



Grünenthal und Akashi Therapeutics Inc. kündigen ein gemeinsames Entwicklungsprogramm für HT-100 zur Behandlung von Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) an.

- *HT-100 ist ein niedermolekularer Wirkstoffkandidat, der oral verfügbar ist und die Bildung von Fibrosen und Entzündungen reduzieren sowie die Regeneration von gesundem Muskelgewebe bei DMD-Patienten fördern soll*
- *DMD ist eine seltene, dennoch am häufigsten im Kindesalter diagnostizierte tödliche Erbkrankheit. Bis heute ist keine Heilung möglich und Patienten sterben normalerweise in ihren Zwanzigern*

Aachen, Deutschland, und Cambridge, MA, USA, 08. Januar 2016 – Grünenthal hat heute ein gemeinsames Entwicklungsprogramm mit Akashi Therapeutics, Inc. für HT-100 angekündigt, ein oral verfügbarer, niedermolekularer Wirkstoffkandidat, der die Bildung von Fibrosen und Entzündungen reduzieren und die Regeneration von gesundem Muskelgewebe bei Patienten mit Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) fördern soll. Das Medikament hat in den USA und in der EU den Orphan-Drug-Status sowie in den USA den Fast-Track-Status erhalten. Grünenthal wird für die Vermarktung in Europa und in Lateinamerika verantwortlich sein, während Akashi Therapeutics, Inc. die Rechte für die USA und alle anderen Märkte behält. Diese Partnerschaft ist ein wichtiger Meilenstein in Grünenthals Strategie, sein Portfolio bei Nischenindikationen weiter auszubauen, indem es weiterhin erfolgreich innovative Schmerztherapien für Patienten entwickelt und verfügbar macht.

Grünenthal schließt sich mit Akashi Therapeutics Inc., einem von führenden Patientenverbänden gegründeten Unternehmen, zusammen, um Fähigkeiten und Fertigkeiten auf eine spezielle zum Nutzen von Patienten mit DMD Weise zusammenzubringen - . Die Zusammenarbeit könnte in der Zukunft weiter ausgeweitet werden, um weitere Verbesserungen in der Behandlung von Jungen und jungen Männern zu finden, die unter DMD leiden. HT-100 befindet sich zurzeit in klinischen Studien der Phasen 1b/2a an fünf Zentren in den USA.

„Wir sind sehr erfreut über diese beispiellose Zusammenarbeit mit Akashi. Bei Grünenthal engagieren wir uns sehr stark für Innovationen und haben uns darauf fokussiert, innovative Behandlungsmöglichkeiten für Patienten mit hohem medizinischem Bedarf zu entwickeln. Wir sind hochmotiviert, uns mit ganzer Kraft für die Entwicklung von HT-100 einzusetzen, zusammen mit unseren Partnern von Akashi und den Patientenverbänden, die Akashi unterstützen“, sagte Dr. Klaus-Dieter Langner, Chief Scientific Officer von Grünenthal.

Im Jahr 2014 hatte Grünenthal seine Strategie bekannt gegeben, seinen Fokus von Schmerzen und Entzündungen um Nischenindikationen mit einem hohen, nicht erfüllten medizinischen Bedarf zu erweitern. Im Schnitt reinvestiert das Unternehmen 25 % seines Umsatzes in Forschung und Entwicklung, und Grünenthal ist ein

Kontakt: Steffen Fritzsche, Senior Director Corporate Communications
Tel.: +49 241 569 1335, steffen.fritzsche@grunenthal.com

Grünenthal GmbH, 52099 Aachen, Germany, www.grunenthal.com

GRÜNENTHAL GRUPPE

Pressemitteilung



weltweiter Marktführer im Bereich verschreibungspflichtiger Opioid-Analgetika. „Als ein mittelständisches Pharmaunternehmen können wir dem HT-100-Entwicklungsprogramm eine hohe Priorität einräumen, um hoffentlich die verheerende Situation von Patienten mit DMD verbessern zu können“, so Klaus-Dieter Langner abschließend.

„Grünenthal bringt ein hervorragendes wissenschaftliches und intellektuelles Wissen, signifikante Finanzmittel und ein großes Engagement in unsere Zusammenarbeit ein, um die Behandlung von DMD nachhaltig zu verbessern“, sagte Marc Blaustein, CEO, Akashi Therapeutics Inc. Dieses Unternehmen wurde bis heute ausschließlich von Patientenverbänden finanziert. „Akashi wurde gegründet, um sichere und effektive Behandlungen für DMD-Patienten zu entwickeln, und wir freuen uns auf die Zusammenarbeit mit unseren neuen Partnern, damit wir das Ziel noch schneller erreichen.“

Gemäß den Bedingungen der Vereinbarung wird Grünenthal Vorauszahlungen sowie Zahlungen beim Erreichen von Meilensteinen an Akashi leisten. Des Weiteren wird das Unternehmen alle weltweiten Entwicklungskosten nach der Phase 2 übernehmen, indem es ein zugelassenes Produkt vermarktet. Akashi wird Lizenzgebühren aus dem Verkauf erhalten. Insgesamt plant Grünenthal, mehr als \$ 100 Millionen in die Partnerschaft zu investieren, und wird Lizenzgebühren aus den Nettoverkäufen in den USA zum Ausgleich für die Finanzierung der Entwicklung von Akashis Vertriebsstruktur in den USA erhalten.

