

## PRESSEMITTEILUNG

# Basilea gibt Halbjahreszahlen 2014 bekannt – Markteinführung von Ceftobiprol in Deutschland im zweiten Halbjahr 2014 geplant

- Solider operativer und finanzieller Leistungsausweis
- Einreichung von Isavuconazol-Zulassungsanträgen in Europa durch Basilea und in den USA durch Astellas Pharma Inc.
- Erhalt der vollständigen Rechte an Isavuconazol ausserhalb der USA und Kanada
- CHF 246 Mio. liquide Mittel und kurzfristige Finanzanlagen

**Basel, 14. August 2014** – Basilea Pharmaceutica AG (SIX: BSLN) gab heute ihre Finanzergebnisse für das erste Halbjahr 2014 bekannt. Zum Ende des ersten Halbjahrs verfügte sie über eine solide Liquiditätsposition von CHF 245.9 Mio.

Im ersten Teil des Jahres 2014 hat Basilea wesentliche Meilensteine erreicht. Im Juli 2014 reichte Basilea einen europäischen Zulassungsantrag (*Marketing Authorization Application, MAA*) für Isavuconazol zur Behandlung der schweren Pilzinfektionen invasive Aspergillose und Mucormykose ein, während ihr Entwicklungspartner Astellas Pharma Inc. einen US-amerikanischen Zulassungsantrag (*New Drug Application, NDA*) einreichte. Basilea hat Anspruch auf eine Meilensteinzahlung durch Astellas, wenn die US-amerikanische Arzneimittelbehörde FDA (*Food and Drug Administration*) den Zulassungsantrag zur Prüfung annimmt. Unter Berücksichtigung des *Qualified Infectious Disease Product (QIDP)* Status für Isavuconazol und der damit verbundenen beschleunigten Bearbeitung von Zulassungsanträgen (*Priority Review*) könnte die FDA die Prüfung des Antrags bis zum zweiten Quartal 2015 abschliessen. Die Begutachtung des europäischen Zulassungsantrags könnte bis zum vierten Quartal 2015 abgeschlossen werden.

Im Juli 2014 unterzeichnete Basilea einen Vertrag mit Quintiles über den Vertrieb von Zevtera®/Mabelio® (Ceftobiprolmedocartil) zur Behandlung von Patienten mit im Spital oder ambulant erworbener Lungenentzündung in wichtigen europäischen Ländern. Basileas Breitspektrum-Antibiotikum deckt grampositive und gramnegative Krankheitserreger ab, wie beispielsweise Methicillin-resistente *Staphylococcus aureus* (MRSA) und *Pseudomonas* spp.

„Basilea hat wichtige Meilensteine des Jahres zeitgerecht erreicht. So haben wir in Europa und unser Partner Astellas in den USA Zulassungsanträge für Isavuconazol zur Behandlung invasiver Aspergillose und Mucormykose eingereicht. Darüber hinaus haben wir in wichtigen europäischen Märkten bedeutende Fortschritte bei den länderspezifischen Verhandlungen über Preise und Kostenerstattungen für Zevtera/Mabelio erzielt und einen Vertrag mit einem Vertriebsdienstleister abgeschlossen. Im zweiten Halbjahr erwarten wir die Markteinführung von Zevtera in Deutschland, gefolgt von Einführungen in weiteren wichtigen europäischen Märkten im Jahr 2015“, so Ronald Scott, Basileas CEO. „Sollte Isavuconazol nächstes Jahr zugelassen werden, könnte Basilea zusammen mit Zevtera/Mabelio bis Ende 2015 über zwei in Europa zugelassene Spital-Anti-Infektiva verfügen. Daraus würden sich für das Unternehmen bedeutende kommerzielle Synergien ergeben, und Basileas Position stärken, den Wert beider Medikamente zu optimieren.“

Prof. Achim Kaufhold, Basileas Chief Medical Officer kommentierte: „Wir sind sehr erfreut über die Fortschritte, die wir in unserer klinischen Pipeline erzielt haben. Nach dem erfolgreichen Abschluss der Phase-1-Studie mit unserem Mikrotubuli-angreifenden Krebsmedikamentenkandidaten BAL101553 haben wir zügig eine Phase-2a-Studie initiiert, in der Patienten mit soliden Tumoren untersucht werden, die auf gängige Therapien nicht mehr ansprechen. Darüber hinaus haben wir eine Phase-1-Studie mit unserem gramnegativen Antibiotikum BAL30072 in Kombination mit Meropenem begonnen. Für die Kombination von BAL30072 und Meropenem ist eine synergistische oder additive Wirkung gegen viele klinisch relevante, multiresistente gramnegative Krankheitserreger gezeigt worden, gegen die es derzeit keine oder nur wenige Behandlungsmöglichkeiten gibt. Die Finanzierung dieses Programms erfolgt im Rahmen eines Vertrags mit der US-amerikanischen *Biomedical Advanced Research and Development Authority*, BARDA.“

