

Ad-hoc-Mitteilung gemäss Art. 53 KR

Santhera wird heute um 14:30 MESZ / 13:30 BST / 08:30 EDT eine Telefonkonferenz durchführen. Details dazu am Ende dieser Mitteilung.

Santhera vergibt exklusive Nordamerika-Lizenz für Vamorolone an Catalyst Pharmaceuticals in einer Transaktion im Wert von bis zu USD 231 Millionen zuzüglich Lizenzgebühren

- Santhera erhält USD 90 Millionen bei Transaktionsabschluss (USD 75 Millionen in bar und USD 15 Millionen als Kapitalbeteiligung), zusätzlich USD 10 Millionen bei FDA-Zulassung von Vamorolone bei Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) und weitere USD 26 Millionen zur Zahlung von zulassungsbezogenen regulatorischen Meilensteinen an Dritte, sowie potenzielle Umsatzmeilensteine von bis zu USD 105 Millionen
- Die Vereinbarung umfasst die Vermarktung von Vamorolone in der Indikation DMD in Nordamerika (NA) sowie die Rechte an allen potenziellen zukünftigen Indikationen
- Catalyst wird Santhera bis zu einem tiefen zweistelligen Prozentsatz Lizenzgebühren zahlen und darüber hinaus entsprechende Lizenzverpflichtungen gegenüber Dritten auf Vamorolone-Verkäufen in NA übernehmen
- Santhera wird sich künftig auf die europäische Vermarktung von Vamorolone bei DMD und die weitere Entwicklung der klinischen Pipeline konzentrieren
- Santhera und Catalyst beabsichtigen, bei der klinischen Entwicklung und Finanzierung von Vamorolone für weitere Indikationen über DMD hinaus zusammenzuarbeiten
- Der Erlös ermöglicht die Rückzahlung aller kurzfristigen Verbindlichkeiten bei Highbridge und eine allgemeine Stärkung der Bilanz

Pratteln, Schweiz, 20. Juni 2023 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt bekannt, dass das Unternehmen eine exklusive Lizenz- und Kooperationsvereinbarung für Vamorolone in Nordamerika (NA) mit Catalyst Pharmaceuticals, Inc. (NASDAQ: CPRX), einem biopharmazeutischen Unternehmen, das sich auf die Vermarktung neuartiger Medikamente für Patienten mit seltenen Krankheiten konzentriert, unterzeichnet hat. Die Gesamtvergütung für Santhera beläuft sich auf bis zu USD 231 Millionen (einschliesslich Kapitalbeteiligung), zuzüglich Lizenzgebühren aus Produktverkäufen, mit einem kurzfristigen Bargeldzufluss von USD 126 Millionen.

Gemäss den Vertragsbedingungen gewährt Santhera die exklusiven Vermarktungsrechte für Vamorolone in Nordamerika, d.h. in den USA, Kanada und Mexiko, an Catalyst. Bei Abschluss der Transaktion erhält Santhera eine Vorabzahlung von USD 75 Millionen in bar. Zusätzlich wird Catalyst eine Kapitalbeteiligung in Höhe von USD 15 Millionen durch den Kauf von 14'146'882 Santhera-Aktien zu einem Preis von CHF 0,9477 pro Aktie tätigen, was dem volumengewichteten Zehn-Tages-Durchschnittskurs entspricht, der zwei Tage vor der Unterzeichnung der Vereinbarung endete. Die Kapitalbeteiligung unterliegt einer sechsmonatigen Veräusserungssperre. Der Erlös aus der Kapitalbeteiligung wird für Phase-4-Studien bei DMD und die gemeinsame Entwicklung weiterer Indikationen verwendet. Nach der für den 26. Oktober

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

2023 (PDUFA-Datum) erwarteten FDA-Zulassung von Vamorolone für DMD soll Santhera weitere USD 36 Millionen von Catalyst erhalten, wovon Santhera vertraglich vereinbarte Meilensteinzahlungen an Dritte (USD 26 Millionen) leistet. Darüber hinaus könnte Catalyst umsatzabhängige Meilensteine in Höhe von bis zu USD 105 Millionen sowie Lizenzgebühren im bis zu tiefen zweistelligen Prozentbereich an Santhera zahlen, und wird ausserdem die entsprechenden Lizenzverpflichtungen von Santhera an Dritte auf Vamorolone-Verkäufen in allen Indikationen in NA übernehmen.

