

PRESSEMITTEILUNG

Basilea präsentiert Halbjahresergebnisse 2016 – CRESEMBA® in wichtigen europäischen Märkten eingeführt

- **Antimykotikum CRESEMBA® (Isavuconazol) in ersten europäischen Märkten eingeführt**
- **Vertrag mit BARDA über die Entwicklung und potenzielle US-Zulassung des Antibiotikums Ceftobiprol (europäischer Handelsname Zevtera® bzw. Mabelio®)**
- **CHF 311 Mio. liquide Mittel und Finanzanlagen zum Ende des ersten Halbjahres**

Basel, 15. August 2016 – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute die Finanzergebnisse für das erste Halbjahr des Geschäftsjahres 2016 bekannt. Die Gesellschaft verfügt über eine solide Liquiditätsposition in Höhe von CHF 310.9 Mio. Der Konzernverlust in der Berichtsperiode belief sich auf CHF 27.9 Mio.

Basileas CEO Ronald Scott erklärte: „Wir sind stolz, unser zur Behandlung von invasiven Schimmelpilzinfektionen eingesetztes Antimykotikum CRESEMBA in den ersten europäischen Märkten eingeführt zu haben. Die mit CRESEMBA und Zevtera im ersten Halbjahr erzielten Produktumsätze lagen im Rahmen unseres Ausblicks. Der mit BARDA geschlossene neue Vertrag ermöglicht uns, die für eine potenzielle Zulassung von Ceftobiprol im kommerziell wichtigen US-Markt notwendige klinische Entwicklung von Ceftobiprol in Indikationen mit einem hohen medizinischen Bedarf weiter voranzutreiben, beispielsweise für die Behandlung bakterieller Blutbahninfektionen. Zusätzlich beabsichtigen wir, im weiteren Jahresverlauf unsere klinische Studie mit der oralen Formulierung unseres am weitesten fortgeschrittenen Onkologie-Wirkstoffs, dem Tumor-Checkpoint-Controller BAL101553, auf Patienten mit Glioblastom zu erweitern.“

Antiinfektiva: CRESEMBA® und Zevtera®/Mabelio®

Basilea vermarktet CRESEMBA® (Isavuconazol) derzeit in Deutschland, Italien, dem Vereinigten Königreich und Österreich und erhält Lizenzgebühren aus Verkäufen in den Vereinigten Staaten, wo das Medikament durch Basileas Lizenzpartner Astellas Pharma US vertrieben wird.

Basileas Breitspektrum-Antibiotikum Zevtera®/Mabelio® (Ceftobiprol) ist derzeit in Deutschland, Italien, dem Vereinigten Königreich, Frankreich, Österreich und der Schweiz verfügbar. In Europa werden CRESEMBA® und Zevtera®/Mabelio® von einer eigens darauf ausgerichteten Vertriebsorganisation gemeinsam vermarktet, um die kommerziellen Synergien zu nutzen, die sich aus den überlappenden Verschreibergruppen im Spital ergeben.

Basilea beabsichtigt, Ceftobiprol auf den US-amerikanischen Markt zu bringen und hat im Hinblick darauf im April 2016 eine Vereinbarung mit der US-amerikanischen Biomedical Advanced Research and Development Authority (BARDA)¹ über ein Phase-3-Entwicklungsprogramm für den potenziellen Erhalt der Marktzulassung in den USA abgeschlossen. Gemäss Vertrag wird BARDA die Entwicklung zunächst mit rund USD 20 Mio. unterstützen. Bei Erreichen bestimmter vorab definierter Meilensteine, könnte der Gesamtwert des Vertrags über einen Zeitraum von 4.5 Jahren USD 100 Mio. erreichen.

Im Rahmen des mit BARDA vereinbarten Ceftobiprol-Programms beabsichtigt Basilea zunächst, Phase-3-Studien in den Indikationen akute bakterielle Haut- und Weichteilinfektionen (englische Abkürzung ABSSSI) und durch *Staphylococcus aureus* verursachte Bakteriämie (englische Abkürzung SAB) durchzuführen. Das Unternehmen befindet sich in Gesprächen mit der US-Zulassungsbehörde Food and Drug Administration (FDA) betreffend dieser Studien, um zur Unterstützung beider Indikationen sogenannte Special Protocol Assessments (SPAs) zu erhalten.

