

Ad-hoc-Mitteilung gemäss Art. 53 KR

## **Santhera schliesst exklusives Lizenzabkommen mit Sperogenix für Vamorolone zur Behandlung seltener Krankheiten in der Region Greater China ab**

- *Sperogenix erhält die Exklusivrechte für die Entwicklung und Vermarktung von Vamorolone zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) und anderen seltenen Erkrankungen*
- *Santhera erhält eine Barvorauszahlung in zweistelliger Millionenhöhe sowie kurzfristige, an den US-Zulassungsantrag gebundene Meilensteine von zusammen USD 20 Millionen in einem Deal im Wert von USD 124 Millionen*
- *Santhera konzentriert sich weiterhin darauf, Vamorolone für Patienten in den USA und Europa über die eigene Organisation verfügbar zu machen, wobei der Beginn der schrittweisen NDA-Einreichung im Q1-2022 geplant ist, und für weitere Märkte weltweit Partnerschaften einzugehen*

**Pratteln, Schweiz, 4. Januar 2022 - Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt den Abschluss einer exklusiven Lizenzvereinbarung mit Sperogenix Therapeutics, einem auf seltene Krankheiten spezialisierten Unternehmen aus China, bekannt. Im Rahmen dieser Vereinbarung wird Sperogenix Vamorolone für Indikationen im Bereich seltener Krankheiten einlizenzieren. Der Gesamtbetrag beläuft sich auf bis zu USD 124 Millionen, einschliesslich einer Barvorauszahlung im zweistelligen Millionenbereich und DMD-bezogenen US-regulatorischen Meilensteinzahlungen zusammen in einer Höhe von insgesamt USD 20 Millionen, als auch weitere Netto-Umsatzbeteiligungen im zweistelligen Prozentbereich.**

Die Vereinbarung sieht vor, dass Santhera Sperogenix Therapeutics die exklusiven Entwicklungs- und Vermarktungsrechte für Vamorolone zur Behandlung der DMD und aller anderen Indikationen für seltene Krankheiten im Grossraum China (einschliesslich Festlandchina, Hongkong, Macao und Taiwan) erteilt. Santhera wird weiterhin für die Herstellung und Lieferung verantwortlich sein, während sich Sperogenix, ein von Lilly Asia Ventures und Morningside Ventures finanziertes Unternehmen für seltene Krankheiten mit Sitz in China, auf die Zulassungs- und Entwicklungsarbeit sowie die zukünftige Vermarktung konzentrieren wird. Sperogenix plant, nach der Zulassung durch die US-amerikanische FDA einen Zulassungsantrag für Vamorolone für DMD in China einzureichen, was zu einem Markteintritt in China bereits im Jahr 2024 führen könnte.

Aufgrund der grossen Patientenbasis und des hohen ungedeckten medizinischen Bedarfs bieten sich in China bedeutende Chancen im Gesundheitsbereich. Regulierungsreformen haben zu einer steigenden Zahl von Zulassungen und Markteinführungen innovativer Medikamente geführt [1]. DMD steht auf der chinesischen Liste der seltenen Krankheiten mit hohem medizinischem Bedarf, der von der chinesischen Regierung anerkannt wird [2]. Die geschätzte Prävalenz von DMD könnte bei bis zu 70'000 Patienten liegen, wobei die Zahl der Diagnosen steigt, so dass immer mehr Patienten Zugang zur Behandlung in

*Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.*

Expertenzentren haben. Derzeit gibt es in China keine zugelassene Behandlung für DMD. Sperogenix wird proaktiv mit den Gesundheitsbehörden in China zusammenarbeiten, um einen beschleunigten Zulassungsweg für Vamorolone zu erreichen.

“Wir freuen uns auf die Zusammenarbeit mit Sperogenix, einem starken Partner für seltene Krankheiten, der gut positioniert ist, um Vamorolone für Patienten in China verfügbar zu machen”, sagte **Dario Eklund, Chief Executive Officer von Santhera**. “Diese Vereinbarung ermöglicht es, uns weiterhin auf die Zulassungsaktivitäten in den USA und der EU zu konzentrieren und gleichzeitig Zugang zu einem der grössten Pharmamärkte weltweit zu erhalten.”

“Wir sind begeistert von der Partnerschaft mit Santhera. Wir sind überzeugt vom Potenzial von Vamorolone zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie und dessen möglichen Einsatz bei der Behandlung anderer seltener Krankheiten stimmt uns optimistisch. Die umfangreiche Erfahrung unseres Teams in den Bereichen Zulassung, Klinik und Kommerzialisierung von Produkten für seltene Krankheiten wird dazu beitragen, dass dieser differenzierte Produktkandidat den Patienten in der Region Greater China zugutekommt”, sagte **Alan (Zhiyu) Yan, Mitbegründer, Chairman und Chief Executive Officer von Sperogenix**.

Santhera beabsichtigt, Vamorolone für die Behandlung von DMD durch die eigene Organisation in den USA und den Hauptmärkten in Europa zu vermarkten und strebt Kooperationen ausserhalb dieser Regionen für DMD sowie für weitere Indikationen weltweit an. Das Unternehmen wird in den USA im Q1-2022 einen schrittweisen NDA-Zulassungsantrag einreichen und damit den Weg für eine erste Markteinführung bereits Anfang 2023 in den USA ebnen, gefolgt von einem europäischen Zulassungsgesuch im Q2-2022. Santhera schätzt das Spitzenumsatzpotenzial für Vamorolone allein in der Indikation DMD auf über USD 500 Millionen in den USA und den fünf grössten europäischen Ländern zusammen.

