

Santhera wird heute um 13:00 MEZ, 12:00 GMT, 08:00 EDT eine Telefonkonferenz durchführen. Details dazu am Ende dieser Mitteilung.

Santhera veröffentlicht Jahresabschluss 2019 und informiert über Fortschritte in der Duchenne-Muskeldystrophie-Pipeline

- **Nettoumsatz aus Produktverkäufen von CHF 27,9 Millionen, leicht über den Erwartungen**
- **Nettoeinnahmen von CHF 46,4 Millionen aus der Lizenzvereinbarung mit Chiesi Group für Raxone®**
- **Deutlich verbessertes operatives Ergebnis von CHF -10,4 Millionen (2018: CHF -51,4 Millionen) und Nettoergebnis von CHF -19,0 Millionen (2018: CHF -54,2 Millionen), hauptsächlich aufgrund von Lizenzeinnahmen**
- **Flüssige Mittel von CHF 31,4 Millionen per 31. Dezember 2019**
- **Bedeutende Fortschritte bei den Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)-Prüfkandidaten Puldysa® (Idebenon) und Vamorolone in Richtung Markteintritt bzw. Zulassungseinreichung**
- **Verwaltungsrat schlägt kommender Generalversammlung die Erhöhung des genehmigten und bedingten Kapitals vor**

Pratteln, Schweiz, 24. März 2020 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) veröffentlicht den geprüften Jahresabschluss des Unternehmens für das Jahr 2019 und berichtet über die Fortschritte bei der Weiterentwicklung ihrer klinischen Prüfkandidaten zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie (DMD), Puldysa® (Idebenon) und Vamorolone, im Hinblick auf den geplanten Markteintritt bzw. die Einreichung eines Zulassungsantrags.

„Santhera entwickelt sich zu einem Schlüsselunternehmen im Bereich seltener neuromuskulärer Krankheiten. Bereits 2019 haben wir das Unternehmen auf mehrere wichtige Wendepunkte im laufenden Jahr für unsere Medikamentenkandidaten zur Behandlung von DMD vorbereitet“, sagte **Dario Eklund, CEO von Santhera**. „Die regulatorische Überprüfung von Puldysa in der EU, wo wir eine bedingte Marktzulassung (CMA) zur Behandlung des Atmungsfunktionsverlusts bei Patienten mit DMD und ohne Glukokortikoid-Begleitmedikation anstreben, verläuft nach Plan, und wir erwarten Mitte 2020 eine Stellungnahme der europäischen Zulassungsbehörden. Unser Ziel ist es, das erste zugelassene Medikament für nicht-ambulante DMD-Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion bereitzustellen, und wir planen die Einführung in den ersten europäischen Märkten bis Ende des Jahres.“

Unser zweites DMD-Produkt, Vamorolone, wird derzeit vom Erfinderunternehmen ReveraGen in einer Zulassungsstudie (genannt VISION-DMD) bei ambulanten Patienten mit DMD untersucht, und unser Ziel ist es, Glukokortikoide als Standardtherapie zu ersetzen. Wir erwarten die Topline-Daten dieser Studie im vierten Quartal 2020, gefolgt von der Einreichung eines Zulassungsantrags (NDA) in den USA im ersten Quartal 2021. Positive Daten werden uns auch den Weg für die Ausübung von Santheras Sublizenzierungsoption für das Produkt ebnen.“

Ganzjahresumsatz 2019 leicht über den Erwartungen

Im Jahr 2019 erzielte Santhera einen Nettoumsatz von CHF 27,9 Millionen (2018: CHF 31,7 Millionen) und übertraf damit die Prognose für das Gesamtjahr leicht. Darin enthalten ist der Umsatz von Raxone zur Behandlung von Leber hereditärer Optikusneuropathie (LHON) in Europa in den ersten sieben Monaten des Jahres 2019 und in Frankreich für das ganze Jahr.

