

Santhera präsentiert Langzeitdaten mit Puldysa® (Idebenon) bei Duchenne-Muskeldystrophie an bevorstehenden medizinischen Fachkongressen

Pratteln, Schweiz, 17. September 2019 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) wird Daten zur therapeutischen Wirkung einer Langzeitbehandlung mit Puldysa® (Idebenon) bei Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) an den medizinischen Fachkongressen der European Paediatric Neurology Society (EPNS), der European Respiratory Society (ERS) und der World Muscle Society (WMS) präsentieren. Zudem werden klinische Experten mehrere Poster zur Entwicklung der Atmungsfunktion und Therapieeffekt von Idebenon bei Patienten mit DMD vorstellen.

„Wir sehen es als Zeichen der Anerkennung, unser umfassendes Datenpaket einschliesslich neuer Langzeitdaten an so renommierten medizinischen Kongressen mitteilen zu können“, sagte **Kristina Sjöblom Nygren, MD, Chief Medical Officer und Head of Development** von Santhera. „Die bisher erhobenen Daten deuten auf ein krankheitsmodifizierendes Potenzial von Puldysa hin, was für DMD-Patienten mit Atmungsfunktionsverlust und ohne Behandlungsalternativen von grösster Bedeutung ist.“

Führende klinische Experten werden aggregierte Daten und neue Analysen aus der Phase-II-Studie (DELPHI) von Santhera, der Langzeit-DELPHI-Extension-Studie, der pivotalen Phase-III-Studie (DELOS) [1-5] und der SYROS-Studie präsentieren, in denen Patienten bis zu 6 Jahre lang mit Idebenon behandelt wurden. Zusammenfassend zeigen diese Daten:

- Die Langzeitbehandlung mit Idebenon kann die Abnahmerate der Atmungsfunktion kontinuierlich und nachhaltig verringern.
- Die Verlangsamung des Atmungsfunktionsverlustes ist von prädiktivem Wert für wichtige patientenrelevante klinische Ereignisse und kann die Zeit bis zur Notwendigkeit einer Atmungsunterstützung verzögern.
- Das Risiko von bronchopulmonalen Komplikationen kann sich bei Langzeitbehandlung mit Idebenon reduzieren, was sich in weniger häufigen und weniger schweren pulmonalen Erkrankungen zeigt.
- Die Übereinstimmung der Behandlungsergebnisse zwischen zwei randomisierten Studien und ihren jeweiligen Langzeitdatenerhebungen unterstützt die Bedeutung des beobachteten Behandlungseffekts und weist auf das Potenzial von Idebenon hin, den Erhalt der Atmungsfunktion zu unterstützen.

Die Kongressposter sind ab dem Tag nach der jeweiligen Konferenz auf der Website von Santhera unter <http://www.santhera.com/investors-and-media/news-and-media-center/scientific-presentations> verfügbar.

Die vollständige Liste der Poster und Symposien ist untenstehend einsehbar:

EPNS – 13th European Paediatric Neurology Society Congress

17.-21. September 2019 | Megaron Athens International Conference Centre | Athen, Griechenland

Symposium

„Targeting respiratory dysfunction in DMD“

20. September 2019 | 13:00-14:30 | Mitropoulos Hall

- Welcome and introduction – Argirios Dinopoulos, MD, PhD (Athen, Griechenland)
- Respiratory function decline as a predictor of clinical outcomes – Oscar H Mayer, MD (Philadelphia, USA)
- Altering the course of respiratory dysfunction in DMD – Laurent Servais, MD, PhD (Oxford, UK und Liège, Belgien)
- Summary, Q & A and Close – Argirios Dinopoulos, MD, PhD

Posters

Poster Session 11: Neuromuscular

20. September 2019 | 12:15-13:00 | Poster Area

- Poster #140: Servais et al.: Consistent long-term effect of idebenone on the rate of respiratory function decline in advanced patients with Duchenne muscular dystrophy (DMD)
- Poster #138: Servais et al.: Long term analysis of the rate of respiratory function decline in patients with Duchenne muscular dystrophy (DMD) in a real-world setting: The SYROS study

ERS –European Respiratory Society International Congress

28. September - 2. Oktober 2019 | IFEMA Exhibition Centre | Madrid, Spanien

Oral abstract presentation

Rare and ultra-rare diseases and the lungs: updates and new perspectives

2. Oktober 2019 | 11:45-12:15 | Session 551, 9B

- OA5330: Mayer et al.: Evaluating the effect of long-term idebenone treatment on respiratory morbidity in patients with Duchenne muscular dystrophy (DMD)
- OA5331: Mayer et al.: Long term efficacy: Idebenone reduces the rate of both inspiratory and expiratory functional loss in Duchenne muscular dystrophy (DMD)

Die ePoster der Vorträge werden während des gesamten Kongresses im Postersaal zur Verfügung stehen.

