

## PRESSEMITTEILUNG

# Basilea mit soliden Ergebnissen für das Geschäftsjahr 2014 - Grundlage für Vermarktung von Zevtera® in Europa gelegt

- Zulassungsanträge für Antimykotikum Isavuconazol in den USA und in Europa in Prüfung - Entscheidungen in 1Q 2015 in den USA und 4Q 2015 in Europa erwartet
- Erste Markteinführung des Antibiotikums Zevtera® (Ceftobiprol Medocaril) erfolgt
- CHF 226 Mio. liquide Mittel und kurzfristige Finanzanlagen

**Basel, 17. Februar 2015** – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute ihre Finanzergebnisse für das Jahr 2014 bekannt. Zum Ende des Jahres verfügte das Unternehmen über eine solide Liquiditätsposition von CHF 226.1 Mio. bei einem Nettoverlust von CHF 41.5 Mio. Im Jahr 2014 erreichte Basilea wesentliche Meilensteine, unter anderem die erste Markteinführung von Zevtera® (Ceftobiprol Medocaril).

Regulatorische Zulassungsanträge für das Antimykotikum Isavuconazol zur Behandlung der schweren Schimmelpilzinfektionen invasive Aspergillose und Mucormykose werden derzeit in den USA und der Europäischen Union (EU) geprüft. Am 22. Januar 2015 empfahl das *Anti-Infective Drugs Advisory Committee* der *US Food and Drug Administration* (FDA) die Zulassung von Isavuconazol auf Basis des von Basileas Partner Astellas eingereichten US-amerikanischen Zulassungsantrags (*New Drug Application*, NDA). Ziel der FDA ist es, ihre NDA-Prüfung bis zum 8. März 2015 abzuschliessen (*Prescription Drug User Fee Act/PDUFA*-Datum). Der Abschluss der Prüfung des von Basilea eingereichten EU-Zulassungsantrags durch die Europäische Arzneimittel-Agentur EMA wird im vierten Quartal 2015 erwartet.

Die Therapieversagerraten bei Lungenentzündungen, besonders bei solchen, die durch Methicillin-resistenten *Staphylococcus aureus* (MRSA) verursacht werden, sind nach wie vor hoch. Sie werden unter anderem unzureichenden initialen Antibiotikatherapien zugeschrieben.<sup>1</sup> Im Dezember 2014 gab die Basilea die Einführung ihres Antibiotikums Zevtera® (Ceftobiprol Medocaril) in Deutschland bekannt. Ceftobiprol ist aktuell in 13 europäischen Ländern zur Behandlung von ambulant erworbener Lungenentzündung (CAP) und im Spital erworbener Lungenentzündung (HAP) bei Erwachsenen, mit Ausnahme der beatmungsassoziierten Pneumonie (VAP), unter dem Handelsnamen Zevtera® bzw. Mabelio® zugelassen.\* Dank seiner Breitspektrum-Aktivität, einschliesslich gegenüber MRSA und *Pseudomonas*, bietet Ceftobiprol Ärzten eine vereinfachte empirische *First-Line*-Behandlungsoption, wodurch die Notwendigkeit für die Verwendung von Antibiotikakombinationen verringert wird.

Darüber hinaus hat Basilea 2014 deutliche Fortschritte in ihren Frühphasen-Entwicklungsprogrammen erzielt. Basilea startete eine Phase-2a-Studie mit Patienten mit soliden Tumoren mit ihrem Onkologie-Medikamentenkandidaten BAL101553. BAL101553 ist ein intravenös und oral verfügbarer, niedermolekularer, Mikrotubuli-destabilisierender Antikrebs-Wirkstoff mit zweifachem Wirkmechanismus. Immungeschwächte Krebspatienten bilden die grösste Patientengruppe, die an invasiven Bakterien- und Pilzinfektionen leidet, was potenzielle Synergien zwischen Basileas Antiinfektiva-Portfolio und BAL101553 schafft. Basilea initiierte zudem eine Phase-1-Kombinationsstudie mit ihrem Gramnegativ-Antibiotikum BAL30072 und Meropenem, einem

Antibiotikum der Carbapenem-Klasse. Die Studie wird im Rahmen der Entwicklungsvereinbarung mit der *Biomedical Advanced Reserach and Development Authority (BARDA)*, einer Abteilung des US-Gesundheitsministeriums, durchgeführt.

