

Santhera erhält Forschungsgelder von AFM für das Omigapil-Programm in kongenitaler Muskeldystrophie

Liestal, Schweiz, 3. November 2009 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN), ein auf seltene neuromuskuläre Erkrankungen fokussiertes Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, erhält von der Association Française contra les Myopathies (AFM) eine finanzielle Unterstützung in der Höhe von CHF 1 Million für das Entwicklungsprogramm mit SNT-317 (INN: omigapil) in kongenitaler Muskeldystrophie (CMD). CMD ist eine schwere genetische Erkrankung, welche häufig schon bei Kleinkindern auftritt und zu lebensgefährlichem, fortschreitendem Muskelschwund führt. Die französische Patientenorganisation finanziert die verbleibenden nicht-klinischen Arbeiten, die notwendig sind, damit das Medikament in klinischen Studien mit Kindern getestet werden kann. Eine vor kurzem erschienene Publikation im Journal of Pharmacology and Experimental Therapeutics bestätigt die Wirksamkeit von SNT-317/omigapil in einem krankheitsrelevanten Modell [1].

SNT-317/omigapil wurde ursprünglich von Novartis entwickelt und im Jahr 2007 von Santhera zur Entwicklung in CMD einlizenziert. Präklinische Studien in krankheitsrelevanten Modellen zeigen, dass der Wirkstoff eine bestimmte zelluläre Signalkette inhibiert, die zum Absterben von Muskelzellen führt. Dadurch werden der Verlust von Muskelmasse und Körpergewicht sowie Skelettdeformationen verhindert. Ausserdem konnte nachgewiesen werden, dass SNT317/omigapil die motorische Aktivität erhöht und die Mortalität reduziert. Santhera hat von den amerikanischen und europäischen Gesundheitsbehörden FDA und EMEA den Orphan-Drug-Status für drei Subformen von CMD erhalten, die durch eine Defizienz von Kollagen-VI oder Laminin-alpha-2 verursacht wird.

Die Finanzierung der beiden, nicht-klinischen Studien durch AFM erlaubt die Vorbereitung zur klinischen Entwicklung von SNT-317/omigapil in Kindern. Santhera wird AFM die erhaltenen Forschungsgelder nach einer allfälligen Marktzulassung des Medikamentes erfolgsabhängig zurückzahlen.

«Der Forschungszuschuss von AFM bestärkt unsere Absicht, SNT-317/omigapil zur Behandlung von CMD zu entwickeln», erklärt Thomas Meier, Chief Scientific Officer von Santhera. «Professionelle Patientenorganisationen wie AFM sind enorm wichtig, um die Entwicklung eines viel versprechenden Medikamentes voranzubringen. Dies gilt insbesondere für sehr seltene Krankheiten wie CMD, für welche zurzeit keine Behandlungsoptionen existieren.»

«Das Ziel von AFM ist es, den Weg zu neuen Therapiemöglichkeiten zu ebnen und somit Patienten mit seltenen neuromuskulären Krankheiten Hilfe und Hoffnung zu bringen», kommentiert Serge Braun, wissenschaftlicher Direktor der AFM. «SNT-317/omigapil ist eine viel versprechende erste Behandlung für kongenitale Muskeldystrophie. Mit unserem Forschungszuschuss unterstützen wir Santhera bei der Entwicklung dieses viel versprechenden Wirkstoffes.»