WMS – 24th International Annual Congress of the World Muscle Society

1.-5. Oktober 2019 | Tivoli | Kopenhagen, Dänemark

Symposium

“Beyond the wheelchair: Targeting respiratory dysfunction in DMD”

2. Oktober 2019 | 18:30-20:00 | Raum Axelborg

- Welcome and introduction – Eugenio Mercuri, MD, PhD (Rom, Italien)
- Respiratory function decline as a predictor of clinical outcomes: Insights from natural history – Craig M. McDonald, MD (Sacramento, CA, USA)
- Beyond the wheelchair: Measuring clinical significance for patients – Laurent Servais, MD, PhD (Oxford, UK und Liège, Belgien)
- What should we expect for the treatment of respiratory dysfunction in DMD: rate change as the therapeutic goal? – Eugenio Mercuri, MD, PhD
- Q&A and Close – Eugenio Mercuri, MD, PhD

Posters

Poster Session DMD clinical (P.258-268)

4. Oktober 2019 | 15:00-16:15 | Poster Area

- Poster #P261: Buyse et al.: Consistent long-term effect of idebenone in reducing respiratory function decline in advanced patients with Duchenne muscular dystrophy (DMD)
- Poster #P264: Servais et al.: SYROS study -- long-term reduction in rate of respiratory function decline in patients with Duchenne muscular dystrophy (DMD) treated with idebenone

Literaturverweise:

- [1] Buyse et al. (2015), The Lancet 385:1748-1757
- [2] McDonald et al. (2016), Neuromuscular Disorders 26:473-480
- [3] Buyse et al. (2017), Pediatric Pulmonology 52:508-515
- [4] Mayer et al. (2017), Journal of Neuromuscular Diseases 4:189-198
- [5] Buyse et al. (2018), Journal of Neuromuscular Diseases 5: 419-430

Über Duchenne-Muskeldystrophie

DMD, eine der am weitesten verbreiteten und schwerwiegendsten Formen von fortschreitender Muskelschwäche und Muskelschwund, tritt bereits im frühen Kindesalter auf und führt aufgrund von Atmungsfunktionsverlust zu früher Morbidität und Mortalität. DMD ist eine genetische, degenerative Erkrankung, die fast ausschliesslich Knaben betrifft und weltweit mit einer Inzidenz von bis zu 1 in 3'500 männlichen Lebendgeburten vorkommt. Charakteristisch für DMD ist der Verlust des Proteins Dystrophin, der zu Zellschädigung, gestörtem zellulärem Kalziumhaushalt, erhöhtem oxidativem Stress und verringerter zellulärer Energieproduktion in Muskelzellen führt. Die mit zunehmendem Alter fortschreitende Schwäche der Atemmuskulatur betrifft primär die Thorakalmuskulatur und das Zwerchfell. Als Folge treten wiederkehrende pulmonale Infektionen aufgrund von ineffektivem Husten und der Ansammlung von Atemwegssekreten und schliesslich Atmungsfunktionsverlust auf. Derzeit gibt es keine zugelassene Behandlung zur Verlangsamung des Atmungsfunktionsverlustes für Patienten mit DMD.

Über Idebenon bei Duchenne-Muskeldystrophie

Idebenon ist ein synthetisches Benzoquinone und Kofaktor für das zelluläre Enzym NAD(P)H:quinone oxidoreductase (NQO1). Der Wirkstoff kann den mitochondrialen Elektronentransport stimulieren, den oxidativen Stress vermindern und die zelluläre Energieversorgung verbessern.

DELOS war eine Phase-III, doppelblinde, Placebo-kontrollierte Studie über 52 Wochen mit 64 Patienten ohne Glukokortikoid-Begleittherapie, welche entweder Idebenon (900 mg/Tag) oder entsprechendes Placebo erhielten. Die Studie erreichte den primären Endpunkt, eine Veränderung der maximalen expiratorischen Atemflussrate (Peak Expiratory Flow, PEF) und zeigte, dass Idebenon den Verlust der Atmungsfunktion verzögern kann. Zusätzliche unterstützende Daten zur Wirksamkeit von Idebenon zeigte die Phase-II, doppelblinde, Placebo-kontrollierte DELPHI-Studie sowie deren 2-jährige offene Verlängerungsstudie (DELPHI-E).

SYROS war eine prospektiv geplante Erhebung von retrospektiven Langzeitdaten zur Atmungsfunktion im Praxisalltag von 18 Patienten, welche die DELOS-Studie abgeschlossen hatten und anschliessend Idebenon (900 mg/Tag) im Rahmen von erweiterten Zugangsprogrammen erhielten. Diese langfristigen

Daten zeigten, dass der zuvor beobachtete positive Effekt von Idebenon bei der Verringerung der Abnahme der Atmungsfunktion über einen Behandlungszeitraum bis zu 6 Jahren aufrechterhalten wurde.

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 medizinischen 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 das first-in-class dissoziative Steroid Vamorolone, welches 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.

###