Nach vollständiger Durchsicht der verfügbaren Daten hat sich Basilea entschieden, das präklinische, inhalierbare Antibiotikum BAL30072 nicht weiter zu entwickeln.

Onkologie: BAL101553 und BAL3833

Therapien zur Überwindung von Tumor-Resistenzen bilden die zweite Säule im Portfolio der Basilea. Hier wurden im ersten Halbjahr 2016 bedeutende Fortschritte in der Entwicklung unserer beiden Medikamentenkandidaten BAL101553 und BAL3833 erzielt, einem oral und intravenös (i. v.) verabreichbaren niedermolekularen Tumor-Checkpoint-Controller bzw. einem oralen panRAF/SRC-Kinase-Inhibitor.

Daten aus der abgeschlossenen Open-Label-Phase-1/2a-Studie mit intravenösem BAL101553 wurden auf der Jahrestagung der American Society of Clinical Oncology (ASCO) vorgestellt. Bei Verabreichung der für wöchentlich zweistündige intravenöse Gabe empfohlenen Phase-2-Dosis zeigte sich der Medikamentenkandidat als insgesamt gut verträglich. In der Studie wurden Signale für eine klinische Wirksamkeit beobachtet.

Derzeit untersucht Basilea in einer Phase-1/2a-Studie die tägliche orale Gabe von BAL101553 bei erwachsenen Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren. Basierend auf der Eigenschaft von BAL101553, in das Hirngewebe vorzudringen und aufgrund präklinischer Hinweise auf eine Wirksamkeit bei Hirntumoren, beabsichtigt Basilea ausserdem, bis zum Jahresende die orale Studie auf erwachsene Patienten mit Glioblastom zu erweitern. Glioblastom ist die häufigste und aggressivste Form primärer Hirntumore und für Patienten oft mit einer schlechten Prognose verbunden.

Weitere Fortschritte wurden in der Phase-1-Dosiseskalationsstudie mit BAL3833 erzielt, das als potenzielle neue Behandlungsoption für resistente Melanome und andere Krebsarten entwickelt wird.

Fokus im zweiten Halbjahr 2016

Basileas CEO Ronald Scott kommentierte: "Im zweiten Halbjahr 2016 werden wir unsere Aktivitäten hinsichtlich Marktzugang und Erhalt von Arzneimittel-Listungen (Formulary Adoption) für CRESEMBA und Zevtera in wichtigen europäischen Märkten weiter verstärken. Darüber hinaus beabsichtigen wir, weitere Lizenz- und Distributionsvereinbarungen für beide Medikamente abzuschliessen, um so ihr kommerzielles Potenzial in zusätzlichen Regionen voll zu erschliessen. Ausserdem sind wir in Gesprächen mit der FDA hinsichtlich der SPAs für Ceftobiprol mit dem Ziel, die für den potenziellen Erhalt einer US-Marktzulassung notwendigen Phase-3-Studien mit diesem Wirkstoff im ersten Halbjahr 2017 zu initiieren. Des Weiteren fokussieren wir uns darauf, die klinische Entwicklung unserer Onkologie-Medikamentenkandidaten weiter voranzutreiben."

Wesentliche Kennzahlen

<i>(In Mio. CHF, ausser Angaben je Aktie)</i>	H1 2016	H1 2015
Produktumsatz	1.9	-
Umsatz aus Verträgen	27.8	24.4
Umsatz aus Forschungs- und Entwicklungsleistungen	0.0	0.4
Sonstiger Umsatz	0.0	0.2
Umsatz gesamt	29.7	25.0
Kosten für verkaufte Produkte	(3.0)	-
Forschungs- und Entwicklungsaufwand, netto	(24.8)	(31.2)
Vertriebs-, Verwaltungs- und allgemeiner Aufwand	(26.8)	(23.8)
Betriebsaufwand gesamt	(54.6)	(55.0)
Betriebsverlust	(24.8)	(30.0)
Konzernverlust	(27.9)	(30.1)
Netto-Kapitalfluss aus operativer Geschäftstätigkeit	(53.7)	(19.3)
Liquide Mittel und Finanzanlagen	310.9	218.4
Verlust je Aktie, nicht verwässert und verwässert, in CHF	(2.76)	(3.00)

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

Der ungeprüfte verkürzte konsolidierte Zwischenabschluss der Basilea Pharmaceutica AG für das erste Halbjahr 2016 ist auf der Internetseite der Gesellschaft unter <http://interimreport.basilea.com> abrufbar.