Ronald Scott, CEO von Basilea, kommentierte: „Auch 2014 haben wir unsere wichtigsten Meilensteine erreicht. Zulassungsanträge für Isavuconazol wurden in den USA und der EU wie geplant eingereicht. Wir haben uns sehr über die jüngsten Empfehlungen des FDA-Beratungsausschusses gefreut, Isavuconazol in den USA zur Behandlung von schweren Schimmelpilzinfektionen wie invasiver Aspergillose und Mucormykoze zuzulassen. Eine regulatorische Entscheidung der FDA in den USA wird um das PDUFA-Datum, den 8. März 2015, erwartet. Mit einer Entscheidung der Zulassungsbehörden in Europa zu Isavuconazol wird im vierten Quartal dieses Jahres gerechnet. Dank unserer Forschungs- und Entwicklungskapazitäten und unserem Portfolio positioniert sich Basilea als eines der führenden biopharmazeutischen Unternehmen mit Fokus auf die medizinisch dringend gebotene Überwindung von Medikamentenresistenzen.“ Er ergänzte: „Im Dezember 2014 gaben wir die Markteinführung von Zevtera in Deutschland bekannt. Für 2015 erwarten wir Einführungen in weiteren europäischen Schlüsselmärkten. Sollte Isavuconazol zugelassen werden, hätte Basilea die einzigartige Chance, zwei neue Antiinfektiva auf dem europäischen Spitalmarkt zu lancieren.“

#### Wesentliche Kennzahlen

<i>(In Mio. CHF, ausser Angaben je Aktie)</i>	<b>2014</b>	<b>2013</b>
Umsatz aus Verträgen	42.1	40.5
Umsatz aus Forschungs- und Entwicklungsdienstleistungen	0.4	0.4
Sonstiger Ertrag	0.1	0.4
Betriebsertrag gesamt	<b>42.6</b>	<b>41.4</b>
Forschungs- und Entwicklungsaufwand	(54.4)	(53.3)
Vertriebs-, Verwaltungs- und allgemeiner Aufwand/Verwaltungs- und allgemeiner Aufwand	(30.1)	(21.3)
Betriebsaufwand gesamt	<b>(84.5)</b>	<b>(74.7)</b>
Betriebsverlust	<b>(41.8)</b>	<b>(33.3)</b>
Konzernverlust	<b>(41.5)</b>	<b>(33.0)</b>
Netto-Kapitalfluss aus operativer Geschäftstätigkeit	(71.5)	(59.5)
Liquide Mittel und kurzfristige Finanzanlagen	226.1	273.9
Verlust je Aktie, nicht verwässert und verwässert, in CHF	(4.17)	(3.40)

Anmerkungen: Konsolidierte Zahlen gemäss US GAAP; Rundungen wurden konsistent vorgenommen.

Die Konzernjahresrechnung der Basilea Pharmaceutica AG für das Geschäftsjahr 2014 ist auf der Internetseite der Gesellschaft einsehbar unter <http://annualreport.basilea.com>.

#### Zusammenfassung der Finanzergebnisse

Im Geschäftsjahr 2014 betrug der Umsatz aus Verträgen CHF 42.1 Mio. (2013: CHF 40.5 Mio.), inklusive CHF 36.9 Mio. (2013: CHF 36.9 Mio.) aus der globalen Vereinbarung mit Stiefel für Toctino® und CHF 3.9 Mio. (2013: CHF 1.9 Mio.) aus der Lizenzvereinbarung mit Astellas für

Isavuconazol. Der gesamte Betriebsertrag im Geschäftsjahr 2014 betrug CHF 42.6 Mio. (2013: CHF 41.4 Mio.).

