

## **Santhera annuncia l'esito positivo dello studio di fase 3 con Catena®/Raxone® nella distrofia muscolare di Duchenne supportato da ulteriori dati sulla funzionalità respiratoria**

**Liestal, Svizzera, 22 maggio 2014 – Santhera Pharmaceuticals (SIX:SANN) ha annunciato oggi che i risultati degli endpoint secondari sulla funzionalità respiratoria provenienti dalle analisi in corso del trial DELOS nella distrofia muscolare di Duchenne (DMD), confermano l'esito positivo dell'endpoint primario. Questi dati forniscono ulteriori evidenze che supportano il beneficio dovuto al trattamento con Catena®/Raxone® nella DMD.**

Come precedentemente annunciato, il trial DELOS ha soddisfatto l'endpoint primario, la differenza tra il gruppo che ha ricevuto Catena®/Raxone® e quello che ha assunto il placebo, nella variazione del Picco di Flusso Espiratorio (PEF, come percentuale del predetto, PEF%p) a 52 settimane rispetto al valore di partenza. Le valutazioni della spirometria effettuata in ospedale hanno dimostrato che la somministrazione di Catena®/Raxone® ha ridotto significativamente il declino annuale nel PEF%p del 66% rispetto ai pazienti che hanno preso il placebo. Il declino annuale medio del PEF%p era del 9% per il gruppo placebo (valore al baseline: 54.3%; valore alla settimana n° 52: 45.3% (n=27),  $p<0.001$ ) contro il 3.1% per il gruppo di pazienti che ha ricevuto Catena®/Raxone® (valore al baseline PEF%p: 53.1%; valore alla settimana n° 52: 50.1% (n=30);  $p=0.13$ ), con una differenza tra i gruppi di trattamento nella variazione tra il valore di partenza e quello alla 52° settimana del 5.96% ( $p=0.04$ ).

Santhera ha annunciato oggi che questo risultato è stato avvalorato dai risultati degli endpoint secondari di valutazione della funzionalità respiratoria in tutti i soggetti randomizzati e trattati. Le misurazioni settimanali effettuate a casa dallo stesso paziente utilizzando il dispositivo manuale ASMA-1 (endpoint secondario), hanno evidenziato che la somministrazione di Catena®/Raxone® riduce significativamente il declino annuale del PEF%p dell' 80% rispetto ai pazienti che hanno assunto il placebo. Il dispositivo ASMA-1 ha mostrato un declino significativo del 9% nel PEF%p tra il baseline e la 52° settimana nel gruppo placebo (n=31;  $p<0.001$ ), rispetto a un declino non significativo dell' 1,8% del gruppo di pazienti trattati (n=31;  $p=0.44$ ), con una differenza tra i gruppi di trattamento tra il valore di partenza e quello alla 52° settimana del 7,2% ( $p=0.03$ ).

Inoltre, per quanto riguarda il Volume di Espirazione forzata in 1 secondo (come percentuale del predetto, FEV1%p), un ulteriore endpoint per la valutazione della forza dei muscoli respiratori, il trattamento con Catena®/Raxone® riduce significativamente il declino annuale del 78% rispetto ai pazienti sotto placebo. Il declino annuale del FEV1%p del gruppo placebo era del 10,7%, mentre quello del gruppo di pazienti trattati del 2,4% ( $p=0,03$ ).

Significativamente, l'esito della Capacità Vitale Forzata (come percentuale del predetto, FVC%p), una misura della malattia polmonare restrittiva predittiva della morbidità e della mortalità nella DMD, ha supportato ulteriormente un beneficio dovuto al trattamento con Catena®/Raxone®. Il declino annuale nel FVC%p è stato ridotto del 37% nei pazienti sotto trattamento (la riduzione è stata del 9% nel gruppo placebo, contro il 5,7% del gruppo che ha ricevuto la terapia,  $p= 0.08$ ).

Non sono state osservate differenze tra i gruppi di trattamento nelle misurazioni della pressione massima di inspirazione o di espirazione, o nel picco del flusso di tosse.

Riassumendo, questi esiti forniscono una chiara evidenza del beneficio clinico dovuto al trattamento con Catena®/Raxone®, nel ritardare la perdita della funzionalità respiratoria nei pazienti DMD paragonati al gruppo di controllo.

Inoltre, come precedentemente riportato, il trattamento con Catena®/Raxone® si è dimostrato sicuro e ben tollerato. Il 93,8% dei pazienti sotto trattamento e il 94,1% dei pazienti del gruppo di controllo, ha fatto esperienza di almeno un evento avverso. Gli eventi avversi seri sono stati riportati dal 6,3% dei pazienti trattati con Catena®/Raxone® e dal 14,7% dei pazienti trattati con il placebo. Gli eventi avversi più comuni sono stati nasofaringite (25,8%) e mal di testa (19,7%), ma non ci sono state differenze nell'incidenza di questi eventi tra i gruppi di trattamento. La diarrea è stata osservata in maniera leggermente più frequentemente nei pazienti trattati con Catena®/Raxone® (25% contro 11,8%), mentre le infezioni del tratto respiratorio superiore sono state osservate più frequentemente nei pazienti trattati con il placebo (17,6% contro 6,3%). Complessivamente, gli eventi avversi sono stati di intensità da debole a moderata.

Nick Coppard, SVP Development di Santhera, ha spiegato: “Siamo emozionati nell'osservare il beneficio dovuto al trattamento con Catena®/Raxone® nel ritardare il peggioramento della funzionalità respiratoria nella DMD, come evidenziato dall'esito significativo dell'endpoint primario PEF nello studio DELOS. I risultati positivi degli esiti secondari, in aggiunta all'endpoint primario, sono chiaramente di sostegno e dimostrano la significatività clinica del trattamento con Catena®/Raxone®. Questo è di importanza critica per la dimostrazione dell'evidenza sostanziale dell'efficacia nel processo regolatorio. Avendo dimostrato un beneficio significativo e clinicamente rilevante e in assenza di preoccupazioni riguardo la sicurezza, crediamo di essere in una buona posizione per discutere dell'approvazione regolatoria con le autorità”.

Questi dati sono presentati oggi alla conferenza BioEquity Europe 2014 ad Amsterdam e saranno disponibili per il download sul sito web della Company [www.santhera.com](http://www.santhera.com) sotto la voce “Investors/presentations”.

Per ulteriori informazioni, vi preghiamo di visitare il sito web della Company [www.santhera.com](http://www.santhera.com) o contattate:

Thomas Meier, Chief Executive Officer

telefono: +41 61 906 89 64

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

Traduzione a cura dell'Ufficio Scientifico di Parent Project onlus.