

Medienmitteilung

25. Oktober 2022

Ad-hoc-Mitteilung gemäss Art. 53 KR

Idorsia gibt Finanzergebnisse für die ersten neun Monate 2022 bekannt – QUVIVIQ wird zur weltweiten Marke

Allschwil, Schweiz – 25. Oktober 2022

Idorsia Ltd (SIX: IDIA) gab heute die Finanzergebnisse für die ersten neun Monate 2022 bekannt.

Operative Highlights

- **QUVIVIQ™ (Daridorexant)** mit beschleunigtem Wachstum von Volumen und behandelten Patienten nach dem Start der Verbraucherkampagne - auf dem Weg zum führenden Markenprodukt für Insomnie bei Erstverordnungen in den USA
- **QUVIVIQ™ (Daridorexant)** Nettoumsatz von CHF 2,3 Millionen seit Einführung im Mai 2022 spiegelt nicht die Volumenstückzahl wider, da eine breite kommerzielle Abdeckung verhandelt wird
- **PIVLAZ™ (Clazosentan)** mit starker Leistung in Japan bei einem Nettoumsatz von CHF 25,1 Millionen seit Einführung im April 2022 und rund 20% der behandelten aSAH-Patienten im September

Pipeline Highlights

- **QUVIVIQ (Daridorexant)** – Europas erster DORA – von der Europäischen Kommission im April 2022 zugelassen, anschliessend von der Medicines and Healthcare products Regulatory Agency in Grossbritannien, Zulassung in der Schweiz in den kommenden Monaten erwartet
- **Daridorexant** – positive Phase-3-Studie mit japanischen Insomnie-Patienten ebnet den Weg für einen Zulassungsantrag im ersten Halbjahr 2023
- **Aprocitentan** – Ergebnisse der positiven Phase-3-Studie PRECISION werden als Late-Breaking-Science-Präsentation anlässlich der Scientific Sessions 2022 der American Heart Association (AHA) vorgestellt. Die Vorbereitungen für einen Zulassungsantrag (New Drug Application) bei der amerikanischen FDA für die Einreichung bis Ende des Jahres sind unterwegs.
- **Clazosentan** – auf der Grundlage japanischer Daten wurde die Marktzulassung in der Republik Korea beantragt
- **Clazosentan** – Ergebnisse der globalen Phase-3-Studie REACT im ersten Quartal 2023 erwartet
- **Cenerimod** – Ergebnisse der Phase-2b-Studie CARE werden anlässlich der ACR Convergence 2022 des American College of Rheumatology bekannt gegeben

Finanzielle Highlights

- **Nettoumsatz** in den ersten 9 Monaten 2022 bei CHF 43 Millionen
- **US-GAAP-Betriebsaufwand** in den ersten 9 Monaten 2022 bei CHF 653 Millionen
- **Non-GAAP-Betriebsaufwand** in den ersten 9 Monaten 2022 bei CHF 621 Millionen
- **Sale & Leaseback** – Idorsia schliesst Vertrag mit einem Erlös von CHF 164 Millionen
- **Prognose für 2022:** US-GAAP Betriebsverlust von etwa CHF 840 Millionen und Non-GAAP-Betriebsverlust von etwa CHF 785 Millionen bestätigt – unter Ausschluss unvorhersehbarer Ereignisse

Dr. Jean-Paul Clozel, Chief Executive Officer, kommentierte:

„Idorsia macht große Fortschritte bei der Umwandlung in ein kommerzielles Unternehmen. QUVIVIQ wird, gemessen an den Neuverschreibungen, bald das führende Originalpräparat gegen Insomnie in den USA sein. Das gestiegene Volumen nach der Direct-to-Consumer-Kampagne unterstützt die laufenden Verhandlungen zur Sicherung der Kostenerstattung. Wir stehen nur noch wenige Wochen vor der Markteinführung des ersten Produkts seiner Art in Europa, und die positiven Daten in Japan bedeuten, dass wir auf dem besten Weg sind, Daridorexant zu einem weltweiten Produkt für Patienten mit Insomnie zu machen. Mit einer so langen Patentlaufzeit wird QUVIVIQ für langfristiges Wachstum sorgen und die Weiterentwicklung unserer anderen Innovationen unterstützen. Parallel dazu hat PIVLAZ in Japan einen guten Start hingelegt: Etwa 20 % aller aSAH-Patienten haben im letzten Monat PIVLAZ erhalten. Dies alles wird erreicht, während unsere Forschung und Entwicklung weiter voranschreiten, und ich sehe mit grossem Interesse den Ergebnissen einiger wichtiger Studien entgegen, die in den nächsten Wochen auf Kongressen vorgestellt werden.“

