoid-Begleittherapie zu unterstützen. Die FDA bestätigte, dass positive Resultate der geplanten SIDEROS-Studie, zusammen mit den Resultaten der vorangehenden Studien, die notwendigen Wirksamkeitsdaten für einen solchen Zulassungsantrag bei DMD-Patienten ungeachtet deren Glucocorticoid-Begleittherapie erbringen können. In enger Zusammenarbeit mit DMD-Patientenvertretern und klinischen Experten wird Santhera das Gespräch mit der FDA suchen, um die Möglichkeit einer beschleunigten Zulassung für Patienten zu erörtern, die keine Glucocorticoide einnehmen und bei denen ein klinisch relevanter Nutzen bereits nachgewiesen worden ist.

- **Wirksamkeit von Raxone auf bronchopulmonale Komplikationen bei DMD in *Neuromuscular Disorders* publiziert**

Im Juni wurden zusätzliche Daten der zulassungsrelevanten Phase-III-Studie (DELOS) im Journal *Neuromuscular Disorders*, dem offiziellen Fachjournal der World Muscle Society, publiziert (McDonald et al., *Neuromuscular Disorders* 2016, 26: 473–480). Diese Daten zeigen, dass mit Raxone behandelte DMD-Patienten einem geringeren Risiko für bronchopulmonale Komplikationen unterliegen, weniger häufig wegen solcher Komplikationen hospitalisiert wurden und einen geringeren Bedarf an systemischer Behandlung mit Antibiotika haben als Patienten in der Placebo-Gruppe.

- **Fast-Track-Status für Omigapil in den USA – CALLISTO Studie auf Kurs**

Im Mai hat die US-amerikanische Gesundheitsbehörde FDA Santhera's Omigapil den Fast-Track-Status zur Behandlung von kongenitaler Muskeldystrophie (CMD) zuerkannt. Bereits früher erhielt Omigapil den Orphan-Drug-Status für CMD in der EU und den USA. In Zusammenarbeit mit den US National Institutes of Health (NIH) führt Santhera derzeit eine

Santhera veröffentlicht Halbjahresresultate 2016 und informiert über die Unternehmensentwicklung

6. September 2016 / Seite 5 von 7

Phase-I-Studie mit Omigapil (CALLISTO) bei CMD-Patienten durch. CALLISTO untersucht die Pharmakokinetik, Sicherheit und Verträglichkeit von Omigapil bei gehfähigen und nicht mehr gehfähigen Kindern mit CMD. Am 30. August gab Santhera bekannt, dass das FDA-Office of Orphan Products Development (OOPD, Abteilung für die Entwicklung von Produkten für seltene Krankheiten) Santhera einen Förderzuschuss von USD 246'000 zur Unterstützung der laufenden CALLISTO Studie zuerkannt hat.

- **Baldiger Start der SIDEROS Studie mit Raxone bei DMD-Patienten mit Glucocorticoid-Begleittherapie**

In Kürze wird der erste Patient in Santheras randomisierte, doppelblinde, Plazebo-kontrollierte Phase-III-Studie SIDEROS aufgenommen. Die Studie soll die Wirksamkeit von Raxone bei Patienten, die trotz fortlaufender Behandlung mit Glucocorticoiden eine Abnahme der Atmungsfunktion erleiden, bestätigen. Diese Patientengruppe war nicht Teil der positiven Phase-III-Studie DELOS. Der erfolgreiche Abschluss der SIDEROS-Studie sollte die notwendigen Daten für die Behandlung aller DMD-Patienten mit Raxone liefern, unabhängig von einer allfälligen Glucocorticoid-Begleittherapie. Raxone für DMD hat die Orphan-Drug-Designation in der EU und den USA und den Fast-Track-Status in den USA.

Ausblick und Guidance

Das CHMP prüft derzeit den Europäischen Zulassungsantrag (MAA) für Raxone bei DMD und Santhera erwartet eine Antwort seitens der Aufsichtsbehörden im ersten Quartal 2017.

Im Juli 2016 informierte die FDA Santhera, dass eine positiv abgeschlossene SIDEROS-Studie, zusammen mit den Resultaten der erfolgreichen Phase-III-Studie DELOS, die notwendigen Wirksamkeitsdaten für einen Zulassungsantrag bei allen DMD-Patienten, unabhängig von einer allfälligen Glucocorticoid-Begleittherapie, erbringen kann. Im Interesse der Patienten und da die Wirksamkeit von Raxone bei Patienten ohne gleichzeitige Glucocorticoid-Begleittherapie bereits nachgewiesen wurde, beabsichtigt Santhera die Möglichkeit einer beschleunigten Zulassung für diese spezifische Patientengruppe mit der FDA weiter zu erörtern.

Für das Jahr 2016 erwartet Santhera einen Nettoumsatz mit Raxone von CHF 16 bis 18 Millionen.

**Santhera veröffentlicht Halbjahresresultate 2016 und
informiert über die Unternehmensentwicklung**

6. September 2016 / Seite 6 von 7

Finanzielle Informationen zum Halbjahresergebnis 2016

Der Halbjahresbericht von Santhera mit dem eingeschränkt geprüften konsolidierten Halbjahresabschluss per 30. Juni 2016 ist abrufbar unter www.santhera.com/reports.