### **Über Vamorolone**

Vamorolone ist der erste Medikamentenkandidat seiner Klasse, der an denselben Rezeptor wie Kortikosteroide bindet, aber dessen nachgeschaltete Aktivität modifiziert und somit ein dissoziativer Agonist ist [3-5]. Dieser Mechanismus hat das Potenzial, die Wirksamkeit von den typischen Sicherheitsbedenken gegenüber Steroiden zu entkoppeln. Daher könnte sich Vamorolone als vielversprechende Alternative zu den bestehenden Kortikosteroiden erweisen, die derzeit die Standardtherapie für Kinder und Jugendliche mit DMD darstellen. In der zulassungsrelevanten VISION-DMD-Studie erreichte Vamorolone den primären Endpunkt Geschwindigkeit vom Aufstehen aus der Rückenlage in den Stand (TTSTAND) im Vergleich zu Placebo ( $p=0,002$ ) nach 24 Behandlungswochen und zeigte ein gutes Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil. Im Vergleich zu Prednison zeigte Vamorolone eine vergleichbare Wirksamkeit, Verbesserungen bei mehreren Sicherheitsparametern (einschliesslich einer Umkehrung der während der Prednison-Behandlung beobachteten Wachstumsbeeinträchtigung und einer Verringerung der Verhaltensänderungen) und war mit weniger unerwünschten Ereignissen verbunden. In klinischen Studien war Vamorolone im Allgemeinen 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 für DMD den Status eines Arzneimittels für seltene Krankheiten (Orphan Drug) erhalten und wurde von der US-amerikanischen FDA als Fast Track und Rare Pediatric Disease sowie von der britischen MHRA als Promising Innovative Medicine (PIM) für DMD eingestuft. Vamorolone ist ein Prüfpräparat und ist derzeit von keiner Gesundheitsbehörde zugelassen.

### **Über Duchenne-Muskeldystrophie**

Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine seltene, vererbte, X-Chromosom-gebundene Krankheit, die fast ausschliesslich Knaben betrifft. Kennzeichnend für DMD ist eine Entzündung, die bei der Geburt oder kurz danach auftritt. Diese Entzündung führt zu einer Fibrose der Muskulatur und äussert sich klinisch durch fortschreitende Muskeldegeneration und -schwäche. Wichtige Meilensteine der Krankheit sind der Verlust der Gehfähigkeit, der Verlust der Selbsternährung, der Beginn einer Atmungsunterstützung und die Entwicklung einer Kardiomyopathie. DMD reduziert die Lebenserwartung aufgrund von respiratorischem und/oder kardialen Versagen auf vor dem vierten Lebensjahrzehnt.

### **Über Sperogenix Therapeutics**

Sperogenix Therapeutics ist ein Plattformunternehmen, das sich der Entwicklung und Vermarktung von Therapeutika für seltene Krankheiten in China widmet. Mit vorrangigen therapeutischen Bereichen wie Lungengefässerkrankungen, neuromuskulären Erkrankungen und vererbten Stoffwechselerkrankungen widmet sich Sperogenix der Etablierung eines innovativen Geschäftsmodells, das auf den Bereich der seltenen Krankheiten in China zugeschnitten ist, um chinesischen Ärzten und Patienten erschwingliche und zuverlässige Produkte und Dienstleistungen anzubieten. Sperogenix wurde 2019 gegründet und wird von Blue-Chip-Investoren aus der Biopharmabranche unterstützt, darunter Lilly Asia Ventures und Morningside Ventures. [www.sperogenix.com](http://www.sperogenix.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. Santhera verfügt über eine exklusive Lizenz für alle Indikationen weltweit für Vamorolone, das erste dissoziative Steroid seiner Klasse mit neuartiger Wirkungsweise, das in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit DMD als Alternative zu Standard-Kortikosteroiden untersucht wurde. Die klinische Pipeline umfasst auch Lonodelestat zur Behandlung von Mukoviszidose (CF) und anderen neutrophilen Lungenkrankheiten sowie einen explorativen Gentherapieansatz zur Behandlung von kongenitalen Muskeldystrophien. Santhera hat die Rechte an ihrem ersten zugelassenen Produkt, Raxone® (Idebenon), ausserhalb Nordamerikas und Frankreichs für die Behandlung der hereditären Leberschen Optikusneuropathie (LHON) an die Chiesi-Gruppe auslizenziert. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte [www.santhera.com](http://www.santhera.com).

*Raxone® ist eine Marke von Santhera Pharmaceuticals.*

### Referenzen

- [1] <https://www.mckinsey.com/industries/life-sciences/our-insights/the-dawn-of-china-biopharma-innovation>
- [2] Intractable Rare Diseases Research. 2018; 7(2):145-147.
- [3] Heier CR et al. (2013). EMBO Mol Med 5: 1569-1585.
- [4] Reeves EKM, et al (2013). Bioorg Med Chem 21(8):2241-2249.
- [5] Liu X, et al. (2020). Proc Natl Acad Sci USA 117:24285-24293.

**Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:**

**Santhera**

Santhera Pharmaceuticals Holding AG, Hohenrainstrasse 24, CH-4133 Pratteln

[public-relations@santhera.com](mailto:public-relations@santhera.com) oder

Eva Kalias, Head External Communications

Telefon: +41 79 875 27 80

[eva.kalias@santhera.com](mailto:eva.kalias@santhera.com)

**Sperogenix**

Lei Xiao, Associate Director of PR & Patient Support

Telefon: +86-10-64620528

[lei.xiao@sperogenix.com](mailto:lei.xiao@sperogenix.com)

**Disclaimer / 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 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.

###