

# ACTELION DAS UNTERNEHMEN

## EINLEITUNG

Actelion ist ein biopharmazeutisches Unternehmen, das sich auf die Erforschung, Entwicklung und Kommerzialisierung von klein-molekularen Wirkstoffen für innovative Behandlungsmöglichkeiten spezialisiert hat, und sich dabei auf Gebiete 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 Endothelin-Rezeptor-Antagonisten wie Tracleer®, dem führenden Produkt des Unternehmens.

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.

## ÜBERSICHT ÜBER DAS FINANZERGEBNIS

In CHF Millionen	Q1 2012 Ergebnis	Q1 2011 Ergebnis	in % CHF	in % LC
Nettoumsatz	417,5	528,2	(21)	(18)
Betriebsaufwand	350,3	363,6	(4)	(2)
Betriebsgewinn	67,1	164,7	(59)	(54)
Kerngewinn	107,6	127,9	(16)	(9)
Reingewinn / (Verlust)	45,1	146,3	(69)	(64)
Verwässerter Gewinn pro Aktie (EPS) in CHF	0,38	1,20	(68)	(63)
Anzahl der in die Berechnung eingegangenen Aktien	118,9	122,1		

Die vollständige Konzernrechnung für finden Sie unter:  
<http://www.actelion.com>

### Informationen zur Aktie

Börsengang (IPO): 6. April 2000

Notierung: Schweizer Börse SIX (ATLN), Zürich, Schweiz

Handelssymbole: Reuters ATLN.S, Bloomberg ATLN

## UNTERNEHMENSSTRATEGIE

Seit seiner Gründung vor über einem Jahrzehnt 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 starke Pipeline aufgebaut und bereits vier Medikamente eingeführt. Das Unternehmen verfügt über Vertriebsorganisationen in über 30 Ländern. Unsere über 2.500 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 freien Lauf lassen.** Wir verfolgen eine auf F&E ausgerichtete Wachstumsstrategie und setzen dabei auf interne Projekte, von denen wir uns einen beschleunigten Wertzuwachs erwarten. Wir sind interessiert an Partnerschaften und Akquisitionen, die Synergien mit dem bestehenden Geschäft schaffen oder eine Infrastruktur-Plattform für unsere Pipeline-Projekte bilden.
- **Den Wert von Innovationen bewahren.** Wir entwickeln eigene Projekte und gehen Partnerschaften ein, wo dies strategisch oder finanziell sinnvoll ist, um damit langfristig Mehrwert zu schaffen und unsere Infrastruktur und weltweite Reichweite auszubauen.
- **Höchstleistungen in Verkauf und Marketing erzielen.** Es ist unser Ziel, mit unserem äusserst erfahrenen Vertriebsteam und den geeigneten Medikamenten neue Gebiete und Märkte zu erschliessen. Wir wollen unsere Aktivitäten in den bereits bestehenden Therapiebereichen PAH und Fettspeicherkrankheiten ausbauen und gleichzeitig weitere Medikamente entwickeln oder einlizenzieren, die unser bestehendes Portfolio ergänzen.
- **Unternehmenswerte bewahren.** Wir arbeiten beständig an der Stärkung unserer Unternehmenskultur, die auf Innovation, Vertrauen, Teamarbeit und offener Kommunikation beruht, um so für unsere Mitarbeitenden ein inspirierendes und stimulierendes Arbeitsumfeld zu schaffen. Gleichzeitig halten wir an einer ergebnisorientierten Arbeitsweise fest.

## MITARBEITENDE

Mitarbeitende der Actelion Gruppe	per Mär. 12	per Mär. 11
Forschung	404	397
Klinische Entwicklung	676	644
Marketing und Verkauf	1.040	1.028
Unterstützende Funktionen	442	420
<b>Total</b>	<b>2.562</b>	<b>2.489</b>

Stand: Ende März 2012

## PRODUKTE IM MARKT

### TRACLEER®



Unser führendes Produkt ist Tracleer® (Bosentan), der erste duale Endothelin-Rezeptor-Antagonist. Tracleer® wurde als erstes orales Therapeutikum für die Behandlung der pulmonalen arteriellen Hypertonie (PAH) zugelassen. PAH ist eine seltene chronische und lebensbedrohliche Erkrankung, die die Funktion der Lungen und des Herzens stark beeinträchtigt.

Inzwischen ist Tracleer® für die Behandlung von PAH in über 60 Ländern zugelassen, so seit November 2001 auch in den USA, seit Mai 2002 in der Europäischen Union und seit April 2005 in Japan. Derzeit vermarkten wir Tracleer® in allen wichtigen Märkten weltweit, darunter auch in der Schweiz, Kanada, Australien und China.

Neben der Indikation für PAH erhielt Tracleer® auf der Grundlage aussagekräftiger klinischer Daten von den europäischen Registrierungsbehörden 2007 die Zulassung für die Verminderung der Anzahl neuer digitaler Ulzerationen bei Patienten mit systemischer Sklerose (Sklerodermie), die an digitalen Ulzerationen leiden.

