

## **Pressemitteilung**

**15. Dezember 2005**

---

### **SANTHERA BEGINNT EUROPÄISCHE PHASE III STUDIE MIT SNT-MC17 (IDEBENONE) IN FRIEDREICHSCHER ATAXIE**

Liestal, Schweiz, 15. Dezember 2005 – Santhera Pharmaceuticals AG (“Santhera”), ein auf neuromuskuläre Erkrankungen spezialisiertes Schweizer Biotechnologieunternehmen, gab heute den Beginn einer europäischen klinischen Phase III Studie in Friedreichscher Ataxie (FRDA) mit seinem Wirkstoff SNT-MC17 (Idebenone) bekannt. Das Studiendesign entspricht vorangegangenen Diskussionen mit der EMEA und wird sowohl Verbesserungen der Herzparameter als auch neurologische Parameter der Patienten berücksichtigen.

Die klinische Phase III Studie mit SNT-MC17 (Idebenone) ist eine doppelblinde, randomisierte, placebo-kontrollierte Studie, die das Ziel hat, die Wirksamkeit, Sicherheit und Verträglichkeit bei der Behandlung von Friedreich Patienten mit hypertropher Kardiomyopathie zu bestimmen. Die Studie wird in Deutschland, Großbritannien und den Niederlanden durchgeführt und wird möglicherweise auf weitere europäische Länder ausgedehnt. Es ist geplant, dass insgesamt 200 Patienten in die Studie, an der sich etwa 10 medizinische Zentren beteiligen, eingeschlossen werden. Die Patienten werden SNT-MC17 (Idebenone) für den Zeitraum eines Jahres erhalten. Die Rekrutierung der Patienten für die Studie hat bereits begonnen.

In der Phase III Studie wird die Wirksamkeit von drei verschiedenen Dosierungen von SNT-MC17 (Idebenone) im Vergleich zu Placebo für die Verbesserung des linksventrikulären Muskelmassenindex der Friedreich Patienten verglichen. Hypertrophe Kardiomyopathie, gemessen anhand des linksventrikulären Muskelmassenindex, ist ein entscheidender Faktor für die Morbidität und Mortalität der Patienten mit Friedreichscher Ataxie. Gleichzeitig soll mit dieser Studie die Wirksamkeit von SNT-MC17 (Idebenone) auf neurologische Symptome bei FRDA untersucht werden. Hierfür werden die Veränderungen in der so genannten internationalen *Cooperative Ataxia Rating Scale* (ICARS) zugrunde gelegt.

Zusätzlich zu der Phase III Studie besteht eine Zusammenarbeit zwischen Santhera und dem amerikanischen National Institute of Health (NIH) für FRDA und Santhera beabsichtigt im kommenden Jahr eine eigene amerikanische Phase III Studie mit SNT-MC17 (Idebenone) in dieser Indikation zu beginnen. Santhera führt zurzeit auch eine Phase IIa Studie in Belgien durch, um die Wirksamkeit von SNT-MC17 (Idebenone) für eine weitere neuromuskuläre Indikation, die Duchenne Muskeldystrophie, zu untersuchen.



Bereits im August dieses Jahres gab Santhera den Abschluss eines Entwicklungs und Marketing-Abkommens mit Takeda Pharmaceuticals für SNT-MC17 (Idebenone) in Friedreichscher Ataxie bekannt. Die Vertragsbedingungen dieses Abkommens sehen eine Unterstützung von Seitens Takeda an der gesamten klinischen Entwicklung von SNT-MC17 (Idebenone) in FRDA vor. Nach der Zulassung wird Takeda die Vermarktung des Wirkstoffes für die Indikation Friedreichsche Ataxie in allen EU-Staaten und der Schweiz übernehmen. Santhera ist für die gesamte Produktentwicklung, Registrierung und Produktherstellung verantwortlich. Weiterhin behält Santhera alle Rechte für das Produkt ausserhalb der EU und beabsichtigt, den Wirkstoff in den USA unter ihrem eigenen Namen zu vermarkten. Santhera behält zudem alle Rechte für andere mögliche Indikationen für SNT-MC17 (Idebenone) wie beispielsweise Duchenne Muskeldystrophie.

Dr. Thomas Meier, Santheras Chief Scientific Officer, kommentierte: „SNT-MC17 (Idebenone) ist der erste Wirkstoff mit einem eindeutig günstigen pharmakologischen Profil in FRDA und hat daher das Potential, zu einer first-line Therapie für Friedreichsche Ataxie zu werden, eine Erkrankung für die es derzeit noch keine wirksame Behandlung oder Heilung gibt. Das Studienprotokoll unserer Phase III Studie berücksichtigt die Ergebnisse der Diskussionen mit der EMEA, die wir im Laufe dieses Jahres geführt haben. Wir freuen uns im Rahmen dieser klinischen Studie mit erfahrenen Klinikern zusammenzuarbeiten die in der Vergangenheit bereits massgeblich zum Verständnis der Pathologie der Friedreichschen Ataxie beigetragen haben.“