Initialzahlung von Chiesi Group nach Abschluss der Lizenztransaktion

Im August 2019 erhielt Santhera eine Vorauszahlung von CHF 49,3 Millionen (EUR 44 Millionen) im Zusammenhang mit dem Abschluss des Lizenzabkommens mit Chiesi Group. Der Grossteil dieser Zahlung (CHF 46,4 Millionen) wurde im Jahr 2019 als Einnahmen verbucht, der Rest wird entsprechend der Erfüllung einiger Restverpflichtungen verbucht. Wie im Rahmen der Vereinbarung bereits angekündigt, hat Chiesi Group Raxone für LHON und alle anderen ophthalmologischen Indikationen für alle Gebiete weltweit ausser den USA und Kanada für einen Gesamtbetrag von bis zu EUR 93 Millionen einlizenziert.

Operatives und Nettoergebnis deutlich verbessert, vor allem aufgrund von Lizeineinnahmen

Der operative Gesamtaufwand lag mit CHF 80,7 Millionen leicht über Vorjahresniveau (2018: CHF 78,7 Millionen). Der Anstieg der Entwicklungskosten auf CHF 41,2 Millionen (2018: CHF 38,2 Millionen) reflektiert die Ausgaben für laufende klinische Studien in der späten Phase, wie die Phase-3-Studie SIDEROS bei DMD, Arbeitsaufwand im Zusammenhang mit dem pendenten Zulassungsantrag für Puldysa in Europa, für laufende Studien nach erfolgter Zulassung für LHON sowie die klinischen Arbeiten mit Santheras frühklinischem Prüfkandidat POL6014 zur Behandlung von Mukoviszidose. Die Kosteneinsparungen wurden erzielt im Bereich Marketing und Verkauf (Aufwand 2019: CHF 20,1 Millionen gegenüber 2018: CHF 24,9 Millionen), da kommerzielle Aktivitäten in Hinblick auf einen Markteintritt von Puldysa erst gegen Ende 2020 aufgenommen werden. Der Verwaltungs- und allgemeine Aufwand stieg auf CHF 19,2 Millionen (2018: CHF 15,4 Millionen), primär aufgrund von einmaligen Ausgaben im Zusammenhang mit der Transaktion mit Chiesi Group. Hauptsächlich aufgrund der ersten Zahlung von Chiesi Group im Rahmen der Lizenzvereinbarung verzeichnete das Unternehmen ein deutlich verbessertes Betriebsergebnis von CHF -10,4 Millionen (2018: CHF -51,4 Millionen). Für das Gesamtjahr 2019 weist Santhera ein Nettoergebnis von CHF -19,0 Millionen (2018: CHF -54,2 Millionen) aus.

Wachstumspläne erfordern weitere finanzielle Mittel

Per 31. Dezember 2019 beliefen sich die frei verfügbaren liquiden Mittel auf CHF 31,4 Millionen (31. August 2019: CHF 43,7 Millionen). Darüber hinaus hielt das Unternehmen CHF 1,5 Millionen an liquiden Mitteln mit Verfügungsbeschränkung, die für die Zinszahlungen im Zusammenhang mit der 2017 ausgegebenen Wandelanleihe bestimmt sind.

Die laufenden Entwicklungsaktivitäten, die Intensivierung der Kommerzialisierungsaktivitäten in Bezug auf Puldysa und die Absicht, die Option auf eine exklusive Sublizenz von Idorsia zur Vermarktung von ReveraGens Vamorolone auszuüben, werden vor allem in der zweiten Hälfte des Jahres 2020 substantielle zusätzliche Mittel erfordern. Es bestehen daher wesentliche Unsicherheiten hinsichtlich der Fortführungsfähigkeit des Unternehmens bis zum 31. Dezember 2020. Die Umsetzung der Strategie des Unternehmens hängt von weiteren finanziellen Mitteln ab, um die Fortführung der Geschäftstätigkeit bis zum 31. Dezember 2020 zu gewährleisten.

Santhera evaluiert derzeit verschiedene Optionen, um eine zusätzliche Finanzierung des Unternehmens sicherzustellen, die neben der eigenkapitalbasierten Finanzierung auch Fremdfinanzierung, Lizenzfinanzierung, Standby-Eigenkapitalausschüttungsvereinbarung sowie die Monetarisierung von Forderungen umfasst.

Der Verwaltungsrat schlägt der Generalversammlung vom 22. April 2020 die Erhöhung des genehmigten Kapitals von CHF 3'000'000 auf CHF 5'500'000 und eine Erhöhung des bedingten Kapitals von CHF 2'500'000 auf CHF 4'800'000 vor.