Zusammengefasste Angaben zur Erfolgsrechnung (eingeschränkt geprüft, IFRS, Halbjahr per 30. Juni, in TCHF)	1H 2016	1H 2015¹
Nettoumsatz	7,210	1,455
Kosten der verkauften Produkte (davon Amortisierung immaterieller Vermögenswerte: 2016 -1,519 / 2015 0)	-1,911	-159
Entwicklung	-8,101	-2,863
Marketing und Vertrieb	-8,949	-1,535
Verwaltungs- und allgemeiner Aufwand	-5,479	-3,133
Operativer Gesamtaufwand	-22,567	-7,535
Operatives Ergebnis	-17,207	-6,216
Nettofinanzergebnis	85	-162
Steuern	-849	-2
Nettoergebnis	-17,971	-6,380
(Verwässerter) Verlust pro Aktie (in CHF)	-2.87	-1.28

Zusammengefasste Angaben zur Bilanz (IFRS, in TCHF)	30. Juni 2016 (eingeschränkt geprüft)	31. Dez. 2016¹ (geprüft)
Liquide Mittel	63,564	76,859
Anlagevermögen	31,015	33,208
Sonstiges Umlaufvermögen	10,301	7,085
Total Aktiven	104,880	117,152
Eigenkapital	89,190	106,247
Langfristige Verbindlichkeiten	5,601	3,957
Kurzfristige Verbindlichkeiten	10,089	6,948
Total Passiven	104,880	117,152

Zusammengefasste Angaben zum Cashflow (eingeschränkt geprüft, IFRS, in TCHF)	2016	2015¹
Operativer Cashflow (Halbjahr per 30. Juni)	-13,338	-7,167
Liquide Mittel per 1. Januar	76,859	17,435
Liquide Mittel per 30. Juni	63,564	10,476
Nettomittelverbrauch	-13,295	-6,959

Aktienkapital (Anzahl Aktien mit Nominalwert CHF 1)	30. Juni 2016 (eingeschränkt geprüft)	31. Dez. 2015¹ (geprüft)
Ausgegebene Aktien	6,274,598	6,262,798
Bedingtes Kapital für Mitarbeiteroptionen	538,200	401,694
Bedingtes Kapital für Options- und Umwandlungsrechte	650,000	650,000
Autorisiertes Kapital	1,500,000	910,000

¹ Einige Beträge wurden im Vergleich zum Halbjahresbericht 2015 angepasst. Weitere Details im Zusammenhang mit der Art der Korrekturen sind im Geschäftsbericht 2015 aufgeführt (Note 2 "Correction of errors").

Santhera veröffentlicht Halbjahresresultate 2016 und informiert über die Unternehmensentwicklung

6. September 2016 / Seite 7 von 7

Telefonkonferenz für Investoren und Analysten

Santhera wird am 6. September 2016 um 17:00 Uhr CET eine Telefonkonferenz für Investoren durchführen. Thomas Meier, PhD, CEO von Santhera, wird die Halbjahresergebnisse und neusten Entwicklungen des Unternehmens kommentieren.

Teilnehmer werden gebeten, sich 10-15 Minuten vor Beginn der Telefonkonferenz unter einer der folgenden Nummern einzuwählen (Zugangscode nicht erforderlich):

+41 (0)58 310 50 00 (Europa)

+44 (0)203 059 58 62 (UK)

+1 (1)631 570 5613 (USA)

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein auf die Entwicklung und Vermarktung innovativer Medikamente zur Behandlung seltener neuromuskulärer und mitochondrialer Krankheiten fokussiertes Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen. Das erste Produkt von Santhera, Raxone, ist in der Europäischen Union, Norwegen, Island und Liechtenstein zur Behandlung von Leber Hereditärer Optikusneuropathie (LHON) zugelassen. Für Duchenne-Muskeldystrophie (DMD), die zweite Indikation für Raxone, hat Santhera in der Europäischen Union einen Antrag auf Marktzulassung gestellt. In Zusammenarbeit mit dem US National Institute of Neurological Disorders and Stroke (NINDS) entwickelt Santhera Raxone in einer dritten Indikation, primär progredienter Multipler Sklerose (PPMS), sowie Omigapil für Patienten mit kongenitaler Muskel-dystrophie (CMD). Für alle diese Krankheiten besteht ein sehr hoher medizinischer Bedarf. Weitere Informationen zu Santhera finden Sie unter www.santhera.com.

Raxone® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:

Thomas Meier, PhD, Chief Executive Officer

Telefon +41 61 906 89 64

thomas.meier@santhera.com

Christoph Rentsch, Chief Financial Officer

Telefon +41 61 906 89 65

christoph.rentsch@santhera.com

Medienkontakt

Daniel Piller, Head Communications

Phone +41 61 906 89 26

daniel.piller@santhera.com

Disclaimer / Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Pressemitteilung kann gewisse in die Zukunft gerichtete Aussagen über Santhera und ihre Geschäftsaktivitäten enthalten. Solche Aussagen beinhalten gewisse Risiken, Unsicherheiten und andere Faktoren, die zur Folge haben können, dass tatsächlich erzielte Geschäftsergebnisse, die finanzielle Verfassung, die Leistungsfähigkeit und die Zielerreichung wesentlich von dem abweichen, was in solchen Aussagen implizit oder explizit erwähnt ist. Leserinnen und Leser sollten diesen Aussagen daher kein übermässiges Gewicht beimessen; dies ganz besonders nicht im Zusammenhang mit Verträgen oder Investitionsentscheidungen. Santhera übernimmt keine Verpflichtung, diese in die Zukunft gerichteten Aussagen zu aktualisieren.

###