Dario Eklund, Chief Executive Officer von Santhera, kommentierte: “Duchenne-Muskeldystrophie hat einen schweren und derzeit nicht heilbaren Krankheitsverlauf. Alle Mitarbeitenden von Santhera arbeiten unermüdlich daran, die Entwicklung und Zulassung von Vamorolone voranzutreiben, um den Patienten diese wichtige Behandlungsmöglichkeit zur Verfügung zu stellen. Wir sind überzeugt, dass Catalyst gut positioniert ist, um den Wert von Vamorolone zu maximieren und – vorbehaltlich der behördlichen Zulassung – sicherzustellen, dass die Patienten in Nordamerika diese vielversprechende Therapie so schnell wie möglich erhalten. Catalyst kann eine beeindruckende Erfolgsbilanz im Bereich der seltenen und neuromuskulären Erkrankungen vorweisen und ist unser ausgewählter kommerzieller Partner für Nordamerika mit einer etablierten Infrastruktur und einem grossen Engagement für Patienten. Mit unserem neuen Partner freuen wir uns auch darauf, gemeinsam die Therapievorteile von Vamorolone in weiteren Indikationen zu erforschen. Als Teil dieser Vereinbarung profitiert Santhera von Vorab-, Meilenstein- und Lizenzzahlungen, was uns erlaubt, uns auf die kommerzielle Einführung von Vamorolone in DMD und zukünftigen anderen Indikationen in Europa zu konzentrieren.”

In Europa plant Santhera die Kommerzialisierung von Vamorolone in den Kernländern (u.a. Deutschland, Frankreich, Grossbritannien, Italien, Spanien, Benelux) und wird Partner für die Kommerzialisierung in allen anderen Ländern suchen. Der Marktzugang, der Aufbau einer Kernorganisation und die Einbindung von Interessengruppen in diesen vorrangigen Ländern sind im Gange. Bereits vor den für Ende des Jahres erwarteten europäischen Zulassungsentscheiden könnten die in Grossbritannien und Frankreich eingereichten Programme für den frühen Zugang (EAP, early access program) die Behandlung der ersten DMD-Patienten mit Vamorolone ermöglichen. Für bestimmte Länder, in denen Santhera Vamorolone nicht direkt vermarkten will, darunter bestimmte europäische Länder und Japan, hat Catalyst ein Erstverhandlungsrecht in Partnerschaftsgesprächen.

Der U.S. Zulassungsantrag (NDA) für Vamorolone bei DMD wird derzeit von der FDA geprüft, die den 26. Oktober 2023 als Termin für ihren Zulassungsentscheid nach dem Prescription Drug User Fee Act (PDUFA) festgelegt hat. In Europa läuft die Prüfung des Zulassungsantrags (MAA, marketing authorization application) für Vamorolone durch die Europäische Arzneimittelagentur (EMA). Eine Stellungnahme des Ausschusses für Humanarzneimittel (CHMP) wird für das dritte Quartal 2023 erwartet, gefolgt von einem Zulassungsbeschluss der Europäischen Kommission (EK) Ende 2023. Im Vereinigten Königreich wird derzeit ein entsprechender Zulassungsantrag von der Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) geprüft. Vorbehaltlich der Genehmigungen könnte Vamorolone sowohl in den ersten europäischen Ländern als auch in den USA Ende 2023 bzw. Anfang des ersten Quartals 2024 auf den Markt kommen.

Für Indikationen ausserhalb von DMD werden Santhera und Catalyst einen gemeinsamen Lenkungsausschuss (JSC, Joint Steering Committee) einberufen, um die gemeinsame klinische Entwicklung von Vamorolone für zusätzliche Indikationen auf globaler Ebene zu betreiben, wobei sich beide Parteien am Entwicklungsprozess und an der Finanzierung beteiligen werden.

