

## PRESSEMITTEILUNG

# Basilea präsentiert Halbjahresergebnisse 2015 – wichtige Meilensteine für CRESEMBA® und Zevtera® erreicht

- Antimykotikum CRESEMBA® (Isavuconazol) erhält US-Zulassung sowie Zulassungsempfehlung für die Europäische Union
- Antibiotikum Zevtera®/Mabelio® (Ceftobiprol Medocaril) derzeit in vier europäischen Ländern im Markt eingeführt
- US-FDA erteilt Ceftobiprol QIDP-Status zur Behandlung von Lungenentzündungen und Hautinfektionen
- Weiteres Onkologie-Programm (panRAF-Kinase-Inhibitor BAL3833) in klinische Phase 1 der Entwicklung aufgenommen
- CHF 218.4 Mio. liquide Mittel und kurzfristige Finanzanlagen

**Basel, 14. August 2015** – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute die Finanzergebnisse für das erste Halbjahr des Geschäftsjahrs 2015 bekannt. Die Gesellschaft verfügte zum Halbjahr über eine solide Liquiditätsposition von CHF 218.4 Mio. Im bisherigen Jahresverlauf erreichte Basilea signifikante Meilensteine. Das Antimykotikum Isavuconazol erhielt die US-Zulassung und wurde zur Behandlung der invasiven Schimmelpilzinfektionen Aspergillose und Mukormykose bei Erwachsenen unter dem Handelsnamen CRESEMBA® von Basileas Lizenzpartner Astellas Pharma Inc. in den Vereinigten Staaten lanciert. Darüber hinaus sprach sich der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittelagentur dafür aus, Isavuconazol als neues Medikament für die Behandlung der Schimmelpilzinfektionen invasive Aspergillose und Mukormykose in der Europäischen Union zuzulassen. Der Entscheid durch die Europäische Kommission wird in den kommenden Monaten erwartet. Basilea hat ihr Antibiotikum Zevtera®/Mabelio® (Ceftobiprol Medocaril)\* derzeit in vier europäischen Märkten lanciert: Deutschland, Frankreich, Italien und dem Vereinigten Königreich. Die Markteinführung in Spanien ist für Ende 2015 oder Anfang 2016 geplant. Um den vollen kommerziellen Wert von Zevtera® zu erschliessen, ist Basilea in Gesprächen mit potenziellen Partnern für weitere Territorien, einschliesslich der USA. Die US-FDA hat Ceftobiprol den Status eines *Qualified Infectious Disease Product* (QIDP) zur potenziellen Behandlung ambulant erworbener bakterieller Lungenentzündungen und akuter bakterieller Haut- und Weichteilinfektionen erteilt.

Ronald Scott, Chief Executive Officer von Basilea, sagte: „Wir verfügen über eine solide Basis von der aus wir das Unternehmen weiter ausbauen und fokussieren uns auf unsere wichtigsten Werttreiber. Zevtera vertreiben wir derzeit bereits in einer Reihe wichtiger europäischer Märkte während wir uns gleichzeitig auf eine mögliche Markteinführung von Isavuconazol in Europa vorbereiten. Zwischen diesen beiden Spital-Antiinfektiva bestehen grosse kommerzielle Synergien.“ Er ergänzte: „Basilea setzt sich dafür ein, Patienten innovative Therapien zur Verfügung zu stellen. Daher sehen wir dem Entscheid der Europäischen Kommission über eine mögliche Zulassung von Isavuconazol im vierten Quartal 2015 positiv entgegen.“

David Veitch, Chief Commercial Officer von Basilea, kommentierte: „Invasive Schimmelpilzinfektionen sind das wichtigste Marktsegment, sowohl hinsichtlich des medizinischen Bedarfs als

