

Santhera übt Option zum Erhalt der weltweiten Rechte an Vamorolone bei Duchenne-Muskeldystrophie sowie allen weiteren Indikationen aus

- *Lizenz gibt Santhera weltweite Rechte an Vamorolone, nun auch einschliesslich der wichtigen Märkte Japan und Südkorea, und ebnet den Weg für Partnerschaften in weiteren Indikationen*
- *Vereinbarungen mit Idorsia und ReveraGen geben Santhera die sofortige Kontrolle über Vamorolone und verschieben meilensteinbezogene Zahlungen*
- *Transaktion etabliert Santhera als führendes Unternehmen auf dem Gebiet seltener neuromuskulärer Krankheiten mit zwei Produktkandidaten im klinischen Spätstadium, die den medizinischen Bedarf von DMD-Patienten vom frühen bis zum späten Krankheitsstadium ansprechen*

Pratteln, Schweiz, und Rockville, MD, USA, 2. September 2020 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt die Unterzeichnung von Vereinbarungen mit Idorsia (SIX: IDIA) und ReveraGen BioPharma Inc. bekannt, die Santhera zu einem direkten Lizenznehmer von Vamorolone machen. Im Rahmen der Vereinbarungen hat Santhera von ReveraGen, dem Urheber von Vamorolone, eine exklusive Lizenz für alle Indikationen weltweit erhalten. Die Vereinbarungen schaffen weiteren Wert für Santhera durch den Einschluss der Übertragung von Rechten für Japan und Südkorea, das nun enthaltene Recht zur Vergabe von Sublizenzen und einen Anteil am erwarteten Priority Review Voucher. Vamorolone, ein „first-in-class“ entzündungshemmender Arzneimittelkandidat mit einem neuartigen Wirkmechanismus, wird zur Zeit von ReveraGen in der pivotalen Phase-2b-Studie VISION-DMD bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) untersucht, und der Abschluss der Studienrekrutierung wird in Kürze erwartet.

Unter den geänderten Bedingungen erwartet Santhera in den nächsten 12-18 Monaten eine Verminderung des Geldabflusses in der Grössenordnung von USD 18-24 Millionen. Im Austausch für die revidierten Lizenzrechte erhält Idorsia 366'667 Santhera-Aktien und eine Umtauschanleihe in Höhe von CHF 10 Millionen und ReveraGen erhält USD 7 Millionen in monatlichen Raten von bis zu USD 500'000 zur Finanzierung der laufenden klinischen Entwicklungsarbeiten für Vamorolone.

Dario Eklund, Chief Executive Officer von Santhera, sagte: „Wir freuen uns sehr über die Übertragung der Lizenz für Vamorolone auf Santhera. Zu unserer Entscheidung, die Option jetzt auszuüben, hat eine Kombination von Faktoren beigetragen, darunter die Verfügbarkeit von ermutigenden Daten zur klinischen Wirksamkeit und Sicherheit von Vamorolone, verbesserte Vertragsbedingungen und die Möglichkeit, die volle Kontrolle über das Produkt zu erlangen. Wir freuen uns darauf, unsere bedeutende Expertise in die Weiterentwicklung von Vamorolone bei DMD einfließen zu lassen und zusätzliche Möglichkeiten der Geschäftsentwicklung zu erkunden. Wir glauben, dass zwei vielversprechende und sich ergänzende Wirkstoffe für DMD, die sich in der klinischen Spätphase unserer Pipeline befinden, einer breiteren Patientenpopulation einen verbesserten Zugang zu potenziell transformativen Behandlungen ermöglichen werden. Wir sind unserem Ankeraktionär Idorsia dankbar für den frühen Zugang zu der Lizenz und das Vertrauen in Santhera als bestgeeignetes Unternehmen, um Vamorolone den Patienten verfügbar zu machen.“

Eric Hoffman, PhD, Vice President of Research von ReveraGen BioPharma, erläuterte: „Wir freuen uns über die revidierte vertragliche Vereinbarung und darüber, dass wir direkt mit Santhera als neuem Lizenznehmer für Vamorolone zusammenarbeiten können. Santhera's Erfahrung sowohl in der Entwicklung von DMD-Medikamentenkandidaten als auch in der Kommerzialisierung eines Produkts für seltene Krankheiten ist eine gute Ausgangslage, um Vamorolone zu den Patienten zu bringen. Unsere bisherigen Entwicklungsarbeiten verdeutlichen das Potenzial von Vamorolone, zu einem neuen Behandlungsstandard für Patienten mit DMD zu werden, und ebenso, dass es auch Patienten mit einer Reihe anderer Entzündungskrankheiten zugutekommen könnte.“