Der Forschungs- und Entwicklungsaufwand belief sich im Geschäftsjahr 2014 auf CHF 54.4 Mio. (2013: CHF 53.3 Mio.). Dieser ist im Wesentlichen entstanden im Zusammenhang mit Aktivitäten zur Vorbereitung und Unterstützung des Zulassungsantrags von Isavuconazol in der Europäischen Union, der Sicherung der *Supply Chain* für Isavuconazol und Ceftobiprol sowie der Phase-1-Entwicklung von BAL30072 und der Phase-2a-Entwicklung von BAL101553. Im Jahr 2014 verbuchte die Gesellschaft CHF 9.5 Mio. (2013: CHF 0.0 Mio.) im Rahmen der Vereinbarung mit BARDA bezüglich der Erstattung von vereinbarten Entwicklungskosten für BAL30072.

Der Vertriebs-, Verwaltungs- und allgemeine Aufwand erhöhte sich auf CHF 30.1 Mio. (2013: CHF 21.3 Mio.), vor allem aufgrund der Aktivitäten im Zusammenhang mit der Vorbereitung und Unterstützung der Markteinführung von Ceftobiprol in Deutschland und weiteren grossen europäischen Ländern.

Der Betriebsverlust belief sich im Geschäftsjahr 2014 auf CHF 41.8 Mio., gegenüber CHF 33.3 Mio. im Geschäftsjahr 2013. Diese Veränderung ist vor allem auf höhere Aufwendungen im Zusammenhang mit der Markteinführung von Ceftobiprol zurückzuführen. Der Konzernjahresverlust für das Geschäftsjahr 2014 betrug CHF 41.5 Mio. (2013: CHF 33.0 Mio.), der nicht verwässerte und verwässerte Verlust pro Aktie je CHF 4.17 (2013: CHF 3.40).

Der Netto-Kapitalabfluss aus operativer Tätigkeit betrug im Geschäftsjahr 2014 CHF 71.5 Mio. im Vergleich zu CHF 59.5 Mio. im Geschäftsjahr 2013.

Die liquiden Mittel und kurzfristigen Finanzanlagen betrugen zum 31. Dezember 2014 CHF 226.1 Mio. im Vergleich zu CHF 273.9 Mio. zum 31. Dezember 2013.

## Finanzieller Ausblick

Basilea konzentriert sich 2015 darauf, Ceftobiprol in Spitälern in Deutschland, Frankreich, Italien und Grossbritannien einzuführen und zu etablieren. Für das Geschäftsjahr 2015 erwartet Basilea einen durchschnittlichen Betriebsaufwand von rund CHF 9 Mio. pro Monat. Der durchschnittliche Betriebsverlust wird 2015 auf rund CHF 4 Mio. pro Monat geschätzt, wobei der Betriebsertrag zum weit überwiegenden Teil durch die Realisierung von Umsatzerlösen aus Vorab- und Meilensteinzahlungen bestimmt wird.

## Pipeline-Update

**Ceftobiprol (Ceftobiprol Medocaril)** – *ein Bakterien schnell abtötendes, intravenös verabreichbares Cephalosporin-Breitspektrum-Antibiotikum der neuesten Generation, das grampositive und gramnegative Krankheitserreger abdeckt, inklusive dem Methicillin-resistenten Staphylococcus aureus (MRSA) und Pseudomonas spp.*<sup>2</sup>

Ceftobiprol ist in 13 europäischen Ländern zur Behandlung von Erwachsenen mit ambulant erworbener Lungenentzündung (CAP) und im Spital erworbener Lungenentzündung (HAP) zugelassen, mit Ausnahme der beatmungsassoziierten Pneumonie (VAP).\*

Im Juli 2014 schloss Basilea eine Vereinbarung mit Quintiles zur Vermarktung von Zevtera®/Mabelio® (Ceftobiprol Medocaril) in europäischen Schlüsselländern. Im Mai 2014 wurden auf der Fachveranstaltung *European Congress of Clinical Microbiology and Infectious Diseases (ECCMID)*, post-hoc durchgeführte Analysen von Phase-3-Daten vorgestellt. Diese zeigen, dass Lungenentzündungs-Patienten, die mit Ceftobiprol behandelt wurden, schneller auf die Behandlung ansprachen als Patienten, welche die Vergleichstherapie erhielten.<sup>3, 4</sup>

Basilea hält die weltweiten Rechte an Ceftobiprol und ist in Gesprächen mit potenziellen regionalen Partnern. Ceftobiprol ist durch die US-amerikanische FDA nicht bewilligt und in den USA nicht zum Verkauf zugelassen.