### Wesentliche Kennzahlen

| (In Mio. CHF, ausser Angaben je Aktie)                    | H1 2014 | H1 2013 |
|---|---------|---------|
| Umsatz aus Verträgen                                      | 20.2    | 20.4    |
| Umsatz aus Forschungs- und Entwicklungsdienstleistungen   | 0.1     | 0.1     |
| Sonstiger Ertrag  | 0.0     | 0.1     |
| Betriebsertrag gesamt                                     | 20.3    | 20.6    |
| Forschungs- und Entwicklungsaufwand                       | (27.5)  | (26.7)  |
| Verwaltungs- und allgemeiner Aufwand                      | (12.3)  | (11.3)  |
| Betriebsaufwand gesamt                                    | (39.8)  | (38.0)  |
| Betriebsverlust   | (19.5)  | (17.4)  |
| Konzernverlust  | (19.4)  | (17.3)  |
| Netto-Kapitalfluss aus operativer Geschäftstätigkeit      | (44.9)  | (33.7)  |
| Liquide Mittel und kurzfristige Finanzanlagen             | 245.9   | 262.8   |
| Verlust je Aktie, nicht verwässert und verwässert, in CHF | (1.87)  | (1.80)  |

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

Der ungeprüfte verkürzte konsolidierte Zwischenabschluss der Basilea Pharmaceutica AG für das erste Halbjahr 2014 ist auf der Internetseite der Gesellschaft unter <http://interimreport.basilea.com> abrufbar.

### Zusammenfassung der Finanzergebnisse

In den ersten sechs Monaten des Geschäftsjahres 2014 belief sich der Umsatz aus Verträgen auf CHF 20.2 Mio. (H1 2013: CHF 20.4 Mio.), inklusive CHF 18.5 Mio. im Zusammenhang mit der globalen Vereinbarung mit Stiefel bezüglich Toctino® sowie CHF 1.7 Mio. im Zusammenhang mit der Lizenzvereinbarung mit Astellas bezüglich Isavuconazol. Der gesamte Betriebsertrag belief sich im ersten Halbjahr 2014 auf CHF 20.3 Mio. (H1 2013: CHF 20.6 Mio.).

Der Forschungs- und Entwicklungsaufwand belief sich in den ersten sechs Monaten 2014 auf CHF 27.5 Mio., im Vergleich zu CHF 26.7 Mio. in den ersten sechs Monaten 2013.

Verwaltungs- und allgemeiner Aufwand erhöhte sich auf CHF 12.3 Mio. (H1 2013: CHF 11.3 Mio.), primär aufgrund von vorbereitenden Aktivitäten für die Markteinführung von Ceftobiprol.

Im ersten Halbjahr 2014 belief sich der Betriebsverlust auf CHF 19.5 Mio., verglichen mit CHF 17.4 Mio. im ersten Halbjahr 2013. Diese Veränderung ist im Wesentlichen bedingt durch höhere betriebliche Aufwendungen in Bezug auf vorbereitende Aktivitäten zur Vermarktung von Ceftobiprol und die Bereitstellung des Produkts für die Markteinführung. Der Konzernverlust belief sich auf CHF 19.4 Mio. (H1 2013: CHF 17.3 Mio.) und der nicht verwässerte und verwässerte Verlust je Aktie auf CHF 1.87 (H1 2013: CHF 1.80).

Der Netto-Kapitalabfluss durch operative Geschäftstätigkeit belief sich in den ersten sechs Monaten 2014 auf CHF 44.9 Mio., im Vergleich zu CHF 33.7 Mio. in den ersten sechs Monaten 2013.

Zum 30. Juni 2014 verfügte Basilea über liquide Mittel und kurzfristige Finanzanlagen in Höhe von insgesamt CHF 245.9 Mio., verglichen mit CHF 262.8 Mio. zum 30. Juni 2013.