Über HT-100

HT-100 (verzögerte Freisetzung von Halofuginon) ist ein niedermolekularer Wirkstoffkandidat, der oral verfügbar ist und die Bildung von Fibrosen und Entzündungen reduzieren sowie die Regeneration von gesundem Muskelgewebe bei DMD-Patienten fördern soll. HT-100 hat den Orphan-Drug-Status für DMD sowohl in den USA als auch in der EU sowie den Fast-Track-Status in den USA erhalten. Klinische Studien der Phasen 1b/2a werden zurzeit an fünf Kliniken in den USA durchgeführt. Für weitere Informationen kontaktieren Sie bitte Akashi Therapeutics Inc. (www.akashirx.com).

Über Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)

Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine X-chromosomal-rezessiv vererbte Krankheit, die circa 1 von 3 600 Jungen betrifft. DMD führt zu Muskeldegeneration und frühzeitigem Tod. Die Symptome zeigen sich normalerweise in der frühen Kindheit: Progressive proximale Muskelschwäche der Beine und des Beckens mit einem Verlust von Muskelmasse wird als erstes beobachtet, und diese Schwäche weitet sich auf andere Teile des Körpers aus. Wenn die Krankheit weiter fortschreitet, kann Muskelgewebe durch Fett und fibrotisches Gewebe (Fibrose) ersetzt werden. Ohne Behandlung sind die meisten Patienten im Alter von zehn Jahren auf einen Rollstuhl angewiesen. Durch den weiteren Verfall der Muskeln verlieren die Patienten die Gehfähigkeit, dann die Funktion der Arme und erleiden schließlich einen Atem- und/oder Herzstillstand. Obwohl die Lebenserwartung variiert, überleben Patienten typischerweise nur bis zum zweiten oder dritten Lebensjahrzehnt.

Über Grünenthal

Die Grünenthal Gruppe ist ein unabhängiges, international tätiges, forschendes Pharmaunternehmen im Familienbesitz mit Konzernzentrale in Aachen, Deutschland. Als spezialisiertes Unternehmen liefern wir echten Nutzen für Patienten. Durch substantielle Investitionen in Forschung und Entwicklung, die über dem

Kontakt: Steffen Fritzsche, Senior Director Corporate Communications
Tel.: +49 241 569 1335, steffen.fritzsche@grunenthal.com

Grünenthal GmbH, 52099 Aachen, Germany, www.grunenthal.com

GRÜNENTHAL GRUPPE

Pressemitteilung



Branchendurchschnitt liegen, setzen wir uns für Innovationen ein, um nicht erfüllten medizinischen Bedarf abzudecken und Produkte mit einem Zusatznutzen auf den Markt zu bringen. Die Grünenthal GmbH ist ein vollständig integriertes Forschungs- und Entwicklungsunternehmen mit einer Erfolgsbilanz bei der Entwicklung und Verfügarstellung von innovativen Schmerztherapien und aktuellen Technologien für Patienten.

Die Grünenthal Gruppe ist in 32 Länder präsent, mit Tochtergesellschaften in Europa, Australien, Lateinamerika und den USA. Produkte von Grünenthal werden in mehr als 155 Ländern verkauft, und weltweit arbeiten circa 5 300 Mitarbeiter für die Grünenthal Gruppe. Im Jahr 2014 erzielte Grünenthal Umsätze von € 1,154 Milliarden. Weitere Informationen unter: www.grunenthal.com.

Über Akashi Therapeutics Inc.

Akashi Therapeutics ist ein biopharmazeutisches Unternehmen mit der Mission, Behandlungsmethoden für Duchenne-Muskeldystrophie zu entwickeln. Akashi wurde von den führenden Patientenverbänden Charley's Fund und der Nash Avery Foundation in Zusammenarbeit mit Veteranen der biotechnologischen Industrie gegründet, um eine zentrale Herausforderung von seltenen Krankheiten anzugehen: die schnelle Entwicklung von Behandlungen. Akashi entwickelt eine Reihe von Behandlungen mit dem Ziel, Duchenne-Muskeldystrophie von einer 100 % tödlichen, aggressiven muskelzerstörenden Krankheit in ein chronisches, behandelbares Leiden zu verwandeln. Für weitere Informationen besuchen Sie bitte www.akashirx.com.

Kontakt: Steffen Fritzsche, Senior Director Corporate Communications
Tel.: +49 241 569 1335, steffen.fritzsche@grunenthal.com

Grünenthal GmbH, 52099 Aachen, Germany, www.grunenthal.com