**Isavuconazol (Isavuconazonium Sulfat)** – ein in der Entwicklung befindliches, einmal täglich zu verabreichendes und sowohl in intravenöser als auch oraler Darreichungsform verfügbares Breitspektrum-Antimykotikum zur Behandlung schwerer und lebensbedrohlicher invasiver Pilzinfektionen. Diese treten vorwiegend bei immungeschwächten Patienten auf, etwa bei Krebspatienten unter Chemotherapie

Isavuconazol erhielt von der US-amerikanischen FDA im Rahmen des US *Generating Antibiotics Incentives Now (GAIN) Act* den Status eines *Qualified Infectious Disease Product (QIDP)* für die Behandlung invasiver Aspergillose, Mucormykose und Candidiasis. Darüber hinaus hat es in der EU und den USA den *Orphan-Drug*-Status für invasive Aspergillose und Mucormykose sowie in den USA zusätzlich den *Orphan-Drug*-Status für invasive Candidiasis. Mit dem QIDP- und *Orphan-Drug*-Status sind bestimmte Vorteile wie etwa die Verlängerung der Marktexklusivität im Falle einer Zulassung verbunden.

Im Januar 2015 wurde die Patientenrekrutierung in die Phase-3-Studie ACTIVE abgeschlossen, bei der Isavuconazol zur Behandlung von Candidämie und anderen invasiven *Candida*-Infektionen bei Erwachsenen untersucht wird. Nach Abschluss der Behandlung und *Follow-up*-Perioden werden *Topline*-Daten für das zweite Halbjahr 2015 erwartet.

Isavuconazol wird gemeinsam mit Astellas Pharma Inc. entwickelt. Basilea hält die weltweiten Rechte an Isavuconazol mit Ausnahme der USA und Kanada, wo Astellas die exklusive Lizenz hält. Im Jahr 2014 erhielt Basilea von Astellas eine Meilensteinzahlung in Höhe von CHF 12 Mio. im Zusammenhang mit der Annahme des Zulassungsantrags (*New Drug Application*) zur Prüfung durch die US-amerikanische FDA für die Behandlung von invasiver Aspergillose und Mucormykose. Basilea hat Anspruch auf weitere Meilensteinzahlungen in Höhe von bis zu CHF 362 Mio.

**BAL30072** – ein in Phase 1 der klinischen Entwicklung befindliches, intravenös verabreichbares Monosulfaktam-Antibiotikum mit Wirkung gegenüber multiresistenten gramnegativen Bakterien

Im Juni 2014 begann Basilea eine klinische Phase-1-Studie, in der die Sicherheit und Verträglichkeit sowie Pharmakokinetik ansteigender Mehrfachdosierungen von intravenös verabreichtem BAL30072 allein und in Kombination mit dem Carbapenem-Antibiotikum Meropenem untersucht wird. *In-vitro*-Daten zeigten synergistische bzw. additive Aktivität von BAL30072 in Verbindung mit Antibiotika aus der Klasse der Carbapeneme.<sup>5</sup> Die Phase-1-Studie wird im Rahmen eines Vertrags mit BARDA durchgeführt. In Abhängigkeit vom Erreichen von Meilensteinen stellt der Vertrag für eine erste Laufzeit von 22 Monaten eine Entwicklungsfinanzierung von rund USD 17 Mio. zur Verfügung; diese könnte auf bis zu USD 89 Mio. über eine Gesamtlaufzeit von sechs Jahren erweitert werden.