Die Zustimmung der Aktionäre des Unternehmens vorausgesetzt, würde dies Santhera ermöglichen, später im Jahr 2020 neues Kapital zu beschaffen, um das Erreichen der regulatorischen und kommerziellen Meilensteine für Puldysa und Vamorolone zu unterstützen und die finanziellen Ressourcen, insbesondere im Hinblick auf wichtige für 2020/2021 geplante Produkteinführungen, weiter zu stärken. Darüber hinaus evaluiert das Unternehmen derzeit eine Restrukturierung der im Februar 2022 fälligen vorrangigen ungesicherten Wandelanleihe in Höhe von CHF 60 Millionen, einschliesslich einer erheblichen Senkung des Umwandlungspreises, die die Wahrscheinlichkeit einer Umwandlung in Aktien statt einer Rückzahlung erhöhen würde.

Entwicklungsprojekte kurz vor Erreichung wichtiger kurzfristiger Wendepunkte

Wichtige kurzfristig erwartete Wendepunkte im Hinblick auf eine Zulassung der beiden DMD-Pipelinekandidaten Puldysa (Idebenon) und Vamorolone sind:

- Mitte 2020: CHMP-Stellungnahme zum Antrag auf Marktzulassung von Puldysa bei DMD in Europa
- Q4-2020: Markteinführung von Puldysa in den ersten europäischen Märkten
- Q4-2020: Vorliegen von Topline-Daten der Zulassungsstudie mit Vamorolone bei DMD
- Q1-2021: Einreichung des US-Zulassungsantrags (New Drug Application) für Vamorolone bei DMD

Die strategischen Prioritäten von Santhera für das Jahr 2020 sind die neuromuskulären Entwicklungsprodukte Puldysa und Vamorolone für DMD. Bei Puldysa liegt der Schwerpunkt auf der Vorbereitung des europäischen Markteintritts bei DMD gegen Jahresende und dem Abschluss der Rekrutierung für die SIDEROS-Studie im Hinblick auf die geplanten Zulassungsanträge, insbesondere in den USA. Für Vamorolone wird das Vorliegen der 6-Monats-Topline-Daten der VISION-DMD-Studie der wichtigste Meilenstein sein, der bei positivem Ergebnis die Vorbereitung des NDA-Antrags ermöglichen und den Weg für die Ausübung der Option durch Santhera ebnen wird.

Parallel dazu treibt das Unternehmen die Entwicklung des klinischen Prüfkandidaten POL6014 für Mukoviszidose voran und evaluiert die weitere Diversifizierung der plattformartigen Pipeline-Produkte, einschliesslich der Entwicklung zusätzlicher Indikationen in Zusammenarbeit mit Partnern. Die Pipeline umfasst auch einen gentherapeutischen Ansatz im Forschungsstadium, der sich kongenitalen Muskeldystrophien widmet.

Weitere Informationen zu Santheras Entwicklungspipeline sind im **Jahresbericht 2019** (nur englisch) aufgeführt und [hier](#) einsehbar.

Stellungnahme zu den Auswirkungen des COVID-19-Ausbruchs

Die höchste Priorität von Santhera bleibt die Gesundheit und Sicherheit der Mitarbeitenden und der Teilnehmenden an klinischen Studien. Das Unternehmen verfolgt die Auswirkungen von COVID-19 auf seine Geschäftstätigkeit genauestens, um weiterhin die Bedürfnisse der Patienten zu erfüllen und eine

ununterbrochene Medikamentenversorgung sowohl für die Teilnehmenden an klinischen Studien als auch für die Patienten, die an Programmen mit erweitertem Zugang teilnehmen, sicherzustellen.

Santhera erwartet weiterhin eine Stellungnahme des Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) zum Zulassungsantrag für Puldysa bis Mitte 2020. Da die Europäische Arzneimittelagentur bereits angekündigt hat, virtuelle Meetings durchzuführen, erwartet das Unternehmen keine Verzögerung im Zusammenhang mit COVID-19.

Jahresbericht 2019

Der Jahresbericht 2019 (englisch) von Santhera ist verfügbar auf der Unternehmenswebseite unter www.santhera.com/investors-and-media/investor-toolbox/financial-reports.

