

ACTELION - DAS UNTERNEHMEN

Actelion ist ein führendes biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Erforschung, Entwicklung und Kommerzialisierung von innovativen Arzneimitteln für Krankheiten mit hohem medizinischem Bedarf konzentriert. Der Hauptsitz des Unternehmens befindet sich im schweizerischen Allschwil bei Basel; dort wurde das Unternehmen 1997 gegründet und ist seit dem Jahr 2000 an der Schweizer Börse SIX Swiss Exchange kotiert (Tickersymbol ALTN). Seit September 2008 werden die Aktien von Actelion im Rahmen des Blue-Chip-Index SMI® (Swiss Market Index) gehandelt.

Das Unternehmen hat unter Beweis gestellt, dass es über die Fähigkeit verfügt, neuartige Moleküle zu entdecken und diese rasch von der Forschung über die Entwicklung bis hin zur Marktreife zu bringen. Wissenschaftler von Actelion gehören zu den Pionieren in der Erforschung von PAH-Therapien wie den Endothelin-Rezeptor-Antagonisten (ERA) Tracleer® und Opsumit® sowie dem neuen IP-Rezeptor-Agonisten Uptravi®.

Actelion hat operative Niederlassungen in mehr als 30 Ländern; hierzu zählen die USA, Kanada, Brasilien, Australien, Japan, die Schweiz und eine Reihe von EU-Ländern. Diese Niederlassungen sind für den Vertrieb, den Verkauf und das Marketing unserer Produkte zuständig.

INHALTSVERZEICHNIS

- Übersicht über das Finanzergebnis
- Mitarbeitende
- Unternehmensstrategie
- Produkte im Markt
- Unser Spezialitätenportfolio
- Klinische Entwicklung
- Forschung
- Entwicklungspipeline
- Partnerschaften
- Meilensteine von Actelion

ÜBERSICHT ÜBER DAS FINANZERGEBNIS

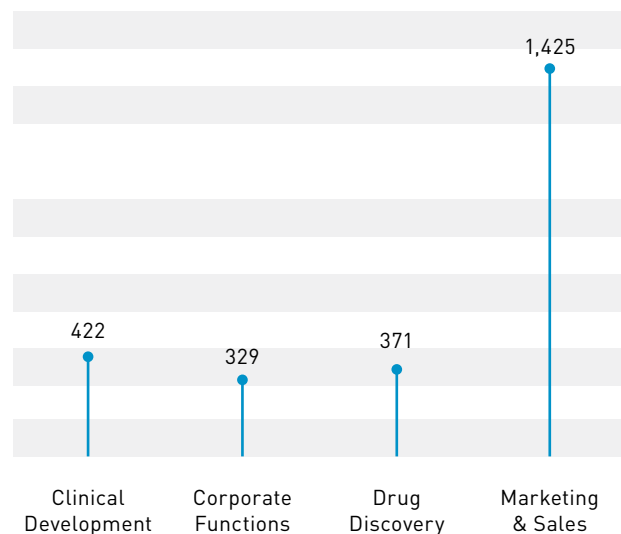
In CHF millions (ausser Angaben zur Aktie)	Q1 2016	Q1 2015	% Veränderung in CHF	% Veränderung zu kWk*
Produktumsatz	589	515	14	11
Kernaufwand	341	297	15	13
Kerngewinn	249	218	14	8
Kerngewinn pro Aktie (vollständig verwässert)	1.98	1.61	23	17
Gewinn pro Aktie gemäss US GAAP (vollständig verwässert)	1.64	1.38	19	11
Anzahl der in die Berechnung eingegangener Aktien (Mio.)	108.9	115.3	-	-

Informationen zur Aktie Börsengang (IPO): 6. April 2000. Notierung: Schweizer Börse SIX (ATLN), Zürich, Schweiz. Handelssymbole: Reuters ATLN.S, Bloomberg ATLN
Die vollständige Konzernrechnung finden Sie unter: <http://www.actelion.com>

*Konstante Wechselkurse.

