

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

Santhera stellt Phase-3-Studie SIDEROS und Entwicklung von Puldysa® bei Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ein und setzt Fokus auf Vamorolone

Pratteln, Schweiz, 6. Oktober 2020 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt die Beendigung der Phase-3-Studie SIDEROS mit Puldysa® (Idebenon) bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) und abnehmender Atmungsfunktion, die gleichzeitig mit Glukokortikoiden behandelt werden, bekannt. Daten aus einer Interimsanalyse, die vom unabhängigen Data and Safety Monitoring Board (DSMB) durchgeführt wurde, wiesen darauf hin, dass die Studie ihren primären Endpunkt kaum erreichen wird. Infolgedessen wird Santhera die Studie abbrechen, den europäischen Zulassungsantrag zurückziehen und das globale Entwicklungsprogramm für Puldysa beenden. Das Unternehmen beabsichtigt, einen Restrukturierungsplan einzuleiten, der sich auf die Beibehaltung der Schlüsselfunktionen konzentriert, um den DMD-Medikamentenkandidaten Vamorolone zu Patienten zu bringen und die anderen Pipeline-Programme weiterzuführen.

Auf Basis der jetzt abgeschlossenen Interimsanalyse, bei der auf Wirksamkeit getestet wurde, hat das DSMB empfohlen, die SIDEROS-Studie wegen Vergeblichkeit abzubrechen. Die Interimsanalyse basierte auf dem primären Endpunkt der Studie, der Veränderung der forcierten Vitalkapazität (Forced Vital Capacity % predicted, FVC%p) vom Ausgangswert bis 18 Monate Behandlungsdauer. Das Ergebnis zeigte, dass die Wahrscheinlichkeit, den primären Endpunkt am Ende der Studie zu erreichen, zu gering ist, um eine Fortsetzung der Studie zu rechtfertigen. Das DSMB stellte keine Sicherheitsbedenken fest.

Santhera wird die SIDEROS-Studie (einschliesslich der Anschlussstudie) beenden und die Studienteilnehmer werden die Behandlung absetzen und die letzten Nachuntersuchungen der Studie abschliessen. Im Anschluss an die Empfehlung des DSMB wird Santhera zudem die Konsequenzen der Beendigung der SIDEROS-Studie auf die laufenden Programme mit erweitertem Zugang mit den entsprechenden Aufsichtsbehörden diskutieren.

„Wir möchten den Patienten und den Familien sowie den Prüffärzten und medizinischen Fachleuten danken, die an der SIDEROS-Studie teilgenommen haben. Ohne ihr Zutun wären wir nicht in der Lage, die DMD-Forschung voranzubringen“, sagte **Dario Eklund, Chief Executive Officer von Santhera**. „All unsere Bemühungen bei DMD werden sich nun darauf konzentrieren, den kürzlich von ReveraGen lizenzierten, vielversprechenden Medikamentenkandidaten Vamorolone zum nächsten Meilenstein voranzubringen, namentlich dem Vorliegen der 6-monatigen Topline-Daten der Zulassungsstudie VISION-DMD, die wir im zweiten Quartal 2021 erwarten.“

Im Zusammenhang mit dieser Entscheidung beabsichtigt Santhera, eine Restrukturierung des Unternehmens einzuleiten und die Geschäftstätigkeit neu auszurichten, um sich auf die Weiterentwicklung von Vamorolone für DMD, Lonodelestat für zystische Fibrose und andere Lungenkrankheiten sowie auf den gentherapeutischen Ansatz für kongenitale Muskeldystrophie im Entwicklungsstadium zu konzentrieren.

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

Telefonkonferenz

Santhera wird heute um 13:00 MESZ, 12:00 BST, 07:00 EDT eine Telefonkonferenz durchführen. Dario Eklund, CEO von Santhera, wird diese Mitteilung erläutern. Teilnehmende sind eingeladen, eine der folgenden Telefonnummern 10-15 Minuten vor Konferenzbeginn zu wählen (kein Zugangscode erforderlich). Konferenzsprache ist Englisch.

Europa: +41 58 310 50 00

GB: +44 207 107 06 13

USA: +1 631 570 56 13

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 hat eine weltweite Exklusivlizenz für alle Indikationen für Vamorolone, ein first-in-class entzündungshemmender Arzneimittelkandidat mit neuartigem Wirkmechanismus, welcher derzeit in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit DMD als Alternative zu Standard-Kortikosteroiden getestet wird. Die klinische Pipeline umfasst auch Lonodelestat (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 unter www.santhera.com.

Puldysa® und Raxone® 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.

###