Finanzergebnisse

US-GAAP-Ergebnisse in CHF Millionen, ausser Gewinn/Verlust pro Aktie (CHF) und Anzahl Aktien (Millionen)	Neun Monate		Drittes Quartal	
	2022	2021	2022	2021
Nettoeinnahmen	43	30	21	17
Betriebsaufwand	(653)	(415)	(227)	(150)
Betriebsgewinn (-verlust)	(610)	(385)	(206)	(133)
Nettogewinn (-verlust)	(635)	(383)	(216)	(140)
Gewinn (Verlust) pro Aktie	(3,58)	(2,29)	(1,22)	(0,83)
Gewichtete durchschnittliche Anzahl Aktien	177,4	167,0	177,5	167,3
Verwässerter Gewinn (Verlust) pro Aktie	(3,58)	(2,29)	(1,22)	(0,83)
Verwässerte gewichtete durchschnittliche Anzahl Aktien	177,4	167,0	177,5	167,3

Die US-GAAP-Nettoeinnahmen von CHF 43 Millionen in den ersten neun Monaten 2022 (CHF 30 Millionen in den ersten neun Monaten 2021) resultierten aus Produktumsätzen von QUVIVIQ (CHF 2,3 Millionen) und PIVLAZ (CHF 25,1 Millionen), Erlösen aus Kooperationsvereinbarungen mit Janssen Biotech, Inc. (CHF 8 Millionen), Mochida Pharmaceutical Co., Ltd (CHF 4 Millionen) und Neurocrine Biosciences, Inc. (CHF 3 Millionen) sowie Einkünften aus einer mit J&J vereinbarten Umsatzbeteiligung (CHF 1,3 Millionen).

Der US-GAAP-Betriebsaufwand in den ersten neun Monaten 2022 belief sich auf CHF 653 Millionen (CHF 415 Millionen in den ersten neun Monaten 2021), davon CHF 4 Millionen Umsatzkosten, CHF 278 Millionen F&E-Kosten (CHF 288 Millionen in den ersten neun Monaten 2021) und CHF 372 Millionen Vertriebs- und Verwaltungsaufwand (CHF 127 Millionen in den ersten neun Monaten 2021).

Der US-GAAP-Nettoverlust in den ersten neun Monaten 2022 belief sich auf CHF 635 Millionen (CHF 383 Millionen in den ersten neun Monaten 2021). Der höhere Nettoverlust ist hauptsächlich auf höhere Betriebskosten, überwiegend in den kommerziellen Funktionen, und auf ein negatives Finanzergebnis zurückzuführen, das teilweise durch höhere Nettoumsätze ausgeglichen wurde.

Der US-GAAP-Nettoverlust in den ersten neun Monaten 2022 resultierte in einem Nettoverlust pro Aktie von CHF 3,58 (unverwässert sowie verwässert), verglichen mit einem Nettoverlust pro Aktie von CHF 2,29 (unverwässert sowie verwässert) in den ersten neun Monaten 2021.

Non-GAAP*-Ergebnisse in CHF Millionen, ausser Gewinn/Verlust pro Aktie (CHF) und Anzahl Aktien (Millionen)	Neun Monate		Drittes Quartal	
	2022	2021	2022	2021
Nettoeinnahmen	43	30	21	17
Betriebsaufwand	(621)	(388)	(214)	(139)
Betriebsgewinn (-verlust)	(577)	(357)	(193)	(123)
Nettogewinn (-verlust)	(597)	(347)	(202)	(124)
Gewinn/Verlust pro Aktie	(3,36)	(2,08)	(1,14)	(0,74)
Gewichtete durchschnittliche Anzahl Aktien	177,4	167,0	177,5	167,3
Verwässerter Gewinn (Verlust) pro Aktie	(3,36)	(2,08)	(1,14)	(0,74)
Verwässerte gewichtete durchschnittliche Anzahl Aktien	177,4	167,0	177,5	167,3

** Idorsia berechnet, berichtet und prognostiziert Geschäftsergebnisse auf der Grundlage der Non-GAAP operativen Performance. Idorsia ist der Meinung, dass diese Non-GAAP-Messwerte die zugrundeliegende Geschäftsleistung genauer abbilden und deshalb nützliche ergänzende Informationen für Investoren bereitstellen. Diese Non-GAAP-Messwerte werden ergänzend und nicht als Ersatz für die nach US-GAAP erstellten Finanzzahlen ausgewiesen.*

In den ersten neun Monaten 2022 belief sich der Non-GAAP-Nettoverlust auf CHF 597 Millionen: Die Differenz von CHF 38 Millionen zum US-GAAP-Nettoverlust ist hauptsächlich auf Abschreibungen und Amortisationen (CHF 13 Millionen), aktienbasierte Vergütungen (CHF 19 Millionen) und ein negatives nicht-liquiditätswirksames Finanzergebnis (CHF 6 Million) zurückzuführen.