MITARBEITENDE

Mitarbeitende der Actelion Gruppe Total: 2,547
(Festangestellte Mitarbeitende)
(Dezember 2015)



UNTERNEHMENSSTRATEGIE

Seit seiner Gründung vor mehr als 15 Jahren hat sich Actelion zu einem biopharmazeutischen Unternehmen neuen Stils entwickelt: es vereint die Innovationskraft, Geschwindigkeit und Flexibilität eines Biotechnologie-Unternehmens mit der operativen Kompetenz eines pharmazeutischen Grossunternehmens. Überzeugt davon, dass Innovation auf allen Gebieten der Schlüssel zu anhaltendem Wachstum ist, hat Actelion eine vielversprechende Pipeline aufgebaut und bereits sechs Medikamente eingeführt. Das Unternehmen verfügt über Vertriebsorganisationen in über 30 Ländern. Unsere mehr als 2500 Mitarbeitenden fühlen sich einem gemeinsamen Ziel verpflichtet: das Leben von Patienten durch neuartige Medikamente zu verbessern, die einen echten Fortschritt der Behandlungsmöglichkeiten bedeuten.

WACHSTUM FÖRDERN Unsere Strategie ist auf vier Grundsätzen aufgebaut:

- **Innovationen voranbringen.** Bei der Verfolgung interner und externer Forschungsprojekte legen wir einen hohen Qualitätsmassstab an und berücksichtigen dabei den medizinischen Bedarf und den kommerziellen Aufwand.
- **Den Wert von Innovationen steigern.** Wir verfolgen unsere eigenen Projekte und gehen im Interesse der Wertsteigerung bei Bedarf Partnerschaften oder Lizenzvereinbarungen ein.
- **Unsere globale Präsenz nutzen.** Wir nutzen innovative Verkaufsstrategien, um neue Kundensegmente und regionale Märkte zu erschliessen. In der Zusammenarbeit mit Partnern steht das Produkt an erster Stelle.
- **Höchsten Qualitätsstandards verpflichtet.** Qualität ist unser Massstab und für alle Unternehmensfunktionen gleichermassen bindend.

PRODUKTE IM MARKT

Unser PAH-Portfolio

Pulmonale arterielle Hypertonie (PAH) ist eine chronische, lebensbedrohliche Erkrankung, die durch abnorm hohen Blutdruck in den Arterien zwischen Herz und Lunge der betroffenen Patienten gekennzeichnet ist.

Das PAH-Portfolio von Actelion umfasst Formulierungen zur Einnahme, Inhalation und intravenösen Applikation für Patienten in verschiedenen Erkrankungsstadien (PAH-Funktionsklassen II-IV) und deckt damit das gesamte Behandlungsspektrum auf dem Gebiet der PAH ab.

Opsumit®

Opsumit® (Macitentan) ist ein oral verfügbarer Endothelin-Rezeptor-Antagonist (ERA), der im Rahmen eines zielgerichteten Entdeckungsprozesses in den Labors von Actelion entwickelt wurde.

Opsumit ist in über 35 Märkten kommerziell verfügbar, einschliesslich den USA (seit November 2013, Deutschland (seit Januar 2014) und Japan (seit Juni 2015). Der Registrierungsprozess in weiteren Ländern läuft.



Tracleer®

Tracleer® (Bosentan), ein oral verfügbarer Endothelin-Rezeptor-Antagonist, war die erste für die Behandlung von PAH zugelassene orale Therapie.



Tracleer ist in über 60 Ländern zugelassen, einschliesslich den USA (seit November 2001), der Europäischen Union (seit Mai 2002) und Japan (seit April 2005).

Neben der Indikation für PAH ist Tracleer in der EU für die Verminderung der Anzahl neuer digitaler Ulzerationen bei Patienten mit systemischer Sklerose (Sklerodermie) zugelassen, die an digitalen Ulzerationen leiden.