## Finanzieller Ausblick

Basilea bestätigt den unveränderten finanziellen Ausblick für 2014: Erwartet wird ein Betriebsaufwand von insgesamt durchschnittlich CHF 8 bis 9 Mio. pro Monat und ein Betriebsverlust von durchschnittlich CHF 4 bis 5 Mio. pro Monat.

## Pipeline-Update

**Zevtera®/Mabelio® (Ceftobiprolmedocartil)** – ein bakterienabtötendes, intravenös verabreichbares Cephalosporin-Breitspektrum-Antibiotikum, das grampositive und gramnegative Krankheitserreger abdeckt, wie beispielsweise MRSA und *Pseudomonas spp.*, häufige Erreger<sup>1</sup> von im Spital erworbener Lungenentzündung. Es ist in bestimmten europäischen Ländern<sup>2</sup> zur Behandlung von Erwachsenen mit im Spital erworbener Lungenentzündung (mit Ausnahme der beatmungsassoziierten Pneumonie) und ambulant erworbener Lungenentzündung zugelassen. Ein in der Schweiz eingereichter Zulassungsantrag wird derzeit von den Gesundheitsbehörden geprüft

Auf der Fachveranstaltung *European Congress of Clinical Microbiology and Infectious Diseases (ECCMID)* wurden im Mai 2014 weitere, post-hoc durchgeführte Analysen der Phase-3-Daten vorgestellt. Diese zeigen, dass Patienten mit im Spital oder ambulant erworbener Pneumonie, die mit Ceftobiprol behandelt wurden, schneller auf die Behandlung ansprachen als Patienten, welche die Vergleichstherapie erhielten.<sup>3, 4</sup>

**Isavuconazol** – ein in der Entwicklung befindliches, einmal täglich zu verabreichendes und sowohl in intravenöser als auch oraler Darreichungsform verfügbares Breitspektrum-Antimykotikum zur potenziellen Behandlung invasiver, lebensbedrohlicher Pilzinfektionen

Im ersten Halbjahr 2014 erhielt Isavuconazol von der US-amerikanischen FDA den Status eines *Qualified Infectious Disease Product (QIDP)* für die Behandlung invasiver Mucormykose und invasiver Candidiasis. Bereits im letzten Jahr hatte der Wirkstoff den QIDP-Status für invasive Aspergillose erhalten. Mit dem QIDP-Status sind die beschleunigte Bearbeitung von Zulassungsanträgen (*Priority Review*) und im Fall des Erhalts der US-Zulassung eine fünfjährige Verlängerung der Marktexklusivität in den Vereinigten Staaten verbunden.

Im Juli 2014 erteilte die Europäische Kommission Isavuconazol den *Orphan-Drug-Status* zur Behandlung von invasiver Aspergillose und Mucormykose. Dieser gewährt eine zehnjährige Marktexklusivität unabhängig vom bestehenden Patentschutz, vorausgesetzt, das Medikament erhält eine Zulassung in der Europäischen Union. In den USA erhielt Isavuconazol 2013 den *Orphan-Drug-Status* zur Behandlung von invasiver Aspergillose und Mucormykose.

**BAL30072** – ein in der Entwicklung befindliches, intravenös verabreichbares Monosulfaktam-Antibiotikum mit bakterienabtötender Wirkung gegenüber multiresistenten gramnegativen Erregern

Im Juni 2014 begann Basilea eine klinische Phase-1-Studie, in der die Sicherheit und Verträglichkeit sowie Pharmakokinetik ansteigender Mehrfachdosierungen von intravenös verabreichtem BAL30072 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 des Vertrags mit der US-amerikanischen *Biomedical Advanced Research and Development Authority* (BARDA) durchgeführt, einer Abteilung des US-Gesundheitsministeriums (*Department of Health and Human Services*). Gemäss der im Juni 2013 abgeschlossenen Vereinbarung wird BARDA über eine erste Laufzeit von 22 Monaten etwa USD 17 Mio. und über die Gesamtlaufzeit von sechs Jahren bis zu USD 89 Mio. zur Verfügung stellen.