Der Non-GAAP-Nettoverlust pro Aktie in den ersten neun Monaten 2022 belief sich auf CHF 3,36 (unverwässert sowie verwässert), verglichen mit einem Nettoverlust pro Aktie von CHF 2,08 (unverwässert sowie verwässert) in den ersten neun Monaten 2021.

Sale & Leaseback

Im September 2022 traf Idorsia eine Sale-und-Leaseback-Vereinbarung für sein Forschungs- und Entwicklungsgebäude am Hauptsitz in Allschwil mit einem privaten Schweizer Unternehmen. Das Gebäude wurde für CHF 164 Millionen verkauft (Nettoerlös CHF 162 Millionen) und mit Wirkung vom 1. Oktober 2022 zurückgeleast.

Finanzausblick

Im zweiten Quartal 2022 führte Idorsia zwei Produkte in zwei der weltweit grössten Pharmamärkte ein: PIVLAZ (Clazosentan) am 20. April in Japan und QUVIVIQ (Daridorexant) am 2. Mai 2022 in den USA. Am 29. April 2022 wurde QUVIVIQ (Daridorexant) in der Europäischen Union zugelassen und anschliessend in Grossbritannien durch die Medicines and Healthcare Regulatory Agency, während die Zulassung in der Schweiz in den kommenden Monaten erwartet wird. Infolgedessen wird QUVIVIQ vor Jahresende in einem ersten europäischen Markt eingeführt. Mit unserer klinischen Pipeline verzeichneten wir substantielle Fortschritte. Hierzu zählen Highlights wie die positiven Ergebnisse der Phase-3-Registrierungsstudie für Aprocitentan und die japanische Phase-3-Studie für Daridorexant, die Ausdehnung der Patientenrekrutierung für die zulassungsrelevante SOS-AMI-Studie mit Selatogrel sowie der geplante Start von Phase 3 für Cenerimod. Unter Berücksichtigung all dieser Aktivitäten rechnet das Unternehmen für 2022 weiterhin – unter Ausschluss unvorhersehbarer Ereignisse – mit einem US-GAAP-Betriebsverlust von etwa CHF 840 Millionen und einem Non-GAAP-Betriebsverlust von etwa CHF 785 Millionen.

Das Unternehmen ist entschlossen, profitabel zu werden, und erwartet weiterhin, dass dieses Ziel 2025 mit einem Jahresnettoumsatz in Höhe von über CHF 1 Milliarde erreicht werden soll.

André C. Muller, Chief Financial Officer, erläuterte:

„Während das Unternehmen seine strategischen Prioritäten weiter umsetzt, liegt mein Fokus nach wie vor auf der Schliessung der Finanzierungslücke für die Zeit bis zum Erreichen der Profitabilität. Ich bin zuversichtlich, 2022 zusätzliche Mittel durch ein nicht eigenkapitalverwässerndes Instrument zu beschaffen. Ich möchte noch einmal betonen, dass wir uns trotz des unvorteilhaften Währungsumfelds voll darauf konzentrieren, unsere aktuellen Prognosen einzuhalten.“

Finanzmittelbestand und Verschuldung

Am Ende der ersten neun Monate 2022 belief sich die Liquidität von Idorsia (einschliesslich Barmitteln, barmittelähnlichen Beständen sowie kurzfristigen Bankeinlagen) auf CHF 695 Millionen.

(in CHF Millionen)	30. Sept 2022	30. Juni 2022	31. Dez. 2021
Liquidität			
Barmittel und barmittelähnliche Bestände	315	233	101
Kurzfristige Bankeinlagen	380	500	927
Langfristige Bankeinlagen	-	-	160
Finanzmittelbestand gesamt*	695	733	1'188
Finanzverbindlichkeiten			
Wandeldarlehen	335	335	298
Wandelanleihe	795	795	794
Andere finanzielle Verbindlichkeiten	162	-	-
Finanzverbindlichkeiten gesamt	1'291	1'129	1'093

*Rundungsdifferenzen sind möglich

Kommerzielle Tätigkeit

Im dritten Quartal 2022 gewann die Entwicklung von Idorsia angesichts der Einführungen von QUVIVIQ™ (Daridorexant) in den USA und PIVLAZ™ (Clazosentan) in Japan sowie den Vorbereitungen für die Einführung von QUVIVIQ in Europa weiter an Dynamik.