Der Abschluss der Transaktion wird für Anfang des dritten Quartals 2023 erwartet, vorbehaltlich der üblichen Bedingungen und behördlichen Genehmigungen in den USA.

Ausblick auf die Finanzierung

Die kurzfristigen Erlöse aus der Vereinbarung mit Catalyst belaufen sich auf USD 100 Millionen (Mittelzufluss von USD 126 Millionen abzüglich der Meilensteinverpflichtung gegenüber Dritten in Höhe von USD 26 Millionen). Dieser beträchtliche Mittelzufluss erweitert die Liquiditätsreichweite des Unternehmens bis ins erste Quartal 2025 und bildet eine solide finanzielle Grundlage für künftige Aktivitäten wie die Weiterentwicklung von Vamorolone und die Vermarktung in Europa. Darüber hinaus werden die Mittel auch zur Tilgung der Umtauschanleihe (exchangeable notes) von Highbridge verwendet, was zu einem erheblichen Schuldenabbau führt und die Finanzlage des Unternehmens stärkt.

Berater

Centerview Partners und H.C. Wainwright & Co. fungierten als Transaktionsberater für Santhera.

Telefonkonferenz

Santhera wird am 20. Juni 2023 um 14:30 MESZ / 13:30 BST / 08:30 EDT eine Telefonkonferenz durchführen, um die Vereinbarung zu Vamorolone zu erläutern. Teilnehmende sind eingeladen, eine der folgenden Nummern anzurufen (kein Zugangscode erforderlich). Konferenzsprache ist Englisch.

Schweiz/Europa: +41 58 310 50 00

GB: +44 207 107 06 13

USA: +1 631 570 56 13

Eine Aufzeichnung wird etwa zwei Stunden nach Ende der Telefonkonferenz unter <https://www.santhera.com/ad-hoc-news> abrufbar sein.

Über Vamorolone

Vamorolone ist ein Wirkstoffkandidat, dessen Wirkungsweise darauf beruht, dass er an denselben Rezeptor wie Kortikosteroide bindet, aber dessen nachgeschaltete Aktivität verändert, und der daher als dissoziativer Entzündungshemmer gilt [2-5]. Dieser Mechanismus hat das Potenzial, die Wirksamkeit von den Sicherheitsbedenken gegenüber Steroiden zu entkoppeln. Daher könnte Vamorolone eine Alternative zu den bestehenden Glukokortikoiden, der derzeitigen die Standardtherapie für Kinder und Jugendliche mit DMD, darstellen. In der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie erreichte Vamorolone den primären Endpunkt Geschwindigkeit der Aufstehbewegung (TTSTAND) im Vergleich zu Placebo ($p=0,002$) nach 24 Behandlungswochen und zeigte ein günstiges Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil [1]. In den bisherigen klinischen Studien war Vamorolone im Allgemeinen sicher und gut verträglich. Die am häufigsten gemeldeten unerwünschten Ereignisse im Vergleich zu Placebo aus der VISION-DMD-Studie waren cushingoides Aussehen, Erbrechen und Vitamin-D-Mangel. Unerwünschte Ereignisse waren im Allgemeinen von leichtem bis mittlerem Schweregrad.

Vamorolone hat in den USA und in Europa den Orphan-Drug-Status für DMD erhalten und wurde von der FDA als "Fast Track" und "Rare Pediatric Disease" sowie von der britischen MHRA als "Promising Innovative Medicine" (PIM) für DMD anerkannt. Vamorolone ist ein Prüfpräparat und derzeit von keiner Gesundheitsbehörde für die Anwendung zugelassen.