auch hinsichtlich der Wertschöpfung. Isavuconazol ist ganz klar in diesem Segment positioniert. Die Vorbereitungen für eine potenzielle Markteinführung von Isavuconazol in Europa Anfang nächsten Jahres laufen.“ Er fügte hinzu: „Darüber hinaus fokussieren wir uns derzeit auf die Markteinführung unseres Antibiotikums Zevtera. Wir erwarten, dass die Zevtera-Verkäufe nach Abschluss der Markteinführungen in den einzelnen Ländern stetig zunehmen werden, und zwar in dem Masse, wie Spitäler Erfahrung mit dem Antibiotikum sammeln und dessen Einsatz zur Routinetherapie wird. Die Therapieversagerquote bei der Behandlung von MRSA-bedingten Lungenentzündungen ist immer noch hoch und wird zum Teil einer inadäquaten primären Antibiotikatherapie zugeschrieben. Patienten mit Lungenentzündung benötigen wirksame Antibiotika mit schnellem Wirkeintritt und guter Verträglichkeit. Eine adäquate Primärtherapie ist besonders wichtig, wenn es darum geht, Sterblichkeit und Morbidität zu verringern und den Spitalaufenthalt möglichst kurz zu halten. Hier adressiert Zevtera als neue Option für die primäre Antibiotikatherapie einen wichtigen medizinischen Bedarf.“

Prof. Achim Kaufhold, Chief Medical Officer von Basilea, sagte: “Ergänzend zu den wichtigen Fortschritten in unserem Antiinfektiva-Portfolio haben wir im ersten Halbjahr unser Onkologie-Portfolio gestärkt. Für das panRAF-Kinase-Inhibitor-Programm wurde mit der Phase 1 der klinischen Entwicklung begonnen. Diese Substanzen haben erfolgversprechende Aktivität in präklinischen Modellen resistenter Tumore gezeigt. Des Weiteren erwarten wir in der zweiten Jahreshälfte für unseren Tumor-Checkpoint-Controller BAL101553 Ergebnisse aus einer Phase-2a-Studie mit Patienten, die an fortgeschrittenen soliden Tumoren erkrankt sind.“

#### Wesentliche Kennzahlen

(In Mio. CHF, ausser Angaben je Aktie)	H1 2015	H1 2014
Umsatz aus Verträgen	24.4	20.2
Umsatz aus Forschungs- und Entwicklungsdienstleistungen	0.4	0.1
Sonstiger Umsatz	0.2	0.0
Umsatz gesamt	25.0	20.3
Forschungs- und Entwicklungsaufwand, netto	(31.2)	(27.5)
Vertriebs-, Verwaltungs- und allgemeiner Aufwand	(23.8)	(12.3)
Betriebsaufwand gesamt	(55.0)	(39.8)
Betriebsverlust	(30.0)	(19.5)
Konzernverlust	(30.1)	(19.4)
Netto-Kapitalfluss aus operativer Geschäftstätigkeit	(19.3)	(44.9)
Liquide Mittel und kurzfristige Finanzanlagen	218.4	245.9
Verlust je Aktie, nicht verwässert und verwässert, in CHF	(3.0)	(1.97)

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

Der ungeprüfte verkürzte konsolidierte Zwischenabschluss der Basilea Pharmaceutica AG für das erste Halbjahr 2015 ist auf der Internetseite der Gesellschaft unter <http://interimreport.basilea.com> abrufbar.

## Zusammenfassung der Finanzergebnisse

In den ersten sechs Monaten des Geschäftsjahres 2015 belief sich der Umsatz aus Verträgen auf CHF 24.4 Mio. (H1 2014: CHF 20.2 Mio.), inklusive CHF 18.8 Mio. (H1 2014: CHF 18.5 Mio.) im Zusammenhang mit der globalen Vereinbarung mit Stiefel bezüglich Toctino® sowie CHF 5.6 Mio. (H1 2014: CHF 1.7 Mio.) im Zusammenhang mit der Lizenzvereinbarung mit Astellas bezüglich Isavuconazol. Der gesamte Umsatz belief sich im ersten Halbjahr 2015 auf CHF 25.0 Mio. (H1 2014: CHF 20.3 Mio.).