Simon Jose, Chief Commercial Officer von Idorsia, kommentierte:

„Ich bin fest entschlossen, dass die Patienten von unserer Innovation profitieren werden, indem wir QUVIVIQ zu einem weltweit führenden Medikament gegen Insomnie machen. Die wachsende Nachfrage nach QUVIVIQ in den USA bedeutet, dass wir nur sechs Monate nach der Markteinführung kurz davor stehen, das führende Originalpräparat gegen Schlaflosigkeit bei den Erstverordnungen zu werden. Ich freue mich zwar, dass dieser Meilenstein unmittelbar bevorsteht, aber dies ist erst der Anfang für QUVIVIQ. Unsere Marketinganstrengungen, einschliesslich der Konsumentenwerbung, führen zu neuen Patienten, und wir beobachten eine steigende Zahl von Repetier-Rezepten für Patienten, die mit QUVIVIQ begonnen haben. Die steigende Nachfrage bietet eine gute Grundlage für unsere Verhandlungen mit den Kostenträgern. Ausserdem stehen wir nur noch wenige Wochen vor der Markteinführung von QUVIVIQ in Deutschland und Italien, was die Verfügbarkeit des ersten und einzigen DORA in Europa bedeuten wird. In der Zwischenzeit entwickelt sich PIVLAZ in Japan sehr gut. Die Zahl der behandelten Patienten und der Krankenhäuser, die PIVLAZ in ihre Behandlungsprotokolle aufnehmen, steigt von Monat zu Monat weiter an.“

USA

Produkt	Wirkmechanismus	Indikation	Verfügbar seit
QUVIVIQ (Daridorexant) 	Dualer Orexin-Rezeptor-Antagonist	Behandlung von erwachsenen Insomnie-Patienten mit Ein- und/oder Durchschlafschwierigkeiten	2. Mai 2022

QUVIVIQ (Daridorexant) ist in den USA seit etwas mehr als fünf Monaten auf dem Markt und gewinnt weiter an Marktanteil. QUVIVIQ ist auf dem Weg, das nach erstmaligen Verordnungen (NBRx, "new to brand prescriptions") führende Markenprodukt zur Behandlung der Insomnie zu werden. Dabei ist nicht nur eine kontinuierliche Zunahme an Verordnungen an neue Patienten zu verzeichnen, erfreulicherweise nimmt auch die Zahl der Repetier-Rezepte auf wöchentlicher Basis zu - ein Befund, die die Zufriedenheit der Patienten mit der Effizienz des Produkts nahelegt.

Seit der Einführung im Mai erreichte der Umsatz CHF 2,3 Millionen. Wie in den Halbjahresergebnissen erwähnt, bieten wir Patienten ein bedeutendes Zuzahlungsprogramm an, inklusive einer kostenlosen Verschreibung für die ersten 30 Tage, damit sie möglichst früh Zugang zu QUVIVIQ erhalten. Dieser Ansatz unterstützt eine zügige Produktaufnahme, ein wichtiger Punkt in den Gesprächen mit den Kostenträgern. Aus diesem Grund lassen die ausgewiesenen Nettoumsatzzahlen allerdings keinen realistischen Schluss auf die tatsächlichen Verschreibungen und die Nachfrage zu.

QUVIVIQ hat seit der Einführung im Mai von Monat zu Monat starke Zuwächse bei den Verordnungen erreicht und im September eine Gesamtzahl von über 10'000 eingelösten Verschreibungen aufgewiesen. Sowohl neue Verordnungen als auch Repetier-Rezepte wachsen mit ähnlicher Tendenz weiter. Zudem beziehen sich mehr als 70 Prozent der Verordnungen auf die 50 mg-Dosis, von der erwartet wird, dass sie bei der Mehrzahl der Patienten die beste Wirksamkeit aufweist.

Im August wurde in den USA der erste landesweite Fernsehwerbespot mit der ehemaligen Skiweltmeisterin Lindsey Vonn gestartet, der direkt an den Verbraucher gerichtet ist. Erst vor wenigen Wochen wurde der zweite Werbespot mit dem Schauspieler Taye Diggs ausgestrahlt - beide Werbespots laufen derzeit im US-Fernsehen und auf Streaming-Kanälen. Sowohl Lindsey Vonn als auch Taye Diggs sind Patientenbotschafter, die derzeit QUVIVIQ einnehmen und positive Erfahrungen mit dem Produkt machen. Die Werbespots und deren "Ausstrahlung" in organische, bezahlte und soziale Medien führten zu einem unmittelbaren Anstieg der Patientenfragen nach QUVIVIQ und, als Folge, zu einer Zunahme der Neuverordnungen.