Uptravi®

Uptravi® (Selexipag), ursprünglich entdeckt und synthetisiert von Nippon Shinyaku, ist der einzige zur Behandlung der pulmonalen arteriellen Hypertonie zugelassene oral aktive, selektive IP-Rezeptor-Agonist, der auf den Prostazyklin-Signalweg abzielt.



Uptravi ist kommerziell in den USA verfügbar (seit Januar 2016). Die Prüfung der Registrierungs dossiers bei weiteren Gesundheitsbehörden weltweit läuft.

Veletri®

Veletri® (Epoprostenol zur Injektion), ein intravenös zu verabreichendes Prostazyklin, ist bei Raumtemperatur (77°F, 25°C) für 24 Stunden stabil, so dass die Patienten keine Kühlelemente bei sich tragen müssen.



Veletri ist kommerziell in 15 Märkten verfügbar, einschliesslich den USA (seit 2010), der Schweiz und Kanada (unter dem Handelsnamen Caripul®) seit 2012 sowie Japan (unter der Bezeichnung Epoprostenol „ACT“) sowie einigen europäischen Märkten seit 2013. Der Registrierungsprozess für weitere Länder läuft.

Ventavis®

Ventavis® (Iloprost) ist eine Formulierung von Iloprost zur Inhalation. Es handelt sich um eine synthetische Verbindung, die strukturelle Ähnlichkeiten mit Prostazyklin (PGI2) aufweist. Ventavis wird von Actelion in den USA (seit 2007) und von Bayer Healthcare in allen anderen Märkten vertrieben.



More information on our products can be found in Actelion's Marketed Products fact sheet.

Unser Spezialitätenportfolio

Neben seinem PAH-Geschäft baut Actelion durch seine eigene Forschung und Entwicklung oder durch Einlizenzierungen bzw. Akquisition von Produkten in neuen Therapiegebieten ein Spezialitätenportfolio auf.

Valchlor®

Valchlor™ (Mechlorethamin) Gel 0,016% wird einmal täglich topisch angewendet und auf betroffene Hautstellen aufgebracht. Valchlor ist gegenwärtig nur in den USA erhältlich und für die topische Behandlung von Patienten mit kutanem T-Zell-Lymphom (MF-CTCL) des Typs Mycosis fungoides im Stadium IA und IB mit vorangegangener topischer Hauttherapie zugelassen.



Valchlor ist kommerziell in den USA (seit November 2013) und Israel (seit April 2016) verfügbar.

Zavesca®

Zavesca® Miglustat), als orale Kapsel verfügbar, ist ein Wirkstoff, der die Bildung von Glukosylzeramid hemmt. Zavesca ist in 47 Ländern als Monotherapie für die Behandlung von leichter bis mittelschwerer Typ-1-Gaucher-Krankheit bei erwachsenen Patienten zugelassen, für die eine Enzymersatztherapie keine therapeutische Option darstellt. Zavesca ist für die Behandlung der Niemann-Pick-Krankheit Typ C in 45 Ländern zugelassen, einschliesslich den USA, der Europäischen Union (seit 2009) und Japan (Handelsbezeichnung Brazaves®) seit 2012.



Weitergehende Informationen über unsere Produkte können dem Informationsblatt „Actelions Produkte auf dem Markt“ entnommen werden.

KLINISCHE ENTWICKLUNG

In der vielversprechenden Entwicklungspipeline von Actelion befinden sich innovative Substanzen für sehr unterschiedliche Krankheitsgebiete wie Herz-Kreislauf-Erkrankungen, Erkrankungen des Immunsystems, aber auch Störungen des zentralen Nervensystems und Infektionskrankheiten.

Zu den fortgeschrittenen Produktkandidaten zählen Cadazolid, ein neuartiges Antibiotikum, das für die Therapie von *Clostridium difficile*-assoziierter Diarrhoe (CDAD) geprüft wird, sowie Ponesimod, ein S1P1-Rezeptormodulator, dessen Anwendung bei Multipler Sklerose untersucht wird.