Zusammenfassung der Finanzergebnisse

Im ersten Halbjahr 2016 belief sich der Produktumsatz auf CHF 1.9 Mio. (H1 2015: CHF 0 Mio.). Der Umsatz aus Verträgen im ersten Halbjahr 2016 betrug CHF 27.8 Mio. (H1 2015: CHF 24.4 Mio.) inklusive CHF 18.8 Mio. (H1 2015: CHF 18.8 Mio.) im Zusammenhang mit der globalen Vereinbarung bezüglich Toctino® sowie CHF 9.1 Mio. (H1 2015: CHF 5.6 Mio.) im Zusammenhang mit der Lizenzvereinbarung mit Astellas bezüglich Isavuconazol. Der Gesamtumsatz, einschliesslich Produktverkäufe, belief sich im ersten Halbjahr 2016 auf CHF 29.7 Mio. (H1 2015: CHF 25.0 Mio.).

Der Netto-Forschungs- und -Entwicklungsaufwand belief sich auf CHF 24.8 Mio. (H1 2015: CHF 31.2 Mio.) und entstand hauptsächlich im Zusammenhang mit der Phase-1/2a-Entwicklung der Onkologie-Medikamentenkandidaten BAL101553 und BAL3833, den Kosten für die Durchführung eines pädiatrischen Studienprogramms für Ceftribiprol, der Vorbereitung eines pädiatrischen Studienprogramms für Isavuconazol sowie initialen Aktivitäten im Zusammenhang mit der Vorbereitung des Phase-3-Studienprogramms für die USA.

Der Vertriebs-, Verwaltungs- und allgemeine Aufwand belief sich auf CHF 26.8 Mio. (H1 2015: CHF 23.8 Mio.) und entstand hauptsächlich im Zusammenhang mit den kommerziellen Aktivitäten zur Lancierung und Vermarktung von Isavuconazol unter dem Handelsnamen CRESEMBA® in Deutschland, Italien, dem Vereinigten Königreich und Österreich sowie der

Vermarktung von Ceftobiprol unter dem Handelsnamen Zevtera®/Mabelio® in Deutschland, Italien, dem Vereinigten Königreich, Frankreich, Österreich und der Schweiz.

Im ersten Halbjahr 2016 belief sich der Betriebsverlust auf CHF 24.8 Mio., verglichen mit CHF 30.0 Mio. im ersten Halbjahr 2015. Der Konzernverlust belief sich auf CHF 27.9 Mio. (H1 2015: CHF 30.1 Mio.) und der nicht verwässerte und verwässerte Verlust je Aktie auf CHF 2.76 (H1 2015: CHF 3.00).

Der Netto-Kapitalabfluss durch operative Geschäftstätigkeit belief sich im ersten Halbjahr 2016 auf CHF 53.7 Mio. im Vergleich zu CHF 19.3 Mio. im ersten Halbjahr 2015. Der Anstieg ist im Wesentlichen auf die im ersten Halbjahr 2015 von Astellas erhaltene Meilensteinzahlung in Höhe von CHF 30.0 Mio. aufgrund der Erteilung der Marktzulassung für Isavuconazol in den USA zurückzuführen.

Zum 30. Juni 2016 verfügte Basilea über liquide Mittel und Finanzanlagen in Höhe von insgesamt CHF 310.9 Mio., verglichen mit CHF 364.7 Mio. zum 31. Dezember 2015.