Der Netto-Forschungs- und -Entwicklungsaufwand, belief sich in den ersten sechs Monaten 2015 auf CHF 31.2 Mio. (H1 2014: CHF 27.5 Mio.) und entstand hauptsächlich im Zusammenhang mit der Unterstützung der Vorbereitung der Markteinführung für Isavuconazol in Europa, dem Unterhalt der *Supply-Chain* für Isavuconazol, dem Vorantreiben der Phase-2a-Entwicklung von BAL101553 und der Stärkung des Onkologie-Portfolios durch die Einlizenzierung von panRAF-Kinase-Inhibitoren sowie dem Vorantreiben der explorativen Forschungsprogramme. In den ersten sechs Monaten 2015 verbuchte die Gesellschaft CHF 3.6 Mio. (H1 2014: CHF 3.3 Mio.) Kostenrückerstattungen von vereinbarten Entwicklungskosten für BAL30072 im Rahmen der Vereinbarung mit BARDA.

Der Vertriebs-, Verwaltungs- und allgemeine Aufwand erhöhte sich auf CHF 23.8 Mio. (H1 2014: CHF 12.3 Mio.), primär aufgrund der Markteinführung von Ceftobiprol in Deutschland, Frankreich, Italien und dem Vereinigten Königreich sowie Aktivitäten für die Vorbereitung und Unterstützung einer möglichen Markteinführung von Isavuconazol in wichtigen europäischen Ländern.

Im ersten Halbjahr 2015 belief sich der Betriebsverlust auf CHF 30.0 Mio., verglichen mit CHF 19.5 Mio. im ersten Halbjahr 2014. Diese Veränderung ist im Wesentlichen bedingt durch höhere betriebliche Aufwendungen in Bezug auf Aktivitäten zur Vermarktung von Ceftobiprol und vorbereitende Aktivitäten für eine Markteinführung von Isavuconazol. Der Konzernverlust belief sich auf CHF 30.1 Mio. (H1 2014: CHF 19.4 Mio.) und der nicht verwässerte und verwässerte Verlust je Aktie auf CHF 3.00 (H1 2014: CHF 1.97).

Der Netto-Kapitalabfluss durch operative Geschäftstätigkeit belief sich in den ersten sechs Monaten 2015 auf CHF 19.3 Mio., im Vergleich zu CHF 44.9 Mio. in den ersten sechs Monaten 2014. Der Rückgang ist im Wesentlichen auf die im ersten Halbjahr 2015 erhaltene Meilensteinzahlung von Astellas in Höhe von CHF 30.0 Mio. aufgrund der Erteilung der Marktzulassung für Isavuconazol in den USA begründet.

Zum 30. Juni 2015 verfügte Basilea über liquide Mittel und kurzfristige Finanzanlagen in Höhe von insgesamt CHF 218.4 Mio., verglichen mit CHF 226.1 Mio. zum 31. Dezember 2014.

## Finanzieller Ausblick

Basilea bleibt weiterhin darauf fokussiert, Zevtera® in Spitälern in Deutschland, Frankreich, Italien und dem Vereinigten Königreich zu etablieren sowie das Medikament in Spanien bis Ende 2015 oder Anfang 2016 zu lancieren. Darüber hinaus bereitet das Unternehmen die potentielle Markteinführung von Isavuconazol in Europa vor. Für das Geschäftsjahr 2015 erwartet Basilea einen durchschnittlichen Betriebsaufwand von rund CHF 9 Mio. pro Monat. Basileas durchschnittlicher Betriebsverlust wird in 2015 auf rund CHF 4-5 Mio. pro Monat geschätzt.

## Pipeline-Update

**CRESEMBA® (Isavuconazol)** – ein sowohl in intravenöser als auch oraler Darreichungsform verfügbares Breitspektrum-Antimykotikum zur Behandlung schwerer invasiver Pilzinfektionen – in den USA für invasive Schimmelpilzinfektionen zugelassen und in der Europäischen Union zur Zulassung empfohlen

Isavuconazol wird gemeinsam mit Astellas Pharma Inc. entwickelt. Im Rahmen der Vereinbarung hält Astellas Lizenzrechte in den USA; Basilea hält die weltweiten Rechte an Isavuconazol ausserhalb der USA. Nach der Zulassung von Isavuconazol zur Behandlung invasiver Aspergillose und invasiver Mukormykose bei Erwachsenen durch die US-amerikanische FDA hat Astellas das Medikament im April 2015 in den USA im Markt eingeführt. Basilea hat Anrecht auf Lizenzgebühren und Meilensteinzahlungen im Zusammenhang mit den von Astellas erzielten Umsätzen in den USA. Der Ausschuss für Humanarzneimittel (CHMP) der Europäischen Arzneimittelagentur sprach sich dafür aus, Isavuconazol als neues Medikament für die Behandlung von invasiver Aspergillose und Mukormykose in der Europäischen Union zuzulassen.