Über kongenitale Muskeldystrophie (CMD) und SNT-317/omigapil

CMD umfasst eine Gruppe neuromuskulärer Krankheiten, die häufig schon bei Säuglingen und Kleinkindern zu progressivem Muskelschwund führen. Eine kürzlich veröffentlichte epidemiologische Studie schätzt die Häufigkeit von CMD auf 0.89 auf 100'000 Menschen. Die genetisch bedingte Krankheit führt neben progressivem Muskelschwund zu Hypotonie, Gewichtsverlust, Deformierungen des Skeletts und Atemnot. Schwere Formen von CMD verursachen bereits bei Neugeborenen eine auffällige Schläffheit der Muskulatur, die klinisch als «floppy infant syndrome» bezeichnet wird. Diese Untergruppe von CMD führt im jungen Alter zu zunehmender Bewegungsunfähigkeit und reduziert die Lebenserwartung der betroffenen Patienten. Die häufigsten Subformen der CMD sind kongenitale Muskeldystrophien vom Typ Ullrich (UCMD) oder Bethlem (BM), beide hervorgerufen durch Mutationen in einem der drei Kollagen-VI-Gene, sowie MDC1A, welche durch eine Mutation im Gen für Laminin-alpha-2 verursacht wird. Ihnen gemeinsam ist der programmierte Zelltod von Muskelzellen (Apoptose). Präklinische Studien in krankheitsrelevanten Modellen haben gezeigt, dass SNT-317/omigapil diese Apoptose reduziert und den Muskelschwund verringert. Dadurch wird das Körpergewicht erhalten und Skelettdeformationen verringert. Gleichzeitig erhöhen sich die motorische Aktivität und die Lebenserwartung.

Referenz

[1] Michael Erb, Sarina Meinen, Patrizia Barzaghi, Lazar T. Sumanovski, Isabelle Courdier-Fruh, Markus A. Ruegg, und Thomas Meier: **Omigapil ameliorates the pathology of muscle dystrophy caused by laminin-alpha 2 deficiency**. Journal of Pharmacology and Experimental Therapeutics, doi:10.1124/jpet.109.160754

* * *

Über die Association Française contra les Myopathies (AFM)

AFM wurde 1958 von einer Gruppe Patienten und deren Familien gegründet und ist seit 1976 in Frankreich als gemeinnützige Organisation anerkannt. Die Patientenorganisation verfolgt ein einziges Ziel, nämlich neuromuskuläre Krankheiten zu besiegen. Dank Einnahmen aus den Telethonspenden in Frankreich (EUR 104 Millionen in 2008) ist AFM weltweit eine wichtige Akteurin in der biomedizinischen Erforschung seltener Krankheiten. AFM unterstützt finanziell derzeit 34 klinische Studien für 30 verschiedene Krankheiten. Die Studienresultate sollen nicht nur Patienten mit seltenen Krankheiten sondern auch Menschen mit häufig vorkommenden Erkrankungen zugutekommen. Für weitere Informationen zu AFM sind auf der Webseite www.afm-telethon.fr zu finden.

**Santhera erhält Forschungsgelder von AFM für das Omigapil-Programm
in kongenitaler Muskeldystrophie**

3. November 2009 / Seite 3 von 3

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein auf neuromuskuläre Erkrankungen fokussiertes Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, das sich auf die Entwicklung und die Vermarktung von Medikamenten zur Behandlung schwerer neuromuskulärer Krankheiten spezialisiert hat. Aufgrund der Seltenheit besteht bei vielen dieser Indikationen ein hoher medizinischer Bedarf. Das erste Produkt, Catena®, ist in Kanada zur Behandlung von Friedreich-Ataxie zugelassen und wird in einer weit fortgeschrittenen Zulassungsstudie getestet. Das Medikament befindet sich auch in einer Phase-III-Studie in Duchenne-Muskeldystrophie. Die Vertriebsrechte für Friedreich-Ataxie und Duchenne-Muskeldystrophie sind an Takeda Pharmaceutical auslizenziert. Kürzlich hat der zweite Wirkstoff von Santhera, JP-1730/fipamezole, klinische Wirksamkeit zur Reduktion Levodopa induzierter Dyskinesien bei Parkinsonpatienten gezeigt. Die Phase-III-Entwicklung und Kommerzialisierung des Medikamentes in den USA und in Kanada sind an Biovail verpartnert. Weitere Informationen zu Santhera finden Sie unter www.santhera.com.

Catena® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an

Thomas Meier, Chief Scientific Officer
Telefon +41 (0)61 906 89 64
thomas.meier@santhera.com

Thomas Staffelbach, Head Public & Investor Relations
Telefon +41 (0)61 906 89 47
thomas.staffelbach@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.