

Start der Phase-III-Studie mit Catena®/Sovrima® (Idebenone) in Duchenne-Muskeldystrophie

Liestal, Schweiz, und Osaka, Japan, 2. September 2009 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN), ein auf seltene neuromuskuläre Erkrankungen fokussiertes Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, und Takeda Pharmaceutical Company Limited (TSE: 4502) geben heute bekannt, dass Santhera die Zulassungsstudie mit Catena®/Sovrima® (INN: idebenone) zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie gestartet hat. Die DELOS-Studie mit zwölfmonatiger Behandlungsdauer wird bis zu 240 Patienten in rund 25 Studienzentren in Europa und Nordamerika rekrutieren. Der Einschluss des ersten Patienten in diese Phase-III-Studie hat eine Meilensteinzahlung von EUR 5,0 Millionen seitens Takeda zur Folge, welche Santhera inzwischen bereits erhalten hat.

Die Phase-III-Studie mit dem Namen DELOS (DuchEnne Muscular Dystrophy Long-term IdebenOne Study) ist eine doppelblinde, randomisierte und placebokontrollierte klinische Studie, welche die Verträglichkeit und Wirksamkeit einer Dosis Catena®/Sovrima® (900 mg/Tag) gegenüber Placebo über eine Behandlungsdauer von 12 Monaten untersucht. Der primäre Endpunkt der DELOS-Studie ist die Veränderung der Atemfunktion gemessen am Peak Expiratory Flow (PEF, expiratorischer Spitzenfluss). Als sekundäre Endpunkte werden unter anderem die Veränderung weiterer Atemparameter, Muskelstärke und motorischer Funktionen sowie die Verbesserung der Lebensqualität gemessen. Es ist geplant, bis zu 240 Patienten im Alter zwischen 10 und 18 Jahren unabhängig von deren Gehfähigkeit in bis zu 25 Prüfzentren in Europa und Nordamerika in die DELOS-Studie einzuschliessen.

Gunnar Buyse, Professor für Pädiatrie und Kinderneurologie am Universitätsspital Leuven (Belgien), ist leitender Prüfarzt der DELOS-Studie. Dr. Richard Finkel, MD, Direktor des neuromuskulären Programms am Kinderspital von Philadelphia (PA) übernimmt diese Funktion für die Studienzentren in den USA und Kanada. Das Studiendesign, die Selektion der Dosierung und die Dauer der Behandlung der DELOS-Studie basieren auf positiven Resultaten einer Phase-II-Studie und wurden vorab mit den Gesundheitsbehörden in den USA und Europa besprochen. Des Weiteren haben die amerikanische Food and Drug Administration und die Europäische Arzneimittelbehörde EMA zugestimmt, dass nur eine Zulassungsstudie bei positiven Ergebnissen für eine Zulassung ausreichen könnte.

«Duchenne-Muskeldystrophie ist eine schwere neuromuskuläre Krankheit, welche die Muskulatur des Skeletts, der Atmung und des Herzens betrifft. Nach den ermutigenden präklinischen Daten in einer placebokontrollierten Langzeitstudie an einem krankheitsrelevanten Model hat unsere Phase-II-Studie therapeutische Wirksamkeit von Catena®/Sovrima® bei wichtigen respiratorischen und kardiologischen Parametern gezeigt, deren Veränderung in dieser Krankheit lebensgefährliche

Start der Phase-III-Studie mit Catena®/Sovrima® (Idebenone) in Duchenne-Muskeldystrophie

2. September 2009 / Seite 2 von 4

Komplikationen darstellen», erklärt Professor Gunnar Buyse. «Wir hoffen, diese Ergebnisse in der DELOS-Studie bestätigen zu können, damit Catena®/Sovrima® als erstes Medikament zur Behandlung von Duchenne-Muskeldystrophie zugelassen wird.»

«Der Start der DELOS-Studie ist ein weiterer Meilenstein in der Entwicklung von Catena®/Sovrima® als mögliche erste Therapie für eine Reihe seltener neuromuskulärer Krankheiten. Zurzeit haben Patienten und Ärzte keine ausreichend effiziente Behandlungsmöglichkeit für diese schweren Erkrankungen», erklärt Klaus Schollmeier, Chief Executive Officer von Santhera. «Die vielen positiven Rückmeldungen aus Kanada, wo Catena® zur Behandlung der Friedreich-Ataxie bereits zugelassen ist, zeigen den hohen medizinischen Bedarf auf diesem Gebiet.»

