

Santhera unterzeichnet Gentherapie-Vereinbarung mit SEAL Therapeutics

Pratteln, Schweiz, 28. Februar 2022 - Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt die Unterzeichnung einer Vereinbarung mit SEAL Therapeutics für einen Gentherapieansatz zur Behandlung von kongenitaler Muskeldystrophie bekannt.

Santhera hat mit SEAL Therapeutics, einem Spin-off-Unternehmen des Biozentrums der Universität Basel, eine Vereinbarung zur Weiterentwicklung eines gentherapeutischen Ansatzes zur Behandlung von LAMA2-defizienter kongenitaler Muskeldystrophie (LAMA2 MD) geschlossen. Santhera hat Anspruch auf Zahlungen aus den zukünftigen Erträgen von SEAL Therapeutics.

Frühere Lizenzvereinbarungen und präklinische Kooperationen, welche zwischen Santhera und der Universität Basel sowie auch mit Rutgers, The State University of New Jersey, bestanden, wurden aufgelöst. SEAL Therapeutics wird die Gentherapie-Technologie weiterentwickeln und dabei auf den bestehenden Forschungsergebnissen des Biozentrums Basel und der Rutgers-Universität aufbauen, die beide zuvor teilweise von Innosuisse und/oder Santhera finanziert wurden. Das neue Unternehmen strebt eine Zusammenarbeit mit einem Pharmapartner an, der über Erfahrung mit Gentherapie-Technologien für die klinische Entwicklung und Registrierung verfügt, mit dem Ziel, diesen innovativen Behandlungsansatz für Patienten mit LAMA2 MD und ihre Familien verfügbar zu machen.

Die neue Vereinbarung erlaubt es Santhera, sich auf ihre klinischen Kernprodukte Vamorolone und Lonodelestat zu konzentrieren und Ressourcen freizusetzen, um diese Plattformpräparate bis zur Zulassung und Markteinführung voranzutreiben.

Dario Eklund, Chief Executive Officer von Santhera, sagte: "Der Fortschritt dieses präklinischen Gentherapieprogramms ist ermutigend, jedoch konzentrieren wir uns weiterhin auf die Entwicklung unserer wichtigsten Pipeline-Projekte Vamorolone und Lonodelestat. SEAL Therapeutics ist gut positioniert, um auf dieser bahnbrechenden Forschung aufzubauen und einen qualifizierten Pharmapartner im Bereich der Gentherapie zu gewinnen."

Die Möglichkeiten eines neuartigen gentherapeutischen Ansatzes zur Behandlung der sogenannten Laminin-alpha 2 (LAMA2)-defizienten kongenitalen Muskeldystrophie ("LAMA2 MD", auch bekannt als "MDC1A"), einer Form von vererbter und fortschreitender Muskelschwäche mit Symptomen, die bereits im Neugeborenen- oder Säuglingsalter beginnen, wurden in früheren präklinischen Arbeiten an der Universität Basel und Rutgers entwickelt und untersucht [1-6]. Die Ergebnisse dieser präklinischen Forschung deuten darauf hin, dass die gleichzeitige Expression spezifisch gestalteter kleiner Proteindomänen (Strukturen, die einen Teil eines Proteins bilden), sogenannter Linker-Proteine, ein krankheitsmodifizierendes Potenzial bei Patienten mit LAMA2 MD haben könnte. Die Forscher konnten nachweisen, dass diese Linker-Proteine die Stabilität der Muskelmembranen verbessern, indem sie die mangelhafte Funktionalität von Laminin-alpha2 kompensieren und zu einer verbesserten Muskelhistologie und -funktion sowie zu einer deutlich verlängerten Lebenserwartung in entsprechenden Mausmodellen führen.

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. Das Unternehmen plant die Einreichung eines Zulassungsantrags (NDA) bei der US FDA im ersten Quartal 2022. Die klinische Pipeline umfasst auch Lonodelestat zur Behandlung von Mukoviszidose (CF) und anderen neutrophilen Lungenkrankheiten. Santhera hat die Rechte an ihrem ersten zugelassenen Produkt, Raxone® (Idebnon), ausserhalb Nordamerikas und Frankreichs für die Behandlung der Leber hereditären Optikusneuropathie (LHON) an die Chiesi-Gruppe auslizenziert. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.santhera.com.

Raxone® ist eine Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Über SEAL Therapeutics

SEAL Therapeutics AG, ein Spin-off des Biozentrums der Universität Basel, entwickelt seine proprietäre SEAL-Technologie als potenzielle gentherapeutische Behandlung von Laminin- α 2-defizienter kongenitaler Muskeldystrophie (LAMA2 MD; auch MDC1A genannt). SEAL wurde von Prof. Rüegg und Dr. Reinhard vom Biozentrum und Dr. Meier, Verwaltungsrat von Santhera Pharmaceuticals, gegründet. SEAL Therapeutics beabsichtigt, einen qualifizierten Pharmapartner mit Erfahrung in fortgeschrittenen Gentherapie-Technologien für die klinische Entwicklung und Registrierung zu finden und zu unterstützen, mit dem Ziel, diesen innovativen Behandlungsansatz für LAMA2 MD-Patienten und ihre Familien verfügbar zu machen. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.sealtherapeutics.com.

Literaturverweise:

- [1] Moll, J. et al. (2001). Nature 413(6853): 302-307.
- [2] Meinen, S. et al. (2007). J Cell Biol 176(7): 979-993.
- [3] McKee, K. K. et al. (2017). J Clin Invest 127(3): 1075-1089.
- [4] Reinhard, J. R. et al. 2017). Sci Transl Med 9(396).
- [5] Reinhard, J. et al (2020). Neuromuscular Disorders 30, S103.
- [6] Reinhard, J. et al, (2021). Neuromuscular Disorders 31, S70.

Für weitere Informationen 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

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.