Finanzieller Ausblick

Basilea fokussiert sich im Jahresverlauf 2016 weiterhin auf die Lancierung und Etablierung von CRESEMBA® in Deutschland, Italien, dem Vereinigten Königreich und Frankreich, sowie auf die Vermarktung von Zevtera®/Mabelio® in Spitälern in wichtigen europäischen Ländern. Basilea bestätigt ihren bisherigen Ausblick hinsichtlich eines durchschnittlichen Betriebsaufwands von rund CHF 9 - 10 Mio. pro Monat und eines durchschnittlichen Betriebsverlusts von rund CHF 4 - 5 Mio. pro Monat in 2016. Das Unternehmen bleibt bei seiner Guidance für Umsätze aus Produktverkäufen in Höhe von rund CHF 5 Mio. für das Gesamtjahr 2016.

Portfolio-Status

CRESEMBA® (Isavuconazol) – *ein i. v. und oral verabreichbares Antimykotikum gegen invasive Schimmelpilzinfektionen*

Isavuconazol ist ein i. v. und oral verabreichbares Antimykotikum aus der Wirkstoffklasse der Azole und die aktive Wirksubstanz des Prodrugs Isavuconazoniumsulfat. Isavuconazol wurde im März 2015 durch die US-Arzneimittelbehörde Food and Drug Administration (FDA) zur Behandlung von invasiver Aspergillose und invasiver Mukormykose für Patienten ab 18 Jahren zugelassen. Im Oktober 2015 erteilte die Europäische Kommission Isavuconazol die Marktzulassung zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit invasiver Aspergillose sowie von erwachsenen Patienten mit Mukormykose, bei denen eine Behandlung mit dem Wirkstoff Amphotericin B nicht angemessen ist.² Die europäische Marktzulassung ist in allen 28 Mitgliedsstaaten der Europäischen Union (EU) sowie in Island, Liechtenstein und Norwegen, gültig. In den zugelassenen Indikationen besitzt Isavuconazol Orphan-Drug-Status in den USA und Europa. Basilea vermarktet Isavuconazol unter dem Handelsnamen CRESEMBA® in Deutschland, Italien, dem Vereinigten Königreich und Österreich. In den USA wird das Medikament von Basileas Lizenznehmer Astellas Pharma US vermarktet. Ausserhalb der USA und der EU ist Isavuconazol nicht für die kommerzielle Verwendung zugelassen.

Zevtera®/Mabelio® (Ceftobiprol) – *ein i. v. verabreichbares Breitspektrum-Antibiotikum aus der Wirkstoffklasse der Cephalosporine mit bakterizider Wirkung gegenüber bestimmten grampositiven und gramnegativen Erregern, einschliesslich Methicillin-resistenter Staphylococcus aureus (MRSA) und empfindlicher Stämme von Pseudomonas spp.*

Ceftobiprol (europäischer Handelsname: landesabhängig Zevtera® oder Mabelio®) verfügt in 13 europäischen Ländern sowie mehreren Ländern ausserhalb Europas über nationale Zulassungen zur Behandlung von erwachsenen Patienten mit ambulant und im Spital erworbener Lungenentzündung (mit Ausnahme der beatmungsassoziierten Pneumonie).³ Das Medikament ist derzeit in Deutschland, Italien, dem Vereinigten Königreich, Frankreich, Österreich und der Schweiz verfügbar. Im Oktober 2015 hat Basilea für Zevtera® eine exklusive Vertriebs- und

Liefervereinbarung mit Hikma Pharmaceuticals LLC für den Nahen Osten und Nordafrika (MENA-Region) abgeschlossen. Ceftobiprol hat in den USA keine Marktzulassung. Die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA erteilte Ceftobiprol den Status eines Qualified Infectious Disease Product (QIDP) zur potenziellen Behandlung ambulant erworbener bakterieller Lungenentzündung und akuter bakterieller Haut- und Weichteilinfektionen. Im April 2016 unterzeichnete Basilea einen Vertrag mit der US Biomedical Advanced Research and Development Authority (BARDA), über eine initiale Unterstützung der Phase-3-Entwicklung von Ceftobiprol in Höhe von rund USD 20 Mio. Ziel ist, eine Marktzulassung in den USA zu erhalten. Bei Erreichen bestimmter, vorab definierter Meilensteine könnte der Gesamtwert des Vertrags USD 100 Mio. erreichen, die über einen Zeitraum von 4.5 Jahren zur Verfügung gestellt werden könnten.¹