Jetzt unterzeichnete Vereinbarungen mit ReveraGen und Idorsia

Idorsia hat seine ursprüngliche Vereinbarung mit ReveraGen an Santhera abgetreten. Santhera ist damit zu einer direkten Vertragspartei von ReveraGen geworden und die dann frühzeitige Ausübung der Option seitens Santhera ermöglicht den exklusiven und sofortigen Zugang zu Vamorolone und verzögert einige frühe meilensteinbezogene Zahlungen bis nach der Verfügbarkeit von Studiendaten. Im Rahmen der jetzt mit ReveraGen und Idorsia unterzeichneten Vereinbarungen hat Santhera eine exklusive Lizenz, einschliesslich der Rechte zur Sublizenzierung, für Vamorolone in allen Indikationen und allen Gebieten weltweit erhalten, nun auch für Japan und Südkorea. Darüber hinaus ist ReveraGen Inhaber einer Rare-Pediatric-Disease-Designation, die bei Zulassung von Vamorolone für DMD zum Erhalt eines Priority-Review-Voucher führen kann. Santhera wird einen Anteil der Einnahmen aus einem möglichen Verkauf eines solchen Gutscheins erhalten.

Die Lizenzverträge [1] wurden revidiert und enthalten die folgenden Änderungen:

Als Gegenleistung für die Abtretung der Lizenzoption für Vamorolone an Santhera erhält Idorsia 366'667 Aktien von Santhera, was Idorsia's Aktienanteil an Santhera auf nahezu 12% erhöht. Meilensteinzahlungen bis einschliesslich der möglichen FDA-Zulassung durch Santhera werden um USD 18 Millionen auf USD 72 Millionen (bisher USD 90 Millionen) reduziert. Santhera verpflichtet sich die folgenden Zahlungen zu leisten: USD 7 Millionen, zahlbar in monatlichen Raten von bis zu USD 500'000 an ReveraGen zur Finanzierung der Entwicklung, einschliesslich der Phase-2b-Studie VISION-DMD; USD 5 Millionen an ReveraGen zum Zeitpunkt an dem die FDA einen NDA-Antrag auf der Basis von Phase 2b 6-Monatsdaten unterstützt; eine unverzinsliche Umtauschanleihe an Idorsia in Höhe von CHF 10 Millionen; und insgesamt USD 50 Millionen (bisher USD 60 Millionen) für eine FDA-Zulassung. Da die Umtauschanleihe nach freiem Ermessen von Santhera bis zu 65% in Santhera-Aktien zahlbar ist, könnte dies den Mittelaufwand um weitere USD 6,5 Millionen reduzieren. Zudem erhält Santhera 10% der möglichen Einnahmen, die sich aus der Veräusserung des erwarteten Priority-Review-Vouchers ergeben könnten. Bei Erreichen der ersten USD 100 Millionen Einnahmen erhält Idorsia eine zusätzliche Meilensteinzahlung in Höhe von USD 5 Millionen.

Santhera schätzt das Spitzenumsatzpotenzial von Vamorolone allein für die DMD-Indikation in den USA und den fünf grössten EU-Märkten auf über USD 500 Millionen.

Mit Puldysa® und Vamorolone baut Santhera ein komplementäres DMD-Produktportfolio auf

Vamorolone befindet sich in der Entwicklung für junge DMD-Patienten, die eine entzündungshemmende, muskelstärkende Behandlung vor dem Nachlassen der Atmungsfunktion benötigen. Basierend auf den umfangreichen Daten, die aus präklinischen und klinischen Studien der Phase 1 und Phase 2a mit Vamorolone gewonnen wurden, führt ReveraGen derzeit die pivotale Phase-2b-VISION-DMD-Studie durch und rechnet in Kürze mit der vollständigen Patientenaufnahme in die

Studie. Vorbehältlich positiver Ergebnisse der ersten 6-monatigen Behandlungsphase, deren Abschluss aufgrund der durch die Covid-19-Pandemie verursachten Verzögerungen nun für das zweite Quartal 2021 erwartet wird, würde dies den Weg für einen Zulassungsantrag bei der US-FDA im vierten Quartal 2021 ebnen.