Gemeinsam mit der nicht produktbezogenen Aufklärungskampagne *Seize the Night & Day* mit Jennifer Aniston und, wie kürzlich bekannt gegeben, der früheren Olympiasprinterin Gabby Thomas, sollen diese Initiativen dazu beitragen, das Bewusstsein von Patienten zu fördern und Verordnungen zu steigern.

Weitere Informationen über QUVIVIQ in den USA können Sie den [vollständigen Verschreibungsinformationen](#) (Packungsbeilage und Anwendungshinweise) entnehmen.

Region Europa und Kanada

Im April 2022 wurde QUVIVIQ von der Europäischen Kommission und anschliessend - gemäss der Commission Decision Reliance Procedure - von der Medicines and Healthcare products Regulatory Agency (MHRA) in Grossbritannien zugelassen. Weitere Informationen zu QUVIVIQ in der EU sind der [Zusammenfassung der Produkteigenschaften](#) zu entnehmen.

Die Einführungen von QUVIVIQ in Deutschland und Italien sind für November 2022 geplant. Damit wird QUVIVIQ als erster dualer Orexin-Rezeptor-Antagonist in Europa Millionen von Patienten, die unter chronischer Schlaflosigkeit leiden, zur Verfügung stehen. Die Einführungsvorbereitungen in den grossen europäischen Märkten sind auf gutem Wege und unter medizinischen Experten ist eine zunehmende Begeisterung für das differenzierte Profil von QUVIVIQ festzustellen. Die lokalen Teams sind im aktiven Dialog mit den Kostenträgern, um Patienten den Zugang zu QUVIVIQ zu ermöglichen.

Aktuell wird die Zulassung von Daridorexant von Swissmedic und Health Canada geprüft.

Japan

Produkt	Wirkmechanismus	Indikation	Verfügbar seit
PIVLAZ (Clazosentan) 	Endothelin-Rezeptor-Antagonist	Prävention von zerebralen Gefässspasmen, zerebralem Infarkt sowie zerebral-ischämischen Symptomen infolge von Gefässspasmen nach aneurysmatischer Subarachnoidalblutung (aSAH)	20. April 2022

PIVLAZ (Clazosentan) wurde im April 2022 in Japan zur Prävention von zerebralen Gefässspasmen, bei zerebralem Infarkt mit Gefässspasmen sowie zerebral-ischämischen Symptomen bei Patienten nach aneurysmatischer Subarachnoidalblutung (aSAH) eingeführt. Mit einem innovativen Wirkmechanismus sowie nachgewiesener Wirksamkeit und Sicherheit bei japanischen Patienten wird PIVLAZ zunehmend in Arzneimittellisten von Spitälern und Behandlungsprotokollen aufgenommen. Die Anzahl neuer Kunden wächst weiter und über 80 Prozent der Zielkunden haben bereits PIVLAZ bestellt. Ausgehend von der geschätzten Inzidenz von aSAH in Japan, wurden im September 2022 etwa 20 Prozent aller aSAH-Patienten mit PIVLAZ behandelt. Seit der Einführung im April erreichte der Nettoumsatz CHF 25,1 Millionen.

Idorsia hat in der Republik Korea eine Niederlassung eröffnet, um die potenzielle Einführung von Clazosentan vorzubereiten, nachdem der Antrag auf Marktzulassung auf der Grundlage des japanischen klinischen Programms eingereicht wurde.

Klinische Entwicklung

Die diversifizierte und ausgewogene Pipeline von Idorsia mit klinischen Entwicklungskandidaten in verschiedenen therapeutischen Gebieten wie neurologischen, kardiovaskulären und immunologischen Erkrankungen sowie seltenen Krankheiten konnte in den ersten neun Monaten 2022 markante Fortschritte verzeichnen.

Daridorexant wird momentan von Swissmedic und Health Canada geprüft. In Japan wurden im Oktober 2022 positive Ergebnisse einer Phase-3-Studie mit Daridorexant gemeldet, die den Weg für die Einreichung eines Zulassungsantrags beim japanischen Ministerium für Gesundheit, Arbeit und Soziales in der ersten Hälfte des Jahres 2023 ebnen. Weitere Informationen können der dazu veröffentlichten [Pressemitteilung](#) entnommen werden. Idorsia hat eine Dosisfindungsstudie der Phase 2 initiiert, um die Wirksamkeit, Sicherheit und Pharmakokinetik von Daridorexant zur oralen Gabe in multipler Dosierung bei pädiatrischen Insomnie-Patienten zwischen 10 und < 18 Jahren zu ermitteln. Das Studienprogramm wurde in Absprache mit der amerikanischen FDA und der europäischen PDCO auf der Grundlage eines pädiatrischen Studienplans und eines pädiatrischen Untersuchungsplans entwickelt.