Weiterführende Informationen zu diesen und anderen Entwicklungskandidaten sind dem Informationsblatt „Klinische Entwicklung bei Actelion“ zu entnehmen.

FORSCHUNG

Im Rahmen der Erforschung neuer Wirkstoffe konzentriert sich Actelion auf Design, Synthese und Optimierung von Molekülen mit geringem Molekulargewicht, die für ausgewählte molekulare Targets wirksam sind. Dieser Fokus erlaubt eine hohe Produktivität bei der Generierung innovativer Wirkstoffe, die sich für ein breites Spektrum von Krankheiten mit hohem medizinischen Bedarf eignen könnten.

Anfangs befasste sich das Unternehmen ausschliesslich mit G-Protein-gekoppelten Rezeptoren (GPCRs) und einer spezifischen Enzymfamilie, den Aspartylproteasen. Mit dem wachsenden Erfahrungsschatz des Unternehmens kamen schrittweise weitere Zielbereiche wie Antiinfektiva, Ionenkanäle und zahlreiche lösliche Enzyme hinzu.

Weitergehende Informationen über unsere Expertise-Plattformen können dem Informationsblatt „Arzneimittelforschung bei Actelion“ entnommen werden.

ENTWICKLUNGSPIPELINE VON ACTELION – AUSRICHTUNG AUF HOHEN MEDIZINISCHEN BEDARF

	Substanz	Indikation	Studie	Status
Registrierung	Selexipag	PAH	GRIPHON	Zulassungsanträge laufen
Phase III	Cadazolid	<i>Clostridium difficile</i> -assoziierte Diarrhoe	IMPACT	läuft
	Macitentan	Eisenmenger-Syndrom	MAESTRO	läuft
	Ponesimod	Multiple Sklerose	OPTIMUM	läuft
Phase II	Clazosentan	Lösung von Gefäßspasmen im Zusammenhang mit aneurysmatischen Subarachnoidalblutungen	REVERSE	läuft
	Endothelin-Rezeptor-Antagonist	Spezielle Herz-Kreislauf-Erkrankungen	-	in Vorbereitung
	Macitentan	Chronische thromboembolische pulmonale Hypertonie	MERIT	läuft
	Macitentan	Kombinierte prä- and postkapilläre pulmonale Hypertonie	MELODY	abgeschlossen
	Ponesimod	Graft-versus-Host-Erkrankung	-	läuft
	Cenerimod	Systemischer Lupus Erythematoses	-	läuft
Phase Ib	Lucerastat	Fabry-Krankheit	-	abgeschlossen
Phase I	NCE	Neurologische Erkrankungen	-	abgeschlossen
	NCE	Neurologische Erkrankungen	-	läuft
	NCE	Neurologische Erkrankungen	-	läuft
	NCE	Herz-Kreislauf-Erkrankungen	-	läuft

PARTNERSCHAFTEN VON ACTELION

Bei Actelion befasst sich ein engagiertes Team mit der Identifizierung externer innovativer Projekte, die in unser Geschäftskonzept passen. Sobald ein Projekt ausgewählt wird, setzt Actelion alles daran, es rasch und transparent zum Nutzen beider Parteien umzusetzen und dem gemeinsamen Projekt zum globalen Erfolg zu verhelfen.

Actelion/Nippon Shinyaku - Allianz

Actelion und Nippon Shinyaku vereinbarten im April 2008 eine exklusive weltweite Zusammenarbeit im Hinblick auf Selexipag, den ersten selektiven, oral anwendbaren Prostazyklin-IP-Rezeptor-Agonisten für Patienten mit pulmonaler arterieller Hypertonie (PAH). Dieser Wirkstoff war ursprünglich von Nippon Shinyaku entdeckt und synthetisiert worden.

