

Santhera schliesst Rekrutierung für amerikanische Zulassungsstudie mit SNT-MC17/idebenone in Friedreich-Ataxie ab

Liestal, Schweiz, 31. Oktober 2008 – Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN), ein auf neuromuskuläre Erkrankungen fokussiertes Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, gibt heute den Abschluss der Rekrutierung für die sechsmonatige Zulassungsstudie mit SNT-MC17 (INN: idebenone) in Friedreich-Ataxie in den USA bekannt. Die beiden Studienzentern am Children's Hospital in Philadelphia und an der School of Medicine der University of California in Los Angeles haben insgesamt 70 Patienten rekrutiert. Dank der Unterstützung durch amerikanische Patientenorganisationen konnte die ursprünglich geplante Zahl von 51 erforderlichen Patienten weit übertroffen werden.

In der doppelblinden, randomisierten und Placebo kontrollierten Phase-III-Studie namens IONIA (Idebenone effects On Neurological ICARS Assessments) wird die Wirksamkeit zweier Dosierungen von SNT-MC17/idebenone gegenüber Placebo untersucht. Der primäre Endpunkt ist ein neurologischer Endpunkt gemessen an der International-Cooperative-Ataxia-Rating-Skala (ICARS). Verglichen wird die Veränderung in den beiden Behandlungsgruppen gegenüber Placebo über die gesamte Behandlungsdauer. In der IONIA-Studie werden zudem weitere neurologische Parameter, Aktivitäten des täglichen Lebens sowie kardiologische Messgrößen untersucht. Das Studienprotokoll berücksichtigt auch Empfehlungen, welche die amerikanische Food and Drug Administration im Rahmen eines Special Protocol Assessments abgegeben hat. Die Behandlung dauert sechs Monate gefolgt von einer einmonatigen Beobachtungsphase. Aktuell haben über 20 Patienten die Studie durchlaufen und nehmen an einer offenen Verlängerungsstudie auf der hohen Dosis teil.

„Der Abschluss der Rekrutierung für unsere Zulassungsstudie in den USA markiert einen wichtigen Meilenstein für die Entwicklung von SNT-MC17/idebenone in Friedreich-Ataxie“, erklärt Klaus Schollmeier, Chief Executive Officer von Santhera. „Diesen Erfolg verdanken wir auch der grossartigen Unterstützung durch die Patientenorganisationen und Studienleiter. Deren ausserordentlicher Einsatz zeigt einmal mehr den hohen, ungedeckten medizinischen Bedarf bei derart seltenen Krankheiten wie der Friedreich-Ataxie. Wir sind zuversichtlich, dass die IONIA-Studie die Wirksamkeit unseres Medikamentes bestätigen wird und Catena® die erste zugelassene Behandlung für Friedreich-Ataxie in den USA werden könnte.“

* * *

**Santhera schliesst Rekrutierung für amerikanische Zulassungsstudie mit
SNT-MC17/Idebenone in Friedreich-Ataxie ab**

31. Oktober 2008 / Seite 2 von 3

Über Friedreich-Ataxie

Friedreich-Ataxie ist eine seltene, aber schwere, genetisch bedingte neuromuskuläre Erkrankung, die zur Degeneration von Nerven- und Muskelgewebe führt. Diese Krankheit führt zum Verlust von Muskelkontrolle, zu unkoordinierten Bewegungen, zu Muskelschwund und zur Verdickung der Herzwände. Aus diesem Grund beträgt die durchschnittliche Lebenserwartung von Friedreich-Ataxie-Patienten lediglich ungefähr 35 bis 50 Jahre. Friedreich-Ataxie betrifft die männliche und weibliche kaukasische Bevölkerung gleichermassen. In Nordamerika und Europa sind schätzungsweise 20'000 Patienten von der Krankheit betroffen.

Friedreich-Ataxie wird durch einen genetischen Defekt in dem für *Frataxin* kodierenden Gen verursacht. Geringere Mengen dieses Proteins führen letztlich zu einer Beeinträchtigung der Energieproduktion in den Mitochondrien, den Energieproduzenten der Zellen sowie zu einer Erhöhung von oxidativem Stress. Primär durch den *Frataxin*-Mangel betroffen sind die Gewebe mit dem höchsten Energiebedarf, insbesondere Nerven- und Herzgewebe, was zu pathologischen Veränderungen in der Herzmuskelanatomie und -funktion sowie zum Verlust von Nervenzellen führt.

Über Santhera

Santhera Pharmaceuticals (SIX: SANN) ist ein auf neuromuskuläre Erkrankungen fokussiertes Schweizer Spezialitätenpharmaunternehmen, das sich auf die Erforschung, die Entwicklung und die Vermarktung von niedermolekularen Medikamenten spezialisiert hat. Santhera prüft zurzeit drei Wirkstoffe in fünf klinischen Entwicklungsprogrammen. Das erste Produkt, SNT-MC17 (INN: idebenone), hat in Kanada die bedingte Marktzulassung zur Behandlung von Friedreich-Ataxie erhalten und wird unter dem Produktnamen Catena® vermarktet. Das Medikament wird zurzeit auch von den Gesundheitsbehörden in der EU und der Schweiz geprüft und befindet sich in den USA in der Zulassungsstudie. Der Wirkstoff hat auch positive Wirkung bei Duchenne-Muskeldystrophie, einer zweiten Indikation, gezeigt. Weitere Informationen zu Santhera finden Sie unter www.santhera.com.

CATENA® ist eine Marke von Santhera Pharmaceuticals, registriert in Kanada und in den USA.

Für weitere Auskünfte wenden Sie sich bitte an:

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

Diese Mitteilung ist eine Übersetzung der verbindlichen englischen Originalversion.

**Santhera schliesst Rekrutierung für amerikanische Zulassungsstudie mit
SNT-MC17/Idebenone in Friedreich-Ataxie ab**

31. Oktober 2008 / Seite 3 von 3

Disclaimer / Zukunftsgerichtete Aussagen

Diese Publikation stellt weder ein Angebot noch eine Einladung dar, um 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.