

## **Santhera erwirbt Rechte an neuartiger Behandlung primär-progredienter Multipler Sklerose von den US National Institutes of Health**

Liestal, Schweiz, 6. Juni 2013 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) gibt heute den Erwerb einer exklusiven Lizenz von den US National Institutes of Health (NIH) an einem in den USA bereits erteilten Patent für die Anwendung von Idebenone zur Behandlung primär-progredienter Multipler Sklerose (ppMS) bekannt. Aktuell existiert keine Behandlungsmöglichkeit für ppMS, von der allein in den USA etwa 40 000 Patienten betroffen sind. Die NIH untersuchen derzeit die Wirkung von Catena<sup>®</sup> (Idebenone) zur Behandlung von ppMS in einer Placebo-kontrollierten Phase-II-Studie.

Unter der Leitung der neuroimmunologischen Abteilung des National Institute of Neurological Disorders and Stroke (NINDS) prüfen die NIH die Wirksamkeit von Catena<sup>®</sup> (Idebenone) bei ppMS-Patienten in einer doppelblinden Placebo-kontrollierten Phase-II-Studie (IPPoMS-Studie). Santhera liefert bereits die Studienmedikation und hat im Gegenzug Rechte an den Resultaten. Santhera hat neu auch exklusive Rechte an einem in den USA bereits erteilten Patent für die Anwendung von Idebenone zur Behandlung von ppMS. Kürzlich hat Santhera mit den NIH ein sogenanntes Materials Cooperative Research and Development Agreement (M-CRADA) unterzeichnet, das dem NIH erlaubt, Patienten im Anschluss an die IPPoMS-Studie in eine 12-monatige offene Verlängerungsstudie einzuschliessen.

«Im Unterschied zu Patienten mit schubförmig remittierenden MS-Formen sprechen ppMS-Patienten nicht auf immunregulierende Therapien an», erklärt Bibiana Bielekova, M.D, leitende Studienärztin von IPPoMS und Leiterin der Abteilung Neuroimmunologie am NINDS. «Immer mehr Daten deuten darauf hin, dass eine mitochondriale Fehlfunktion sowie oxidativer Stress bei der Krankheitsentstehung von ppMS eine zentrale Rolle spielen. In Labormodellen verbessert Idebenone die Funktionen der Mitochondrien und wirkt als Antioxidans gegen Schädigungen von Zellmembranen. Auf der Basis dieser pharmakologischen Eigenschaften stellt Idebenone eine Behandlungsoption für ppMS dar. Die Rekrutierung von Patienten zur Teilnahme an der IPPoMS-Studie schreitet zügig voran. Wir sind sehr erfreut über die Möglichkeit, das Potenzial von Idebenone in dieser derzeit unheilbaren Krankheit zu untersuchen.»

«Wir sind über die Zusammenarbeit mit den NIH und die aktuellen Fortschritte begeistert», kommentiert Nick Coppard, Leiter Entwicklung von Santhera. «ppMS ist eine Krankheit mit einem hohen medizinischen Bedarf. Im Unterschied zu anderen MS-Formen existiert keine Behandlungsoption für die rund 10 bis 15 % der MS-Patienten, welche an dieser primär-progredienten Unterform leiden.»

### **Über Primär-progrediente Multiple Sklerose**

Multiple Sklerose (MS) ist eine chronisch verlaufende Autoimmunerkrankung des zentralen Nervensystems. Weltweit sind rund 2,5 Millionen Menschen von MS betroffen. Aufgrund von MRI-Befunden können verschiedene klinische Formen von MS unterschieden werden. Die Mehrheit der neu diagnostizierten MS-Patienten entwickelt eine sog. schubförmig remittierende Multiple Sklerose (relapsing-remitting MS oder rrMS). Für diese Unterform sind wiederholte Krankheitsschübe charakteristisch, auf welche jeweils wieder Phasen der Besserung folgen. Behandlungsoptionen für rrMS beschränken sich derzeit auf immunmodulierende Therapien, welche jedoch bei ppMS-Patienten wirkungslos sind. Diese Unterform zeigt einen deutlich langsameren Verlauf und ist aber durch eine kontinuierliche Zunahme neurologischer Ausfallerscheinungen ohne zwischenzeitliche Verbesserung gekennzeichnet. Gemäss der MS Association of America (MSAA) leben allein in den USA rund 40 000 Patienten mit ppMS.