**BAL101553** – ein in der Entwicklung befindlicher, niedermolekularer Mikrotubuli-angreifender Antitumorwirkstoff, der intravenös oder oral gegeben werden könnte. Die derzeit verfügbaren Phase-1-Studiendaten liefern Hinweise auf eine duale Antitumorwirkung durch Einleitung des Absterbens von Tumorzellen sowie Unterbrechung der Tumor-Blutversorgung.<sup>6</sup>

Präklinische, auf der Jahreskonferenz der *American Association of Cancer Research* (AACR) im April 2014 präsentierte Daten zeigten die Wirksamkeit von BAL101553 in Modellen für Brustkrebs beim Menschen.<sup>7</sup>

Auf der Jahreskonferenz der *American Society of Clinical Oncology* (ASCO) wurden im Juni 2014 Ergebnisse einer Phase-1-Studie mit intravenös gegebenem BAL101553 präsentiert, in der unter anderem die maximal verträgliche Dosis bestimmt wurde. Darüber hinaus lieferte sie erste klinische Belege für einen Antitumoreffekt des Wirkstoffs. Von 21 auswertbaren Patienten zeigte einer ein partielles Ansprechen auf die Behandlung für einen Zeitraum von mehr als zwei Jahren. Bei fünf weiteren Patienten kam es zu einer Stabilisierung der Tumorerkrankung. Darüber hinaus zeigte ein Vergleich von Tumorbiopsien vor und nach Behandlung, dass BAL101553 einen Effekt auf die Tumorzellvermehrung und Tumolvaskularisierung hatte.<sup>6</sup>

Im Juli 2014 wurde eine Phase-2a-Studie initiiert, in der die Sicherheit und Verträglichkeit von zwei unterschiedlich hohen Dosierungen von BAL101553 bei erwachsenen Patienten mit verschiedenen 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 zugelassene Medikament für die systemische Behandlung von Erwachsenen mit schwerem chronischem Handekzem, das nicht auf topische Kortikosteroide anspricht. In den USA ist orales Alitretinoin ein Entwicklungspräparat in Phase 3 und bisher nicht durch die FDA zugelassen

Im Juli 2012 wurde das Toctino®-Geschäft zu Stiefel, einem Unternehmen der GSK-Gruppe, transferiert. Stiefel plant im vierten Quartal 2014 einen Zulassungsantrag (*New Drug Application*) für Alitretinoin zur Behandlung des schweren chronischen Handekzems bei der US-amerikanischen FDA einzureichen. Basilea hat Anrecht 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 Donnerstag, dem 14. August 2014 um 16:00 Uhr (MESZ) 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 Samstag, den 16. August 2014 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 10426 gefolgt vom # Zeichen einzugeben.

## Über Basilea

Basilea Pharmaceutica AG hat ihren Hauptsitz in Basel, Schweiz, und ist an der Schweizer Börse SIX Swiss Exchange kotiert (SIX: BSLN). Mittels der integrierten Forschungs- und Entwicklungsaktivitäten ihrer schweizerischen Tochtergesellschaft Basilea Pharmaceutica International AG konzentriert sich die Gesellschaft auf innovative Medikamente zur Behandlung von bakteriellen Infektionen, Pilzinfektionen und Krebs. Dabei nimmt sich Basilea der medizinischen Herausforderung an, Lösungen gegen die zunehmende Ausbildung von Resistenzen und das Nicht-Ansprechen auf bisherige Therapieformen zu finden.

## 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<br>Head Public Relations &<br>Corporate Communications<br>+41 61 606 1102<br>media_relations@basilea.com | Barbara Zink, PhD, MBA<br>Head Corporate Development<br><br>+41 61 606 1233<br>investor_relations@basilea.com |

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

## Quellenangaben

- 1 R. N. Jones. Microbial etiologies of hospital-acquired bacterial pneumonia and ventilator-associated bacterial pneumonia. *Clinical Infectious Diseases* 2010 (51), S81-S87
- 2 In Anschluss an die Zulassung in Europa im Rahmen des sogenannten dezentralisierten Verfahrens erhielt Ceftobiprol nationale Zulassungen in Belgien, Dänemark, Deutschland, Finnland, Frankreich, Norwegen, Österreich, Spanien, Schweden und dem Vereinigten Königreich; in Italien und Luxemburg läuft derzeit

noch die Erteilung der nationalen Zulassungen sowie in einigen Ländern, einschliesslich Spanien, das Verfahren zur Kostenerstattung und Preissetzung

- 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, presentation 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
- 7 F. Bachmann et al. BAL101553 (prodrug of BAL27862): A unique microtubule destabilizer active against drug refractory breast cancers alone and in combination with trastuzumab. American Association for Cancer Research (AACR) Annual Meeting 2014, abstract 831