Generalversammlung 2020

Am 16. März 2020 hat der Schweizerische Bundesrat aufgrund der Situation betreffend das Coronavirus SARS-Cov-2 alle öffentlichen und privaten Veranstaltungen in der Schweiz bis 19. April 2020 verboten und den Gesellschaften erlaubt, ihren Aktionären die Ausübung ihrer Rechte ausschliesslich durch Stimminstruktionen an den unabhängigen Stimmrechtsvertreter aufzuerlegen. Gestützt darauf ordnet die Gesellschaft hiermit an, dass alle Aktionärinnen und Aktionäre ihre Rechte an der Generalversammlung (GV) vom 22. April 2020 ausschliesslich über den unabhängigen Stimmrechtsvertreter ausüben. Es besteht keine Möglichkeit, an der Versammlung anwesend zu sein.

Die Einladung wird den Aktionären separat zugestellt und ist unter www.santhera.com/investors-and-media/investor-toolbox/shareholder-meetings verfügbar. Hinweise zur elektronischen und schriftlichen Vollmachts- und Instruktionserteilung an den unabhängigen Stimmrechtsvertreter finden sich auf Seite 10 dieser Einladung.

Telefonkonferenz

Santhera wird am 24. März 2020, um 13:00 MEZ, 12:00 GMT, 08:00 EDT eine Telefonkonferenz durchführen. Dario Eklund, CEO von Santhera, wird die Jahresresultate 2019 erläutern und ein Update zur Unternehmensentwicklung geben. 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

2019 Ganzjahresresultate

Santheras Annual Report 2019 unter www.santhera.com/investors-and-media/investor-toolbox/financial-reports.

Zusammengefasste Angaben zur Erfolgsrechnung (IFRS, in TCHF)	2019	2018
Nettoumsatz	27'890	31'657
Einnahmen von Auslizenzierungen	46'370	0
Nettoumsatz mit Lizenzpartnern	1'116	0
Umsätze aus Verträgen mit Kunden	75'376	31'657
Kosten der verkauften Produkte (davon Amortisierung immaterieller Vermögenswerte: 2019 -3'039 / 2018 -3'039)	-5'450	-4'702
Entwicklung	-41'244	-38'240
Marketing und Vertrieb	-20'096	-24'884
Verwaltungs- und allgemeiner Aufwand	-19'184	-15'365
Operativer Gesamtaufwand	-80'652	-78'687
Operatives Ergebnis	-10'442	-51'420
Nettofinanzergebnis	-7'952	-2'444
Steuern	-579	-322
Nettoergebnis	-18'973	-54'186
(Verwässerter) Verlust pro Aktie (in CHF)	-1.73	-7.86
Zusammengefasste Angaben zur Bilanz (IFRS, in TCHF)	2019	2018
Liquide Mittel	31'358	21'971
Andere kurzfristige Vermögenswerte	17'897	21'112
Anlagevermögen	65'796	67'211
Total Aktiven	115'051	110'294
Eigenkapital	21'247	27'829
Langfristige Verbindlichkeiten	69'840	62'756
Kurzfristige Verbindlichkeiten	23'964	19'709
Total Passiven	115'051	110'294
Zusammengefasste Angaben zum Cashflow (IFRS' in TCHF)	2019	2018
Cashflow aus Geschäftstätigkeit	2'595	-37'865
Cashflow aus Investitionstätigkeit	2'789	-5'909
Cashflow aus Finanzierungstätigkeit	4'129	20'644
Liquide Mittel per 1. Januar	21'971	45'195
Liquide Mittel per 31. Dezember	31'358	21'971
Nettomittelverbrauch	9'387	-23'224
Aktienkapital (Anzahl Aktien mit Nominalwert CHF 1)	2019	2018
Ausgegebene Aktien	11'165'063	10'664'563
Bedingtes Kapital für Eigenkapitalrechte	687'052	687'552
Bedingtes Kapital für Options- und Umwandlungsrechte	2'500'000	930'000
Autorisiertes Kapital	3'000'000	500'000

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 auf zur Behandlung von Patienten unabhängig von ursächlichen Mutationen, Krankheitsstadium oder Alter. 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, welcher derzeit in einer Zulassungsstudie bei Patienten mit DMD als Ersatz von Standard-Kortikosteroiden getestet wird. Die klinische Pipeline umfasst auch 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 sind verfügbar unter www.santhera.com.

Raxone® und Puldysa® 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.

###