**BAL101553** – ein in der Phase 2a der klinischen Entwicklung befindlicher, intravenös und oral verabreichbarer, Mikrotubuli-destabilisierender niedermolekularer Antikrebs-Wirkstoff mit zweifachem Wirkmechanismus

BAL101553, das wasserlösliche Prodrug der aktiven Wirksubstanz BAL27862, hat in einer Phase-1-Studie erste Anzeichen klinischer Antitumoraktivität gezeigt. In der Studie wurde die maximal verträgliche Dosis bestimmt. Die derzeit verfügbaren Phase-1-Daten deuten auf einen zweifachen Wirkmechanismus hin, einerseits betreffend der Proliferation von Tumorzellen und andererseits hinsichtlich der Versorgung der Tumore durch Blutgefässe.<sup>6</sup>

Im Juli 2014 wurde eine Phase-2a-Studie initiiert, in der die Sicherheit und Verträglichkeit von zwei verschiedenen hohen Dosierungen von BAL101553 bei erwachsenen Patienten mit unterschiedlichen soliden Tumoren untersucht wird, die nicht mehr auf gängige Therapien ansprechen. Zudem sollen Wirksamkeitsdaten erhoben werden. Die Ergebnisse der Studie sollen die Auswahl von Tumorindikationen für zukünftige erweiterte Phase-2-Studien erleichtern. In der Studie wird darüber hinaus die Validierung von *Biomarkern* fortgesetzt, um die Dosisfindung zu

unterstützen sowie die Identifizierung von Patientengruppen, die auf eine Behandlung ansprechen könnten.

**Toctino® (orales Alitretinoin)** – *das einzige, in einigen Ländern zugelassene Medikament für die systemische Behandlung von Erwachsenen mit schwerem chronischem Handekzem, das nicht auf starke topische Kortikosteroide anspricht. In den USA ist orales Alitretinoin ein Entwicklungspräparat und nicht durch die FDA zugelassen*

Im Juli 2012 wurde das Toctino®-Geschäft zu Stiefel, einem Unternehmen der GlaxoSmithKline-Gruppe, transferiert. Derzeit bereitet Stiefel einen Zulassungsantrag (*New Drug Application*) für Alitretinoin zur Behandlung des schweren chronischen Handekzems zur Einreichung bei der US-amerikanischen FDA vor. Basilea hat Anspruch auf eine Meilensteinzahlung in Verbindung mit der Markteinführung des Produkts in den USA und ist an zukünftigen US-Umsätzen beteiligt.

### Telefonkonferenz

Basilea Pharmaceutica AG lädt am Dienstag, 17. Februar 2015, um 16:00 Uhr (MEZ) zu einer Telefonkonferenz ein, um den Inhalt der heutigen Pressemitteilung zu besprechen.

Die Einwahlnummern sind:

+41 (0) 58 310 5000 (Europa und ROW)  
+1 (1) 631 570 5613 (USA)  
+44 (0) 203 059 5862 (UK)

Eine Aufzeichnung wird eine Stunde nach der Telefonkonferenz zur Verfügung gestellt und kann bis Donnerstag, 19. Februar 2015, um 18:00 Uhr (MEZ) abgerufen werden. Teilnehmer, die sich die Aufzeichnung anhören möchten, wählen:

+41 (0) 91 612 4330 (Europa und ROW)  
+1 (1) 866 416 2558 (USA)  
+44 (0) 207 108 6233 (UK)

und werden gebeten, die ID 11378 gefolgt vom # Zeichen einzugeben.

### Informationen für Aktionäre

Die Aktionäre der Basilea Pharmaceutica AG werden darüber informiert, dass die ordentliche Generalversammlung der Basilea Pharmaceutica AG am **Mittwoch, 29. April 2015, um 14 Uhr im Hotel Hilton in Basel** stattfinden wird. Die Einladung wird im Schweizerischen Handelsamtsblatt (SHAB) publiziert werden. Teilnahme- und stimmberechtigt sind Aktionäre, die am 17. April 2015 im Aktienbuch mit Stimmrecht eingetragen sind.