### VENTAVIS®



Ventavis® (Iloprost), wurde Ende 2004 von der FDA für die Behandlung von PAH in den USA zugelassen. Mit der Akquisition des US-Unternehmens CoTherix erwarb Actelion Ende 2006 die Lizenzrechte für die Vermarktung von Ventavis® in den Vereinigten Staaten. Ventavis®, die erste zugelassene PAH-Therapie zur Inhalation, ist aufgrund seiner Wirkungsweise eine perfekte Ergänzung zu Tracleer® und stellt mit seiner starken Marktperformance eine weitere Stärkung unserer PAH-Franchise dar.



### VELETRI®

Actelions PAH-Franchise wurde durch Veletri® (Epoprostenol zur Injektion), einem intravenös zu verabreichenden gefässerweiternden Prostanoid, verstärkt. Anders als andere für PAH zugelassene Epoprostenol-Formulierungen, ist diese Formulierung nach der Aufbereitung 24 Stunden lang bei Raumtemperatur (77 F, 25C) stabil. Dadurch entfällt die Kühlung durch gefrorene Gelpackungen.

Veletri® kann entweder mit sterilem Wasser zur Injektion (gemäss USP) oder mit 0,9% Natriumchlorid zur Injektion (gemäss USP) aufbereitet werden. Arzneimittelspezifische Verdüner sind nicht erforderlich.

Veletri® wurde von der Food and Drug Administration (FDA) für die Behandlung der pulmonalen arteriellen Hypertonie (WHO Gruppe 1) zur Verbesserung der körperlichen Leistungsfähigkeit zugelassen. Wirksamkeitsstudien wurden vor allem bei Patienten mit idiopathischer oder vererbbarer PAH oder PAH in Verbindung mit Bindegewebserkrankungen durchgeführt, die Symptome gemäss NYHA Funktionsklasse III und IV aufwiesen.

### ZAVESCA®



Zavesca® (Miglustat) ist derzeit das einzige zugelassene orale Therapeutikum zur Behandlung von leichten bis mittelschweren Formen von Morbus Gaucher Typ 1, einer seltenen und stark beeinträchtigenden Stoffwechselerkrankung. Es wird bei Patienten eingesetzt, bei denen eine Enzyersatztherapie nicht in Frage kommt.

Zavesca® ist in der Europäischen Union auch für die Behandlung progressiver neurologischer Symptome bei Erwachsenen und Kindern mit der Niemann-Pick Typ C-Krankheit (NPC) zugelassen. Zavesca® ist das erste Präparat, das eine Zulassung in dieser Indikation erhielt. Niemann-Pick Typ C ist eine sehr seltene, kontinuierlich fortschreitende, genetisch bedingte neurodegenerative Erkrankung mit tödlichem Ausgang, an der sowohl Kinder als auch Erwachsene leiden.

## KLINISCHE ENTWICKLUNG

Actelion setzt seinen Auftrag, Patienten innovative Medikamente zur Verfügung zu stellen, konsequent um: in unserer klinischen Entwicklungspipeline befinden sich innovative Moleküle, davon drei in einem fortgeschrittenen Entwicklungsstadium. Die neuen Moleküle decken sehr unterschiedliche Krankheitsgebiete ab, so etwa kardiovaskuläre Krankheiten, Erkrankungen des Immunsystems, aber auch Störungen des zentralen Nervensystems und Infektionskrankheiten.

Die am weitesten fortgeschrittenen Entwicklungsmoleküle von Actelion sind Macitentan, dem neuartigen Endothelin-Rezeptor-Antagonist sowie Selexipag, der erste oral aktive nicht-prostanoide IP-Rezeptor-Agonist gegen pulmonale arterielle Hypertonie.

## FORSCHUNG

Im Rahmen der Erforschung neuer Wirkstoffe konzentriert sich Actelion auf die Entwicklung von Expertise-Plattformen. Dieser Fokus erlaubt eine hohe Produktivität in der Generierung innovativer Substanzen, die sich für ein breites Spektrum von Krankheiten mit hohem medizinischem Bedarf eignen könnten.

Der Schwerpunkt liegt auf dem Design, der Synthese und der Optimierung wirkstoffartiger Moleküle mit geringem Molekulargewicht.

Actelion konzentriert sich im Besonderen auch auf die Auswahl der „Familien“ seiner molekularen Ziele. Anfänglich befasste sich das Unternehmen ausschliesslich mit G-Protein-gekoppelten Rezeptoren (GPCR) und einer spezifischen Enzymfamilie, den Aspartylproteasen. Mit dem wachsenden Erfahrungsschatz des Unternehmens kamen schrittweise weitere Zielbereiche wie Antiinfektiva, Ionenkanäle und zahlreiche lösliche Enzyme hinzu.