Die Phase-3-Studie ACTIVE, in der Isavuconazol zur Behandlung invasiver *Candida*-Infektionen untersucht wurde, hat ihr primäres Ziel nicht erreicht. Der wichtigste sekundäre Endpunkt, die Gesamtansprechrate zum Zeitpunkt der ersten Nachuntersuchung (zwei Wochen nach Therapieende), war jedoch in beiden Behandlungsgruppen vergleichbar. Darüber hinaus war die Gesamtsterblichkeit, ebenfalls ein sekundärer Endpunkt der Studie, an den Studientagen 14 und 56 in beiden Behandlungsgruppen vergleichbar. Zusätzliche Datenanalysen werden durchgeführt, um die mögliche Rolle von Isavuconazol im Hinblick auf invasive *Candida*-Infektionen zu bewerten.

**Zevtera®/Mabelio® (Ceftobiprol Medocaril)** – ein intravenöses Breitspektrum-Cephalosporin-Antibiotikum – in europäischen Ländern auf dem Markt

Zevtera®/Mabelio® (landesabhängige Handelsnamen von Ceftobiprol in Europa) ist ein Cephalosporin-Breitspektrum-Antibiotikum der neuesten Generation mit bakterizider Wirkung gegenüber grampositiven und gramnegativen Erregern von Lungenentzündungen, einschliesslich *Methicillin-resistente Staphylococcus aureus* (MRSA) und empfindliche Stämme von *Pseudomonas* spp.

Ceftobiprol erhielt nationale Zulassungen zur Behandlung von Erwachsenen mit ambulant und im Spital erworbener Lungenentzündung (CAP und HAP), mit Ausnahme der beatmungsassoziierten Pneumonie (VAP) in 13 europäischen Ländern\* und wurde bisher in Deutschland, Frankreich, Italien und Grossbritannien lanciert. In den USA ist Ceftobiprol nicht zum Verkauf zugelassen.

Die FDA hat Ceftobiprol den Status eines *Qualified Infectious Disease Product* (QIDP) zur Behandlung ambulant erworbener bakterieller Lungenentzündung und akuter bakterieller Haut- und Weichteilinfektionen erteilt. Der QIDP-Status ist mit bestimmten Anreizen für die Entwicklung von Antibiotika verbunden, wie beispielsweise einer beschleunigten Bearbeitung bei Stellung eines Zulassungsantrags in den USA (*Priority Review*) und einer fünfjährigen Verlängerung der Marktexklusivität, die bei einer Zulassung zur Anwendung kommen könnten.

**BAL30072** – ein in der Entwicklung befindliches, intravenös verabreichbares Monosulfaktam-Antibiotikum mit Wirkung gegenüber vielen klinisch relevanten multiresistenten gramnegativen Bakterien

Basilea und die US-amerikanische *Biomedical Advanced Research and Development Authority* (BARDA), eine Abteilung des US-Gesundheitsministeriums (*Department of Health and Human Services*), haben gemeinsam beschlossen, die Vereinbarung über die Entwicklungsfinanzierung der intravenösen Form nach der ersten Laufzeit zu beenden. Im Rahmen der Vereinbarung war eine Phase-1-Studie mit intravenös verabreichtem BAL30072 in Kombination mit dem

Carbapenem-Antibiotikum Meropenem durchgeführt worden. Während der Phase-1-Entwicklung wurden vorübergehend erhöhte Leberenzymwerte als dosislimitierender Faktor beobachtet. Im Rahmen potenzieller Partnerschaften und Kollaborationen diskutiert Basilea derzeit weitere Entwicklungsoptionen, darunter Kombinationen mit anderen Antibiotika und neue Darreichungsformen, einschliesslich inhalierbarer Formulierungen von BAL30072.