### **Über Idebenone als Behandlungsmöglichkeit für ppMS**

Fehlfunktion der Mitochondrien und Überproduktion von zellschädigenden reaktiven Radikalen werden mit als Ursachen für die fortschreitende Gewebszerstörung des zentralen Nervensystems bei ppMS Patienten angesehen. Idebenone ist als synthetisches Benzoquinone und Co-Faktor des Enzyms NAD(P)H:quinoneoxidoreductase (NQO1) in der Lage, Elektronen direkt auf den Komplex III der mitochondrialen Atmungskette zu transferieren und damit die zelluläre Energieversorgung zu unterstützen. Ausserdem ist Idebenone ein wirksames Antioxidans. Im Hinblick auf die Beteiligung von mitochondrialer Fehlfunktion und vor allem die reduzierte Aktivität der mitochondrialen Atmungskette in Patienten mit ppMS, könnte Idebenone, basierend auf dessen pharmakologischer Eigenschaften und der Fähigkeit, die Blut-Hirn-Schranke zu überwinden, eine erste Behandlungsmöglichkeit für diese Krankheit darstellen.

### **Über die IPPoMS-Studie**

An der Phase-I/II-Studie nehmen erwachsene ppMS-Patienten im Alter von bis zu 65 Jahren mit bis zu moderat schweren Krankheitsanzeichen teil. Das adaptive Studiendesign von IPPoMS beginnt mit einer einjährigen Beobachtungsperiode, während der patientenspezifische Biomarker des Krankheitsverlaufs sowie Neuroimaging-Daten und klinische Verlaufsdaten erhoben werden, auf deren Basis dann der primäre Endpunkt und weitere Wirksamkeitsparameter der Studie ausgewählt werden. An diese Beobachtungsphase schliesst eine doppelblinde, Placebo-kontrollierte zweijährige Behandlungsperiode an, während der Patienten entweder Idebenone (2250 mg/Tag) oder ein

Placebo erhalten. Weitere Informationen zur Studie sind unter [www.clinicaltrials.gov](http://www.clinicaltrials.gov) (NCT00950248) zu finden.

\* \* \*

### **Über das US National Institute of Neurological Disorders and Stroke**

Das National Institute of Neurological Disorders and Stroke (NINDS, [www.ninds.nih.gov](http://www.ninds.nih.gov)) ist das führende Forschungsinstitut in den USA zur Erforschung des Gehirns und des Nervensystems. Die Mission des NINDS ist, die Auswirkungen neurologischer Krankheiten zu verringern, welche auf der ganzen Welt Menschen aller Altersgruppen und Gesellschaftsschichten betreffen. Die **National Institutes of Health** (NIH) gehören zum US Department of Health and Human Services und sind mit ihren 27 Forschungsinstituten die wichtigste medizinische Bundesbehörde in den USA zur Unterstützung und Durchführung medizinischer Grundlagenforschung sowie klinischer Studien zur Erforschung von Ursachen, Behandlungen und Heilung allgemeiner und seltener Krankheiten. Weitere Informationen über das NINDS und die NIH sind unter [www.ninds.nih.gov](http://www.ninds.nih.gov) resp. [www.nih.gov](http://www.nih.gov) zu finden.

### **Über Santhera**

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein auf die Entwicklung und die Vermarktung innovativer Medikamente zur Behandlung seltener neuromuskulärer und mitochondrialer Krankheiten fokussiertes Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen. Aufgrund der Seltenheit besteht bei vielen dieser Erkrankungen ein hoher medizinischer Bedarf. Weitere Informationen zu Santhera finden Sie unter [www.santhera.com](http://www.santhera.com).

*Catena<sup>®</sup> ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.*

### **Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an**

Thomas Meier, Chief Executive Officer

Tel. +41 61 906 89 64

[thomas.meier@santhera.com](mailto:thomas.meier@santhera.com)

### **Disclaimer/zukunftsgerichtete Aussagen**

Diese Publikation stellt weder ein Angebot noch eine Einladung dar, Wertschriften von Santhera Pharmaceuticals Holding AG zu erwerben oder zu zeichnen. Diese Veröffentlichung kann gewisse in die Zukunft gerichtete Aussagen über Santhera und ihre Geschäftsaktivitäten enthalten. Solche Aussagen beinhalten gewisse Risiken, Unsicherheiten und andere Faktoren, die zur Folge haben können, dass tatsächlich erzielte Geschäftsergebnisse, die finanzielle Verfassung, die Leistungsfähigkeit und die Zielerreichung wesentlich von dem abweichen, was in solchen Aussagen implizit oder explizit erwähnt ist. Leserinnen und Leser sollten diesen Aussagen daher kein übermässiges Gewicht beimessen; dies ganz besonders nicht im Zusammenhang mit Verträgen oder Investitionsentscheidungen. Santhera übernimmt keine Verpflichtung, diese in die Zukunft gerichteten Aussagen zu aktualisieren.

*Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.*