«Die Partnerschaft mit Santhera ist ein gutes Beispiel für unser Engagement, bedeutende Medikamente für bedürftige Patienten zu entwickeln», erklärt Erich Brunn, Chief Executive Officer von Takeda Pharmaceuticals Europe Limited, der in England ansässigen Tochtergesellschaft, welche den gesamteuropäischen Vertrieb in Europa koordiniert. «In enger Zusammenarbeit mit Santhera setzen wir uns weiterhin dafür ein, dass diese neue Therapie möglichst bald Duchenne-Patienten und ihren Ärzten zur Verfügung steht.»

Im August 2007 gaben Santhera und Takeda die Ausweitung ihrer bestehenden Marketingzusammenarbeit für Friedreich-Ataxie auf Duchenne-Muskeldystrophie bekannt. Im Vertrag gewährt Santhera exklusive Marketingrechte in der Europäischen Union (EU) und der Schweiz an Takeda, welche das Medikament unter dem Namen Sovrima® vertreiben wird. Neben einer Vorauszahlung erhält Santhera mehrere Meilensteinzahlungen von insgesamt EUR 18,0 Millionen, wovon jetzt EUR 5,0 Millionen beim Einschluss des ersten Patienten in die Zulassungsstudie fällig wurde. Ausserdem hat Santhera Zugang zu allen Daten, welche Takeda ursprünglich mit Idebenone erhoben hatte.

Über Duchenne-Muskeldystrophie

Duchenne-Muskeldystrophie ist eine der am weitesten verbreiteten und auch schwerwiegendsten Form der Muskeldystrophie. Duchenne-Muskeldystrophie betrifft Jungen aller Ethnien und erste Symptome treten typischerweise in einem Alter von drei bis fünf Jahren auf. Charakteristisch ist der vollständige Verlust des Proteins *Dystrophin*, welches für die Muskelfunktion benötigt wird. Bei gesunden Menschen stabilisiert dieses Protein die Muskelzellen während den Kontraktions- und Relaxationszyklen. Der Verlust von Dystrophin führt zu einer charakteristischen Form von fortschreitender Muskelschwäche im ganzen Körper. Krankheitssymptome starten in den Beinen und dem Becken und breiten sich auf die Schultern, den Nacken und die Armmuskulatur aus. Andere Komplikationen sind Skelettdeformationen sowie Atmungs- und Herzprobleme. Mit fortschreitender Krankheit sind Patienten meist bereits in den Jugendjahren auf einen Rollstuhl angewiesen. Die durchschnittliche Lebenserwartung von Duchenne-Patienten ist zwischen 30 und 35 Jahren. In den USA und Europa leben schätzungsweise 30'000 betroffene Patienten. Zurzeit ist keine wirksame medizinische Behandlung zugelassen, womit sich die Behandlung auf unterstützende Massnahmen beschränken muss.

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

**Start der Phase-III-Studie mit Catena®/Sovrima® (Idebenone) in
Duchenne-Muskeldystrophie**

2. September 2009 / Seite 3 von 4

* * *

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 Phase-III-Studie getestet. Klinische Resultate bestätigen, dass JP-1730/fipamezole, der zweite Wirkstoff von Santhera, Dyskinesien bei Parkinsonpatienten reduziert. Weitere Informationen zu Santhera finden Sie unter www.santhera.com.

Catena® ist eine eingetragene Marke von Santhera Pharmaceuticals.

Über Takeda

Takeda ist ein forschungsbasiertes globales Pharmaunternehmen mit Sitz in Osaka, Japan. Als grösstes pharmazeutisches Unternehmen Japans und einer der weltweiten Industrieführer engagiert sich Takeda für die Entwicklung besserer Medikamente für die Gesundheit der Menschen und den medizinischen Fortschritt. Weitere Informationen zu Takeda finden Sie unter www.takeda.com.

Sovrima® ist eine eingetragene Marke von Takeda Pharmaceutical Company Limited.

Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an

Santhera

Klaus Schollmeier, Chief Executive Officer
Telefon +41 (0)61 906 89 52
klaus.schollmeier@santhera.com

Barbara Heller, Chief Financial Officer
Telefon +41 (0)61 906 89 54
barbara.heller@santhera.com

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

Takeda

Richard Kenyon
Takeda Pharmaceuticals Europe Limited
Corporate Communications
Telefon +44 20 3116 8861
richard.kenyon@tpeu.co.uk

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

**Start der Phase-III-Studie mit Catena®/Sovrima® (Idebenone) in
Duchenne-Muskeldystrophie**

2. September 2009 / Seite 4 von 4

Seizo Masuda
Takeda Pharmaceutical Company Limited
Public and Investor Relations
Telefon +81 3 3278 2037
masuda_seizo@takeda.co.jp

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.