Im Mai 2022 gab Idorsia positive Ergebnisse im Rahmen von **PRECISION** bekannt. In dieser Phase-3-Studie wurde **Aprocitentan** bei Patienten untersucht, deren Blutdruck unzureichend kontrolliert ist, obwohl sie bereits mit drei unterschiedlichen Antihypertensiva behandelt werden. Bei Patienten, die unter therapieresistenter Hypertonie litten, konnte nach einer 48-wöchigen Behandlungszeit mit Aprocitentan in Kombination mit einer standardisierten antihypertensiven Hintergrundtherapie eine signifikante Senkung des Blutdrucks festgestellt werden. Weitere Informationen können der dazu veröffentlichten [Pressemitteilung](#) entnommen werden. Das Unternehmen bespricht die Ergebnisse nun mit Gesundheitsbehörden, mit der Absicht gegen Ende des Jahres einen Zulassungsantrag ("New Drug Application") für Aprocitentan bei der amerikanischen FDA und im Anschluss daran bei weiteren Gesundheitsbehörden zu stellen. Idorsia wird die detaillierten Ergebnisse der Phase-3-Studie auch im Rahmen von wissenschaftlichen Präsentationen und in anerkannten Fachpublikationen vorstellen. Am Montag, 7. November, 15:10 bis 15:20 erfolgt anlässlich der Scientific Session der American Heart Association (AHA) zunächst eine Late-Breaking-Science-Präsentation unter dem Titel "Sustained blood pressure lowering effect with the dual endothelin receptor antagonist aprocitentan in resistant hypertension: results from a randomized, controlled study including a withdrawal phase".

Auf der Grundlage des klinischen Programms in Japan wurde die Marktzulassung für **Clazosentan** beim Ministerium für Gesundheit und Wohlfahrt in der Republik Korea beantragt. Der Entscheid wird für die zweite Hälfte 2023 erwartet. Die Patientenrekrutierung für **REACT**, der globalen Phase-3-Studie mit **Clazosentan** zur Verhinderung der klinischen Verschlechterung durch eine vasospasmusbedingte verzögerte zerebrale Ischämie nach einer aneurysmatischen Subarachnoidalblutung, wurde mit 409 Patienten, die entweder mit mikrochirurgischem Clipping oder endovaskulärem Coiling behandelt wurden, abgeschlossen. Die Patienten erhalten im Verhältnis 1:1 entweder 15 mg/Stunde Clazosentan oder Placebo. Mit dem Abschluss der Studie wird Ende 2022 gerechnet. Die Publikation der Ergebnisse ist für das erste Quartal 2023 vorgesehen.

Im Oktober 2022 nahm Idorsia eine weitere Interimsanalyse der offenen Anschlussstudie (open-label-extension – OLE) der Phase-3-Studie **MODIFY** mit **Lucerastat** zur Behandlung erwachsener Patienten mit Morbus Fabry vor. Die Daten umfassen den plazebokontrollierten 6-monatigen Behandlungszeitraum sowie die Analyse der Patienten, die in der OLE weiterbehandelt und nun alle mindestens 12 Monate lang mit Lucerastat behandelt wurden. Die Analyse bestätigte die langfristige Wirkung auf die Verringerung des Gb3-Plasmaspiegels und zeigte, dass das nach sechsmonatiger Behandlung beobachtete Signal hinsichtlich der Nierenfunktion auch nach der längeren Behandlungsdauer bestätigt wird und auf eine potenzielle langfristige Wirkung auf die

Nierenfunktion hindeutet. Die Analyse bestätigte auch ein Sicherheits- und Verträglichkeitsprofil, das mit dem während der 6-monatigen randomisierten Behandlungsphase beobachteten übereinstimmt. Die OLE-Studie wird fortgesetzt, und das Unternehmen beabsichtigt, sich in der ersten Hälfte des Jahres 2023 mit den Gesundheitsbehörden zu beraten, um die zusätzlich erhobenen Daten zu erörtern.

Für die Phase-3-Studie mit **Selatogrel** werden derzeit Patienten rekrutiert. Ziel ist es, etwa 14'000 Patienten mit einem hohen Risiko für rezidivierenden akuten Myokardinfarkt in die Studie aufzunehmen. Die Zahl der rekrutierten Patienten steigt in dem Masse, in dem neue Studienzentren einbezogen werden. Geplant sind mehr als 500 Studienzentren in 45 Ländern.