**BAL101553** – *ein Medikamentenkandidat für die Krebstherapie (Tumor-Checkpoint Controller) — in der klinischen Phase 2a (intravenöse Form) bzw. Phase 1 (orale Form)*

BAL101553 ist ein niedermolekularer, Mikrotubuli-destabilisierender Wirkstoff, der als *Tumor-Checkpoint-Controller* durch Aktivierung eines wichtigen Kontrollpunkts der Zellteilung Tumorzellen zum Absterben bringt.

Die intravenöse Darreichungsform von BAL101553 befindet sich derzeit in Phase 2a der klinischen Entwicklung, die orale Form in Phase 1. Beide Studienprogramme werden bei Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren durchgeführt. Die Verfügbarkeit einer oralen Form von BAL101553 eröffnet zusätzliche Flexibilität, sowohl als Einzelwirkstoff als auch in Kombination, im Hinblick auf mögliche Behandlungsstrategien gegen verschiedene Tumorarten.

**BAL3833** – *ein oral verfügbarer Antikrebs-Wirkstoff (panRAF-Kinase-Inhibitor), der gegen Tumorwachstum und Resistenzen gegenüber derzeitigen Behandlungsoptionen gerichtet ist — in der klinischen Phase 1*

BAL3833 ist die Leitsubstanz einer neuen Klasse von panRAF-Kinase-Inhibitoren, die auch gegenüber Tumoren mit Resistenz gegen derzeit verfügbare RAF-Kinase-Inhibitoren aktiv sind und eine neue Behandlungsoption für Melanoma und andere Krebsarten bieten könnten. Basilea entwickelt BAL3833 im Rahmen einer Lizenzvereinbarung mit einem Konsortium, dem unter anderem das *Institute of Cancer Research*, London, *Cancer Research Technology*, *Wellcome Trust* sowie die Universität Manchester angehören. Im Mai wurde eine Phase-1-Studie mit Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren initiiert.

**Toctino® (orales Alitretinoin)** – *ein Dermatologie-Medikament für die systemische Behandlung von Erwachsenen mit schwerem chronischem Handekzem, das nicht auf starke topische Kortikosteroide anspricht — in einer Reihe von Ländern zugelassen und vermarktet, in den USA ein Entwicklungspräparat ohne FDA-Zulassung*

Im Juli 2012 wurden die weltweiten Rechte an Toctino® auf Stiefel, ein Unternehmen der GlaxoSmithKline-Gruppe, übertragen. Derzeit bereitet Stiefel einen U.S.-Zulassungsantrag (*New Drug Application*) für Alitretinoin zur Behandlung des schweren chronischen Handekzems vor. Basilea hat Anspruch auf eine Meilensteinzahlung bei Markteinführung des Produkts in den USA sowie auf eine Beteiligung an zukünftigen US-Produktverkäufen.

## Telefonkonferenz

Basilea Pharmaceutica AG lädt am heutigen Freitag, 14. August 2015, um 16:00 Uhr (MESZ) zu einer Telefonkonferenz ein, um den Inhalt dieser 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 Montag, 17. August 2015, um 18:00 Uhr (MESZ) 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 19396 gefolgt vom # Zeichen einzugeben.

## 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 erforscht, 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 unbekannt 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 <a href="mailto:media_relations@basilea.com">media_relations@basilea.com</a>	Barbara Zink, PhD, MBA Head Corporate Development  +41 61 606 1233 <a href="mailto:investor_relations@basilea.com">investor_relations@basilea.com</a>

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

## Quellenangaben

- \* Europäischer Handelsname Zevtera® oder Mabelio® (landesabhängig). Das Medikament hat in 13 europäischen Ländern die nationale Zulassung zur Behandlung von ambulant und im Spital erworbener Lungenentzündung (CAP, HAP) bei Erwachsenen (mit Ausnahme der beatmungsassoziierten Pneumonie, VAP) erhalten: Belgien, Dänemark, Deutschland, Finnland, Frankreich, Italien, Luxemburg, Norwegen, Österreich, Spanien, Schweden, Schweiz und Vereinigtes Königreich. Ceftobiprol ist in den USA nicht zum Verkauf zugelassen.