### Über Basilea

Basilea Pharmaceutica AG ist ein biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Entwicklung von Antibiotika, Antimykotika und Medikamenten zur Krebstherapie spezialisiert hat. Basileas Therapeutika zielen dabei auf das Problem der zunehmenden Resistenzen gegen bzw. das Nicht-Ansprechen auf derzeitige Behandlungsmöglichkeiten ab. Mittels der integrierten Forschungs- und Entwicklungsaktivitäten der Tochtergesellschaft Basilea Pharmaceutica International AG entwickelt und vermarktet das Unternehmen innovative Medikamente, um den medizinischen Bedarf von Patienten zu adressieren, die an schweren und potenziell lebensbedrohlichen Krankheiten leiden. Basilea Pharmaceutica AG hat ihren Hauptsitz in Basel, Schweiz, und ist an der Schweizer Börse SIX Swiss Exchange kotiert (SIX: BSLN). Für weitere Informationen besuchen Sie bitte die Unternehmens-Website [www.basilea.com](http://www.basilea.com)

### Ausschlussklausel

Diese Mitteilung enthält explizit oder implizit gewisse zukunftsgerichtete Aussagen betreffend Basilea Pharmaceutica AG und ihrer Geschäftsaktivitäten. Solche Aussagen beinhalten

bekannte und unbekannte Risiken und Unsicherheitsfaktoren, die zur Folge haben können, dass die tatsächlichen Ergebnisse, die finanzielle Lage, die Leistungen oder Errungenschaften der Basilea Pharmaceutica AG wesentlich von denjenigen Angaben abweichen können, die aus den zukunftsgerichteten Aussagen hervorgehen. Diese Mitteilung ist mit dem heutigen Datum versehen. Basilea Pharmaceutica AG übernimmt keinerlei Verpflichtung, zukunftsgerichtete Aussagen im Falle von neuen Informationen, zukünftigen Geschehnissen oder aus sonstigen Gründen zu aktualisieren.

Für weitere Informationen kontaktieren Sie bitte:

Media Relations	Investor Relations
Peer Nils Schröder, PhD Head Public Relations & Corporate Communications +41 61 606 1102 media_relations@basilea.com	Barbara Zink, PhD, MBA Head Corporate Development  +41 61 606 1233 investor_relations@basilea.com

Diese Pressemitteilung ist unter [www.basilea.com](http://www.basilea.com) abrufbar.

## Quellenangaben

- \* Ceftobiprol (Handelsname in Europa Zevtera® oder Mabelio®, je nach Land) hat nationale Zulassungen zur Behandlung von CAP und HAP (mit Ausnahme von VAP) bei Erwachsenen in Deutschland, Belgien, Dänemark, Finnland, Frankreich, Grossbritannien, Italien, Luxemburg, Norwegen, Österreich, Spanien, Schweden und der Schweiz erhalten. In einigen Ländern, einschliesslich Spanien, läuft derzeit noch das Verfahren zur Kostenerstattung und Preissetzung.
- 1 C. Woods, G. Colice. Methicillin-resistant *Staphylococcus aureus* pneumonia in adults. Expert Review of Respiratory Medicine 2014 (8), 641-651
- 2 Y. Y. Syed. Ceftobiprole medocaril: A review of its use in patients with hospital- or community-acquired pneumonia. Drugs 2014 (74), 1523-1542
- 3 T. Scheeren et al. Early clinical improvement and clinical cure in a randomised controlled phase 3 study of ceftobiprole versus ceftazidime/linezolid in patients with hospital-acquired pneumonia. European Congress of Clinical Microbiology and Infectious Diseases (ECCMID) 2014, Präsentation O151
- 4 T. Welte et al. Early clinical response in a randomised controlled phase 3 study of ceftobiprole versus ceftriaxone with or without linezolid in patients with community-acquired pneumonia requiring hospitalisation. European Congress of Clinical Microbiology and Infectious Diseases (ECCMID) 2014, Poster eP431
- 5 I. Morissey et al. Activity of BAL30072 alone and in combination with carbapenems against Gram-negative bacteria. European Congress of Clinical Microbiology and Infectious Diseases (ECCMID) 2014, Poster P0296
- 6 L. R. Molife et al. Phase 1/2a trial of the novel microtubule inhibitor BAL101553 in advanced solid tumors: Phase 1 completed. American Society of Clinical Oncology (ASCO) annual meeting 2014, Abstract 2562