Die CARE-Studie der Phase 2b mit **Cenerimod** hat den 12-monatigen Behandlungszeitraum abgeschlossen. Die Analyse der Ergebnisse stützt unsere Entscheidung, Cenerimod 4 mg für die Behandlung von systemischem Lupus Erythematoses im Rahmen eines Phase-3-Programms weiter zu untersuchen. Nach erfolgter Abstimmung mit den Gesundheitsbehörden werden nun die Vorbereitungen für die Studien getroffen. Die Ergebnisse von CARE werden anlässlich der vom 10. bis zum 14. November 2022 stattfindenden Convergence 2022 des American College of Rheumatology (ACR) von Dr. Anca Askanase, MPH (Direktor und Gründer des Columbia Lupus Center und Associate Professor für Medizin an der Columbia University) sowie im Rahmen einer Poster-Präsentation von Daniel Strasser (Senior Scientific Expert Clinical Biomarkers, Idorsia), vorgestellt.

Abstract Nummer 1656; [Efficacy and Safety of Cenerimod in Patients with Moderate to Severe Systemic Lupus Erythematosus \(SLE\): A Multicenter, Randomized, Parallel-Group, Double-Blind, Placebo-Controlled, Dose-Finding Phase 2b Trial.](#)

Abstract Nummer 1002: [Investigation of Pharmacodynamic Biomarkers in a Phase 2b Study in Patients with Moderate to Severe SLE Treated with the S1P₁ Receptor Modulator Cenerimod.](#)

Dr. Alberto Gimona, Head of Global Clinical Development bei Idorsia, kommentierte:

„Wir sind sehr erfreut, dass die CARE-Studie beim ACR vorgestellt wird, und ich freue mich darauf, dass die Lupus-Gemeinschaft sehen wird, dass Cenerimod 4 mg im Vergleich zu Placebo eine konsistente, klinisch bedeutsame und anhaltende Verbesserung bei mehreren Messgrößen der SLE-Krankheitsaktivität im Vergleich zu den Ausgangswerten zeigt. Diese konsistente Wirkung der 4-mg-Dosis zeigte sich insbesondere bei Patienten mit Markern, die mit einer schwereren Erkrankung einhergehen. Wir konnten auch ein gutes Sicherheitsprofil feststellen, das mit dem Wirkmechanismus übereinstimmt, so dass wir mit der Dosis fortfahren können, die eine optimale Wirksamkeit bietet. Zusammenfassend lässt sich sagen, dass CARE für die Planung des Phase-3-Programms äusserst hilfreich war. Das Team wird nun die Vorbereitungen für das Phase-3-Programm beginnen.“

Die klinische Entwicklungspipeline von Idorsia

Wirkstoff	Wirkmechanismus	Zielindikation	Stand
Daridorexant	Dualer Orexin-Rezeptor-Antagonist	Insomnie	Zugelassen in der EU und in UK Zulassungsverfahren in der Schweiz und in Kanada läuft Phase 3 in Japan erfolgreich abgeschlossen – Antrag zur Zulassung für 1. Halbjahr 2023 erwartet Phase 2 in pädiatrischer Insomnie – Patientenrekrutierung läuft
Aprocitentan*	Dualer Endothelin-Rezeptor-Antagonist	Therapieresistente Hypertonie	Phase 3 erfolgreich abgeschlossen – Antrag zur Zulassung bis Ende 2022
Clazosentan	Endothelin-Rezeptor-Antagonist	Zerebrale Gefäßspasmen in Verbindung mit aneurysmatischen Subarachnoidalblutungen	Globale Phase 3 – Patientenrekrutierung abgeschlossen
Lucerastat	Glucosylceramid-Synthase-Inhibitor	Morbus Fabry	Phase 3 primärer Endpunkt nicht erreicht, OLE-Anschlussstudie läuft**
Selatogrel	P2Y ₁₂ -Rezeptor-Antagonist	Verdacht auf akuten Myokardinfarkt	Phase 3 Patientenrekrutierung läuft
Cenerimod	S1P ₁ -Rezeptor-Modulator	Systemischer Lupus Erythematodes	Phase 3 in Vorbereitung
ACT-539313	Selectiver Orexin-1-Rezeptor-Antagonist	In Prüfung	-
ACT-1004-1239	ACKR3/CXCR7-Antagonist	Multiple Sklerose	Phase 2 in Vorbereitung
Sinbaglustat	GBA2/GCS-Inhibitor	Seltene Lipidspeicherkrankheiten	Phase 1 abgeschlossen
ACT-1014-6470	-	Immunologie	Phase 1
ACT-777991	CXCR3-Antagonist	Neu auftretender Typ-1-Diabetes	Phase 1

* In Zusammenarbeit mit Janssen Biotech zur gemeinsamen Entwicklung von Aprocitentan. Janssen Biotech besitzt exklusive globale Kommerzialisierungsrechte

** Offene Verlängerungsstudie

Neurocrine Biosciences besitzt eine globale Lizenz zur Entwicklung und Vermarktung von ACT-709478 (NBI-827104), einem neuartigen Typ-T-Kalzium-Kanal-Blocker von Idorsia. ACT-709478 wird im Moment in einer Phase-2-Studie für die Behandlung einer seltenen Form pädiatrischer Epilepsie untersucht.