Puldysa (Idebenon) für DMD-Patienten mit abnehmender Atmungsfunktion, die keine Glukokortikoide einnehmen, befindet sich derzeit in Europa in der Zulassungsprüfung, für die Santhera mit einer Stellungnahme des CHMP im vierten Quartal 2020 rechnet. Das Unternehmen geht davon aus, dass die Kombination von Vamorolone und Puldysa den medizinischen Bedürfnissen von DMD-Patienten vom frühen bis zum späten Krankheitsstadium entsprechen wird, unabhängig von Alter, zugrunde liegender Dystrophin-Mutation oder ambulantem Status.

Vamorolone und Puldysa haben in den USA und in Europa Orphan-Drug-Designation, von der US-FDA den Fast-Track-Status und die Rare-Pediatric-Disease-Designation sowie den Promising-Innovative-Medicine (PIM)-Status von der britischen Gesundheitsbehörde MHRA. In Grossbritannien steht Puldysa den Patienten im Rahmen des Early Access to Medicines Scheme (EAMS) zur Verfügung.

Santhera wird die Optionsausübung in der Telefonkonferenz anlässlich der Veröffentlichung der Halbjahresergebnisse am 8. September 2020 erläutern.

Ref.:

[1] Pressemitteilung "Santhera Enters into Agreement to Acquire Option from Idorsia for Exclusive Sub-License of First-in-class Dissociative Steroid Vamorolone", November 20, 2018, verfügbar [hier](#).

Über Vamorolone – ein „first-in-class“ dissoziatives Steroid mit einem neuartigen Wirkungsprofil

Vamorolone, der erste Arzneimittelkandidat mit diesem Wirkprofil, bindet an dieselben Rezeptoren wie Kortikosteroide, verändert jedoch die nachfolgende Aktivität der Rezeptoren [2, 3]. Dies kann möglicherweise die Wirksamkeit von den bekannten Unverträglichkeiten abkoppeln (bzw. „dissoziieren“) und eine vielversprechende Alternative zu Kortikosteroiden darstellen, die derzeit standardmässig zur Behandlung von Kindern und Jugendlichen mit DMD verabreicht werden. In dieser Patientengruppe besteht ein erheblicher medizinischer Bedarf, da hochdosierte Kortikosteroide zu bedeutenden systemischen Nebenwirkungen führen, die die Lebensqualität der Patienten beeinträchtigen. Vamorolone wird vom US-amerikanischen Unternehmen ReveraGen BioPharma Inc. mit finanzieller Unterstützung von mehreren internationalen gemeinnützigen Stiftungen, den US National Institutes of Health, dem US-Verteidigungsministerium und dem EU-Förderprogramm Horizont 2020 entwickelt.

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 zur Behandlung von Patienten unabhängig von ursächlichen Mutationen, Krankheitsstadium oder Alter auf. Ein Antrag auf Marktzulassung für Puldysa® (Idebenon) wird gegenwärtig von der Europäischen Arzneimittelagentur geprüft. Ausserdem hat Santhera 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® (Idebeneon), 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.

Über ReveraGen BioPharma

ReveraGen wurde 2008 gegründet, um neuartige dissoziative Steroid-Medikamente für Duchenne-Muskeldystrophie und andere chronische entzündliche Erkrankungen zu entwickeln. Die Entwicklung des wichtigsten Wirkstoffs von ReveraGen, Vamorolone, wurde durch Partnerschaften mit weltweiten Stiftungen unterstützt, darunter die Muscular Dystrophy Association USA, Parent Project Muscular Dystrophy, Foundation to Eradicate Duchenne, Save Our Sons, JoiningJack, Action Duchenne, CureDuchenne, Ryan's Quest, Alex's Wish, DuchenneUK, Pietro's Fight, Michael's Cause, und der Duchenne Research Fund. ReveraGen erhielt auch grosszügige Unterstützung vom US-Verteidigungsministerium CDMRP, den National Institutes of Health (NCATS, NINDS, NIAMS) und der Europäischen Kommission (Horizon 2020). www.reveragen.com

Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:

Santhera

Santhera Pharmaceuticals Holding AG, Hohenrainstrasse 24, CH-4133 Pratteln
public-relations@santhera.com oder
Eva Kalias, Head External Communications
Tel.: +41 79 875 27 80
eva.kalias@santhera.com

ReveraGen BioPharma

Eric Hoffman, PhD, Vice President of Research
Tel.: + 1 240-672-0295
eric.hoffman@reveragen.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.

###