Referenzen:

- [1] Guglieri M et al (2022). JAMA Neurol. 2022;79(10):1005-1014. doi:10.1001/jamaneurol.2022.2480. [Link](#).
- [2] Mah JK et al (2022). JAMA Netw Open. 2022;5(1):e2144178. doi:10.1001/jamanetworkopen.2021.44178. [Link](#).
- [3] Guglieri M et al (2022) JAMA. doi:10.1001/jama.2022.4315
- [4] Heier CR et al (2019). Life Science Alliance DOI: 10.26508
- [5] Liu X et al (2020). Proc Natl Acad Sci USA 117:24285-24293

Über Duchenne-Muskeldystrophie

Die Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine seltene, durch das X-Chromosom bedingte Erbkrankheit, die fast ausschließlich Männer betrifft. DMD ist durch eine Entzündung gekennzeichnet, die bei der Geburt oder kurz danach auftritt. Die Entzündung führt zu einer Fibrose der Muskeln und äußert sich klinisch durch fortschreitende Muskeldegeneration und -schwäche. Wichtige Meilensteine der Krankheit sind der Verlust des Gehvermögens, der Verlust der Selbsternährung, der Beginn der assistierten Beatmung und die Entwicklung einer Kardiomyopathie. DMD reduziert die Lebenserwartung aufgrund von Atem- und/oder Herzversagen bis vor dem vierten Lebensjahrzehnt. Kortikosteroide sind der derzeitige Standard für die Behandlung von DMD.

Über Catalyst Pharmaceuticals

With exceptional patient focus, Catalyst is committed to developing and commercializing innovative first-in-class medicines that address rare neurological and epileptic diseases. Catalyst's flagship U.S. commercial product is FIRDAPSE® (amifampridine) Tablets 10 mg, approved for the treatment of Lambert-Eaton myasthenic syndrome ("LEMS") for adults and for children ages six and up. In January 2023, Catalyst acquired the U.S. commercial rights to FYCOMPA® (perampanel) CIII, a prescription medicine approved in people with epilepsy aged four and older alone or with other medicines to treat partial-onset seizures with or without secondarily generalized seizures and with other medicines to treat primary generalized tonic-clonic seizures for people with epilepsy aged 12 and older. Further, Canada's national healthcare regulatory agency, Health Canada, has approved the use of FIRDAPSE® for the treatment of adult patients in Canada with LEMS. For additional information about the Company, please visit www.catalystpharma.com.

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, das sich auf die Entwicklung und Vermarktung von innovativen Medikamenten für seltene neuromuskuläre und pulmonale Erkrankungen mit hohem medizinischem Bedarf spezialisiert hat. Das Unternehmen besitzt eine exklusive Lizenz für alle Indikationen weltweit für Vamorolone, ein dissoziatives Steroid mit neuartiger Wirkungsweise, das in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) als Alternative zu Standardkortikosteroiden untersucht wurde. Für Vamorolone zur Behandlung von DMD hat Santhera bei der amerikanischen Arzneimittelbehörde FDA ein Zulassungsgesuch (NDA) bzw. bei der europäischen Arzneimittelbehörde (EMA) einen Zulassungsantrag (MAA) in Überprüfung und bei der britischen Arzneimittelbehörde MHRA (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency) einen MAA eingereicht. Die klinische Pipeline umfasst auch Lonodelestat zur Behandlung von zystischer Fibrose (CF) und anderen neutrophilen Lungenkrankheiten. Santhera hat die Rechte an ihrem ersten zugelassenen Produkt, Raxone® (Idebenone), ausserhalb Nordamerikas und Frankreichs zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) an die Chiesi-Gruppe auslizenziert. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.santhera.de.

Raxone® ist eine Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

public-relations@santhera.com oder

Eva Kalias, Head Investor Relations & Communications

Tel.: +41 79 875 27 80

eva.kalias@santhera.com

Haftungsausschluss / Zukunftsgerichtete Aussagen

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 Geschäftstätigkeit enthalten. Solche Aussagen sind mit bestimmten Risiken, Unsicherheiten und anderen Faktoren verbunden, die dazu führen können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die Finanzlage, die Leistungen oder Errungenschaften des Unternehmens wesentlich von denjenigen abweichen, die in diesen Aussagen ausgedrückt oder impliziert werden. Die Leser sollten sich daher nicht in unangemessener Weise auf diese Aussagen verlassen, insbesondere nicht im Zusammenhang mit Verträgen oder Investitionsentscheidungen. Das Unternehmen lehnt jede Verpflichtung ab, diese zukunftsgerichteten Aussagen zu aktualisieren.

###