



**Santhera Pharmaceuticals(USA), Inc.**  
40 Warren Street, 3<sup>e</sup> Étage  
Charlestown, MA 02129  
Téléphone (617) 886 -5161

[www.santhera.com](http://www.santhera.com)

22 mai 2009

À qui de droit:

Dans son engagement continu de trouver des nouveaux traitements pour l'Ataxie de Friedreich et d'autres maladies neuromusculaires rares, Santhera conduit présentement des études cliniques afin d'évaluer son produit CATENA<sup>®</sup>, un traitement présentement disponible sous autorisation conditionnelle au Canada pour le traitement de l'Ataxie de Friedreich. Nous avons récemment reçu les résultats préliminaires de l'étude clinique de Phase III de CATENA conduite aux États-Unis, IONIA («Idebene effects On Neurological ICARS Assessments») qui évaluait le changement dans l'échelle neurologique ICARS (« International Cooperative Ataxia Rating Scale »).

Les résultats de première ligne de l'étude IONIA démontrent que le critère d'évaluation primaire (amélioration d'ICARS) n'a pas changé de façon statistiquement significative. En ce qui à trait à l'innocuité de CATENA, aucun nouveau signal concernant l'innocuité ou la tolérabilité n'a été observé.

Dans cette étude de 6 mois chez 70 patients, les bras de traitements actifs ont démontré de façon répétée des scores ICARS inférieures (un score ICARS plus élevée indique une plus grande sévérité du déficit neurologique) à celle de la ligne de base et du placebo. Notre impression initiale des données indique que, dû à une taille d'effet moindre qu'attendu et dû aux résultats surprenants dans le groupe placebo qui démontraient une amélioration des paramètres clés plutôt que la détérioration typique observée lors des deux études précédentes et dans l'histoire naturelle de la maladie, la différence entre les patients traités avec idébénone et les patients sur placebo n'était pas statistiquement significative. Nous faisons une analyse complète des données afin de déterminer l'explication pour ce résultat inhabituel.

Entretemps, nous attendons les résultats de notre étude Européenne de Phase III présentement en cours (MICONOS), qui est une étude de plus longue durée (12 mois) et qui comprend un nombre de patients significativement plus grand (232). Nous prévoyons que ces données soient disponibles au début de 2010.

CATENA a une autorisation de mise en marché conditionnelle de Santé Canada fondée sur une étude de phase II. Cette autorisation de mise en marché conditionnelle a permis aux patients d'avoir accès au CATENA pendant l'attente des résultats d'une étude confirmatoire.

Les résultats de l'étude seront revus par Santé Canada afin de déterminer la meilleure façon d'aller de l'avant. Entretemps, CATENA continuera à être disponible pour les patients qui sont déjà sur le traitement ainsi que pour ceux qui obtiennent une nouvelle prescription pour CATENA. Les patients qui recevront une nouvelle prescription pour CATENA devront appeler notre Programme de Soutien CATENA au 866-270-1733 pour toutes questions concernant l'obtention du CATENA ainsi que pour l'assistance pour le remboursement

Nous continuerons à être en contact avec vous au fur et à mesure que de nouvelles informations deviennent disponibles. Entretemps, n'hésitez pas à me contacter si vous avez des questions reliés au CATENA.

Cordialement,

A handwritten signature in dark ink, reading "William T. Andrews". The signature is written in a cursive style with a long horizontal flourish extending to the right.

William T. Andrews, MD, FACP  
Vice Président, Affaires Médicales