Dr. Klaus Schollmeier, Santheras Chief Executive Officer, erklärte: „Der Beginn der ersten Phase III Studie mit unser Leitsubstanz SNT-MC17 ist ein enorm wichtiger Meilenstein in der Entwicklung von Santhera Pharmaceuticals. Aufgrund der beständig wachsenden Zahl positiver Ergebnisse bei der Anwendung unseres Produktes in FRDA sowie aufgrund der entschiedenen Unterstützung durch Takeda, das NIH und die Patientenorganisationen in Europa und den USA sind wir zuversichtlich, dass wir schon bald in der Lage sind, den Friedreich Patienten, die an einer so zerstörerischen Erkrankung leiden, zu helfen.“

### **Über Friedreich Ataxie**

Friedreich Ataxie ist eine erbliche fatale neuromuskuläre Erkrankung, die eine progressive Schädigung des Nervensystems bewirkt und zu Muskelschwäche, Sprachstörungen und Kardiomyopathie führt. Symptome treten in der Regel im Alter zwischen 10 und 30 Jahren auf. Zumeist 15 bis 20 Jahre nach dem Auftreten der ersten Symptome ist der Patient an einen Rollstuhl gebunden, im weiteren Verlauf der Erkrankung verliert er seine Selbstständigkeit vollständig. Die meisten Friedreich Patienten versterben bereits im jugendlichen Alter, wobei Herzerkrankungen die häufigste Todesursache darstellen. Die genetische Ursache der Friedreich-Ataxie beruht auf einem Defekt im Frataxin Gen und führt zu oxidativem Stress in den Mitochondrien. Die Erkrankung betrifft vor allem die kaukasische Bevölkerung, in der sie eine Prävalenz von 1/30.000 bis 50.000 aufweist. Sowohl in den USA als auch in Europa sind etwa 10.000 Patienten betroffen

### **Santhera Pharmaceuticals AG**

Das Schweizer Biotechnologie-Unternehmen Santhera ist auf die Erforschung, Entwicklung und Vermarktung von Medikamenten zur Behandlung neuromuskulärer



Erkrankungen spezialisiert. Das am weitesten entwickelte Produkt ist SNT-MC17 (Idebenone), welches in Kürze in die klinische Phase III zur Behandlung der lebensbedrohlichen neuromuskulären Krankheit Friedreich Ataxie eintritt. Santhera hat für diese Indikation die *Orphan Drug Designation* sowohl für die USA als auch für Europa erhalten. In den USA plant Santhera das Produkt selbst zu vermarkten; die Vermarktungsrechte für Europa für Friedreich Ataxie wurden an die japanische Firma Takeda vergeben.

Santhera prüft zur Zeit auch die Wirksamkeit von SNT-MC 17 in Duchenne Muskeldystrophie, in einer Phase IIa Studie. Santhera hat eine Pipeline präklinischer Produkte entwickelt, aus der sie Medikamentenkandidaten gegen neuromuskuläre Krankheiten selbst weiterentwickelt und Produkte ausserhalb dieses therapeutischen Fokus auslizensieren wird. Die Lizenz für Santheras Entwicklungsprogramm neuartiger DPP-IV-Hemmer zur Behandlung von Stoffwechselkrankheiten (z.B. Typ-II-Diabetes) wurde an den schwedischen Partner Biovitrum vergeben.

Santhera entstand im Jahr 2004 durch den Zusammenschluss der MyoContract AG und der Graffinity Pharmaceuticals AG. Durch die Fusion erhielt das Unternehmen eine integrierte technologische Plattform zur Erforschung und Entwicklung von Medikamentenkandidaten. Santhera hat Niederlassungen in Basel, Schweiz, und in Heidelberg, Deutschland. Das Unternehmen wird von führenden Investoren aus der internationalen Biotech-Industrie unterstützt, z.B. Merlin Biosciences Limited, Oxford Bioscience Partners, NGN Capital, 3i Group plc, Carnegie Asset Management, Novartis Venture Fund, Varuma AG, GIMV, Heidelberg Innovation, Clariden Bank, The Dow Chemical Company, TechnoStart, tbg, Altana Innovationsfonds, die Schweizer Stiftung für die Erforschung der Muskelerkrankungen sowie privaten Investoren.

#### **Kontakte:**

##### **Santhera Pharmaceuticals**

Klaus Schollmeier, CEO

Tel: +41 (0) 61 906 89 52

Thomas Meier, Chief Scientific Officer

Tel: +41 (0) 61 906 89 87  
[Thomas.meier@santhera.com](mailto:Thomas.meier@santhera.com)

##### **Medienkontakt: international Citigate**

Chris Gardner  
David Dible

Tel : +44 (0) 207 638 9571  
Tel : +44 (0) 207 638 9571  
[david.dible@citigatedr.co.uk](mailto:david.dible@citigatedr.co.uk)

##### **Medienkontakt: Deutschland & Schweiz Suter Global Communication AG**

Natascha Blank

Tel: +41 (0)44 316 60 80  
[nblank@s-g-c.com](mailto:nblank@s-g-c.com)