BAL101553 – *ein Tumor-Checkpoint-Controller, der sich derzeit in Phase 1/2a der klinischen Entwicklung mit Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren befindet*

BAL101553 ist ein niedermolekularer Onkologie-Medikamentenkandidat, der für die potenzielle Behandlung unterschiedlicher Krebserkrankungen entwickelt wird, darunter Tumorarten, die auf Standardtherapeutika nicht ansprechen. Die Substanz ist das Prodrug des Wirkstoffs BAL27862. Sie befindet sich derzeit in Phase 1/2a der klinischen Entwicklung und wird dabei als einmal tägliche orale Gabe bei Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren erprobt. In einer Phase-1/2a-Studie mit einmal wöchentlicher zweistündiger intravenöser Gabe zeigten sich Signale für eine klinische Antitumor-Aktivität. Darüber hinaus wurden in dieser Studie die maximale verträgliche Dosis und die empfohlene Phase-2-Dosis für diese Darreichungsform ermittelt.

BAL3833 – *ein oral verabreichbarer Medikamentenkandidat für die Krebstherapie (panRAF/SRC-Kinase-Inhibitor) in Phase 1 der klinischen Entwicklung, der sich gegen Tumorwachstum und Therapieresistenzen richtet*

BAL3833 (auch bekannt als CCT3833) ist ein oraler niedermolekularer panRAF/SRC-Kinase-Inhibitor, der sich gegen bestimmte mit Tumorwachstum assoziierte Signalwege der Zellproliferation sowie Resistenzen gegenüber derzeitigen Behandlungsoptionen richtet. Er ist Leitsubstanz einer Gruppe von Kinase-Inhibitoren, die Basilea im April 2015 im Rahmen einer Vereinbarung mit dem Institute of Cancer Research, London, Cancer Research Technology, dem Wellcome Trust, sowie der Universität Manchester einlizenziert hat. BAL3833 wird derzeit in einer klinischen Phase-1-Studie bei erwachsenen Patienten mit fortgeschrittenen soliden Tumoren untersucht, einschliesslich metastasierenden Melanomen. Der Wirkstoff wurde ursprünglich von Wissenschaftlern am Institute of Cancer Research und dem Cancer Research UK Manchester Institute entwickelt, die von Cancer Research UK und dem Wellcome Trust finanziert wurden.

Telefonkonferenz

Basilea Pharmaceutica AG lädt am heutigen Montag, 15. August 2016, 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 übrige Länder)
- +1 (1) 631 570 5613 (USA)
- +44 (0) 203 059 5862 (Vereinigtes Königreich)

Eine Aufzeichnung wird eine Stunde nach der Telefonkonferenz zur Verfügung gestellt und kann bis Mittwoch, 17. August 2016, um 18:00 Uhr (MESZ) abgerufen werden.

Teilnehmer, die sich die Aufzeichnung anhören möchten, wählen:

+41 (0) 91 612 4330 (Europa und übrige Länder)

+1 (1) 866 416 2558 (USA)

+44 (0) 207 108 6233 (Vereinigtes Königreich)

und werden gebeten, die ID 15275 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.

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:

Peer Nils Schröder, PhD Head of Corporate Communications & Investor Relations +41 61 606 1102 media_relations@basilea.com investor_relations@basilea.com

Diese Pressemitteilung ist unter www.basilea.com abrufbar.

Quellenangaben

- 1 Vertrag Nr. HHSO100201600002C, Biomedical Advanced Research and Development Authority (BARDA), eine Abteilung des Office of the Assistant Secretary for Preparedness and Response im US-Gesundheitsministerium (Department of Health and Human Services)
- 2 Europäischer Public Assessment Report CRESEMBA® <http://www.ema.europa.eu>
[Zugriff am 11. August 2016]
- 3 Summary of Product Characteristics (SPC), Vereinigtes Königreich: <http://www.mhra.gov.uk/>
[Zugriff am 11. August 2016]