Actelion/Bayer Schering Pharma AG - Allianz

Actelion hält die exklusiven US-Rechte für Iloprost zur Inhalation, das unter der Handelsbezeichnung Ventavis® verkauft wird. Es ist das erste zugelassene inhalative Präparat zur Behandlung von PAH, das im Zusammenhang mit der Akquisition von CoTherix Inc. von Bayer Schering Pharma einlizenziert wurde.

MEILENSTEINE VON ACTELION

- 2015** Uptravi (Selexipag) von der US-amerikanischen FDA für die Behandlung von PAH zugelassen
Gründung von Vaxxilon – gemeinsam mit der Max-Planck-Gesellschaft
Aufnahme des Phase-III-Programms mit Ponesimod bei Patienten mit schubförmiger Multipler Sklerose
- 2014** Erste Zulassungsanträge für Selexipag bei Gesundheitsbehörden eingereicht
Selexipag erreicht primären Endpunkt in der zulassungsrelevanten Phase-III-Outcome-Studie GRIPHON bei Patienten mit pulmonaler arterieller Hypertonie
Opsumit wird in 17 weiteren Ländern zur Behandlung von PAH eingeführt
- 2013** Aufnahme des Phase-III-Programms für Cadazolid bei Patienten mit *Clostridium difficile*-assoziiertes Diarrhoe
Valchlor wird in das US-Spezialitätenportfolio aufgenommen
Veletri wird in Japan als Epoprostenol „ACT“ sowie in einigen EU-Märkten eingeführt
Opsumit erhält Zulassung für PAH in der EU
Opsumit wird in den USA für PAH zugelassen und eingeführt
- 2012** Macitentan erreicht primären Endpunkt in zulassungsrelevanter Phase-III-Outcome-Studie SERAPHIN bei Patienten mit pulmonaler arterieller Hypertonie
- 2010** Veletri wird in den USA eingeführt und damit das PAH-Geschäft von Actelion weiter gestärkt
- 2009** Tracleer (Bosentan) erhält EU-Zulassung für pädiatrische Formulierung zur Behandlung von PAH
Zavesca erhält EU-Zulassung für die Behandlung der Niemann-Pick-Krankheit Typ C
- 2008** Tracleer erhält EU-Zulassung für die Behandlung von Patienten mit milder symptomatischer PAH
Actelion und Nippon Shinyaku unterzeichnen Lizenzvereinbarung über neuartigen, oral verfügbaren IP-Rezeptor-Agonisten für die Behandlung der PAH
- 2007** Tracleer erhält EU-Zulassung für die Verminderung der Anzahl neuer digitaler Ulzerationen bei Patienten mit systemischer Sklerose
- 2006** Definitive Vereinbarung zur Akquisition des US-Unternehmens CoTherix, Inc. und Aufnahme von Ventavis in das US-Produktportfolio
- 2003** Zavesca erhält die Zulassung für die Behandlung der Typ-1-Gaucher-Krankheit
- 2001** Tracleer erhält Erstzulassung für die Behandlung der pulmonalen arteriellen Hypertonie (PAH)
- 2000** Börsengang (IPO); Actelion-Aktien werden mit einem Rekordwert von CHF 1,2 Milliarden an der Schweizer Börse gelistet
- 1997** Gründung von Actelion am 17. Dezember 1997



Haftungsausschluss Dieses Fact Sheet hat den alleinigen Zweck, die Öffentlichkeit mit allgemeinen Informationen über die Aktivitäten von Actelion Ltd und dessen Beteiligungsgesellschaften zu informieren. Zukunftsweisende Aussagen in diesem Fact Sheet basieren auf aktuellen Erwartungen und Ansichten der Unternehmensleitung, die einer Vielzahl von Risiken und Unsicherheiten unterliegen.

Actelion Pharmaceuticals Ltd Gewerbestrasse 16 / CH-4123 Allschwil
Switzerland / investor.relations@actelion.com / Phone +41 61 565 62 62
Fax +41 61 565 65 07 / www.actelion.com

Zuletzt aktualisiert im: April 2016
Copyright © 2016 Actelion Pharmaceuticals Ltd