Einzelheiten zum gegenwärtigen Stand jedes einzelnen Portfolioprojekts finden sich in unserem [Innovation Fact Sheet](#).

Neun-Monats-Finanzbericht

Die vollständigen Finanzergebnisse können im Neun-Monats-Finanzbericht 2022 von Idorsia über <https://www.idorsia.com/investors/financial-information/financial-archive> eingesehen werden.

Results Day Center

Unser Service für Investoren: Um Ihnen die Arbeit zu erleichtern, stellen wir im "Results Day Center" auf unserer Unternehmenswebseite unter www.idorsia.com/results-day-center alle relevanten Dokumente zur Verfügung.

Vorschau auf Finanzinformationen

- Bekanntgabe der Finanzergebnisse für das Jahr 2022 am 7. Februar 2023
- Bekanntgabe der Finanzergebnisse für das erste Quartal 2023 am 25. April 2023
- Generalversammlung der Aktionäre am 4. Mai 2023
- Bekanntgabe der Finanzergebnisse für das erste Halbjahr 2023 am 25. Juli 2023

Anmerkungen für Herausgeber

Über Idorsia

Idorsia Ltd hat anspruchsvolle Ziele – wir haben mehr Ideen, sehen mehr Möglichkeiten und möchten mehr Patienten helfen. Um diesen Zielen gerecht zu werden, möchten wir Idorsia zu einem führenden biopharmazeutischen Unternehmen mit einem leistungsfähigen wissenschaftlichen Kern aufbauen.

Am Hauptsitz des Unternehmens in der Schweiz - einem Biotech-Knotenpunkt in Europa - hat sich Idorsia auf die Entdeckung und Entwicklung von niedermolekularen Wirkstoffen zur Erschliessung neuer Behandlungsmöglichkeiten spezialisiert. Mit einem umfassenden Portfolio innovativer Arzneimittel in der Pipeline, einem erfahrenen Team von Experten aller Disziplinen vom Labor bis zur Klinik, hochmodernen Forschungseinrichtungen und einer soliden Bilanzstruktur verfügt Idorsia über ideale Voraussetzungen, um F&E-Aktivitäten in Geschäftserfolge umzusetzen.

Idorsia ist seit Juni 2017 an der SIX Swiss Exchange (Symbol: IDIA) kotiert und arbeitet mit über 1'200 hochqualifizierten Fachkräften an der Umsetzung ihrer ehrgeizigen Ziele.

Für weitere Informationen wenden Sie sich bitte an:

Andrew C. Weiss

Senior Vice President, Head of Investor Relations & Corporate Communications

Idorsia Pharmaceuticals Ltd, Hegenheimermattweg 91, CH-4123 Allschwil

+41 58 844 10 10

investor.relations@idorsia.com – media.relations@idorsia.com – www.idorsia.com

Die oben aufgeführten Informationen enthalten gewisse zukunftsgerichtete Aussagen betreffend des Geschäfts der Gesellschaft, die durch Benutzung von Begriffen wie "schätzt", "glaubt", "erwartet", "werden", "sollte", "würde", "suchen", "pendent", "geht davon aus" oder ähnlichen Ausdrücken sowie durch Diskussion von Strategie, Plänen oder Absichten identifiziert werden können. Derartige Aussagen beinhalten Beschreibungen der Forschungs- und Entwicklungsprogramme der Gesellschaft und den damit in Zusammenhang stehenden Aufwänden, Beschreibungen von neuen Produkten, welche voraussichtlich durch die Gesellschaft zum Markt gebracht werden und die Nachfrage für solche bereits existierenden oder erst in Aussicht stehenden Produkte. Derartige zukunftsgerichtete Aussagen reflektieren die gegenwärtigen Ansichten der Gesellschaft bezüglich dieser zukünftigen Ereignisse und unterliegen bekannten und unbekanntem Risiken, Unsicherheiten und Annahmen. Viele Faktoren können die effektive Performance, Resultate oder Leistungen beeinflussen, sodass sie erheblich von derartigen ausdrücklichen oder implizit erwähnten zukunftsgerichteten Aussagen abweichen können. Sollten eines oder mehrere dieser Risiken eintreten oder Annahmen sich als nicht korrekt herausstellen, können die effektiven Resultate der Gesellschaft erheblich von den erwarteten abweichen.