## PIPELINE VON ACTELION

Phase	Substanz	Indikation	Studie	Erwartete Ergebnisse
IV	Bosentan	Kombination von Bosentan und Sildenafil bei PAH	COMPASS-2	2013
IV	Bosentan	Pädiatrische pulmonale arterielle Hypertonie	FUTURE	2014
III	Macitentan	Pulmonale arterielle Hypertonie	SERAPHIN	Abgeschlossen
III	Selexipag	Pulmonale arterielle Hypertonie	GRIPHON	2014
III	Macitentan	Digitale Ulzerationen bei systemischer Sklerose	-	2014
II	Cadazolid	<i>Clostridium difficile</i> Infektionen	-	2012
II	Ponesimod	Multiple Sklerose	-	Abgeschlossen
II	Ponesimod	Plaques-Psoriasis	-	Zweites Halbjahr 2012
I	Malaria-Wirkstoff	Malaria	-	-
I	Herz-Kreislauf-Wirkstoff	Kardiovaskuläre Erkrankungen	-	-
I	CRTH2-Rezeptor-Antagonist	Asthma/Allergien	-	-
I	Stoffwechsel-Wirkstoff	Stoffwechselerkrankungen	-	-
I	Immunologie	Immunologische Erkrankungen	-	-
I	Macitentan	Glioblastom	-	-
I	Orexin-Rezeptor-Antagonist	Schlaflosigkeit	-	-
I	S1P <sub>1</sub> -Rezeptor-Agonist	Immunologische Erkrankungen	-	-

**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.

---

## PARTNERSCHAFTEN VON ACTELION

Um den Wert seiner innovativen Produkte bestmöglich auszunutzen, ist Actelion verschiedene Produkt-bezogene Partnerschaften eingegangen.

### ZUSAMMENARBEIT VON ACTELION UND GSK

Im Juli 2008 vereinbarten Actelion und GSK eine exklusive weltweite Kooperation (mit Ausnahme Japans) zur gemeinsamen Entwicklung und Kommerzialisierung von Actelions Orexin-Rezeptor-Antagonisten. Im Rahmen dieser Partnerschaft erforschen und entwickeln beide Unternehmen neue Therapien auf der Basis von Orexin-Rezeptor-Antagonisten.

### ACTELION/NIPPON SHINYAKU - ALLIANZ

Actelion und Nippon Shinyaku vereinbarten im April 2008 eine exklusive weltweite Zusammenarbeit im Hinblick auf einen oral verfügbaren nicht-prostanoiden IP-Rezeptor-Agonisten mit langer Wirkungsdauer für Patienten mit pulmonaler arterieller Hypertonie (PAH). Diese Substanz 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 einlizensiert wurde.

### ACTELION/MERCK & CO., INC. - ALLIANZ

Actelion und Merck & Co., Inc. besiegelten im Dezember 2003 eine exklusive weltweite Partnerschaft zur Erforschung, Entwicklung und Vermarktung neuer, von Actelion entdeckter, oral verfügbarer Renin-Inhibitoren für Patienten mit kardierenalen Erkrankungen.

---

## MEILENSTEINE DES UNTERNEHMENS

- 2012** > Macitentan erreicht primären Endpunkt in zulassungsrelevanter Phase-III-Studie SERAPHIN bei Patienten mit pulmonaler arterieller Hypertonie
- 2011** > Ponesimod erreicht primären Endpunkt in Phase IIb-Dosisfindungsstudie bei Patienten mit schubförmiger Multipler Sklerose
- 2010** > Veletri® wird in den USA eingeführt und damit das PAH-Geschäft von Actelion weiter gestärkt.
- 2009** > Erster Patient für Phase III-PAH-Studie mit neuartigem oral-aktiven IP-Rezeptor-Agonisten Selexipag rekrutiert.
  - > Aufnahme von Phase-IIb-Dosisfindungsstudie mit selektivem S1P<sub>1</sub> bei Patienten mit Multipler Sklerose.
  - > Tracleer® (Bosentan) erhält EU-Zulassung für pädiatrische Formulierung zur Behandlung von PAH.
  - > Zavesca® (Miglustat) erhält EU-Zulassung für die Behandlung der Niemann-Pick Typ C-Krankheit.
- 2008** > Tracleer® erhält EU-Zulassung für die Behandlung von Patienten mit milder symptomatischer pulmonaler arterieller Hypertonie.
  - > Actelion und GlaxoSmithKline gehen Zusammenarbeit bezüglich Almorexant ein.
  - > Actelion und Nippon Shinyaku unterzeichnen eine 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 systemischer Sklerose.
- 2006** > Definitive Vereinbarung zur Akquisition des US-Unternehmens CoTherix, Inc. und damit von Ventavis® für den US-Markt.
- 2003** > Actelion erwirbt Axovan und ergänzt damit seine Pipeline um Clazosentan.
  - > Zavesca® erhält die Zulassung für die Behandlung der Typ-1-Gaucher-Krankheit.
- 2001** > Tracleer® erhält die 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.

Zuletzt aktualisiert im April 2012