

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 15 juni 2016



Orfadin® 20 mg kapsel godkänd i USA

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi) meddelade idag att amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, har godkänt en högre styrka, 20 mg, av Orfadin® (nitisinon) kapslar för behandling av ärftlig tyrosinemi typ 1 (HT-1), en sällsynt genetisk sjukdom som drabbar barn. Sjukdomen är progressiv och kan leda till lever- och njursvikt och kan vara dödlig om den lämnas obehandlad.

För 20 år sedan, innan det fanns någon farmakologisk behandling tillgänglig, var det mindre än en tredjedel av de barn som diagnosticerats med HT-1 före två månaders ålder som överlevde sin andra födelsedag.ⁱ I dag har behandling med Orfadin, i kombination med en noggrann diet och tidigare ställande av diagnos ändrat förloppet för HT-1 patienter.ⁱⁱ Personer som diagnosticerats med HT-1 och påbörjat sin behandling i unga år växer idag upp till att bli vuxna.

Eftersom dosering justeras efter vikt behöver patienter gradvis högre doser varefter de växer. Sobi har utvecklat en kapsel med högre styrka, 20 mg, för att underlätta behandling hos unga och vuxna patienter. Det är därmed möjligt att ta färre kapslar per behandlingstillfälle och för en livslång behandling är detta av betydelse.

”HT-1 patientens resa har drivit Sobis utveckling av den nya styrkan av Orfadin i syfte att stödja hållbara behandlingsresultat över en livstid för dessa patienter. Vi är starkt engagerade i denna patientgrupp och är stolta över att utöka behandlingsalternativen för dem”, säger Michael Yeh, Head of Global Medical Affairs Core Products på Sobi.

Orfadin är godkänt i USA och flera andra länder för behandling av patienter med konstaterad ärftlig tyrosinemi typ 1 (HT-1) i kombination med en speciell diet där intag av tyrosin och fenylalanin begränsas. Orfadin, i kombination med en anpassad diet, är en väsentlig del av en effektiv HT-1 behandling. I april 2016 meddelade Sobi att amerikanska myndigheten även godkänt Orfadin oral suspension, vilket nu innebär att det är möjligt att individanpassa behandlingen med fem olika doseringsalternativ: 2 mg, 5 mg, 10 mg och 20 mg kapslar samt 4mg/ml oral suspension.

Om Orfadin®

Personer med ärftlig tyrosinemi typ 1 (HT-1) har svårigheter att bryta ner aminosyran tyrosin. Giftiga biprodukter bildas och ansamlas i kroppen vilket kan orsaka lever- och njursvikt samt neurologiska komplikationer. I den vanligast förekommande varianten av sjukdomen uppkommer symtom inom de första sex månader av ett barns liv. Cirka 1 000 personer i världen har identifierats att de lever med HT-1 idag.

Orfadin® (nitisinon) hindrar nedbrytningen av tyrosin och minskar därmed mängden toxiska biprodukter i kroppen. I kombination med Orfadin måste patienter följa en anpassad diet där intag av tyrosin och fenyylalanin begränsas då tyrosin inte utsöndras från kroppen. Orfadin ägs, utvecklas och marknadsförs av Sobi för en global marknad. Orfadin tillhandahålls i fem olika doseringsalternativ: 2 mg, 5 mg, 10 mg och 20 mg kapslar samt 4 mg/ml oral suspension. För fullständig amerikansk förskrivningsinformation vänligen se www.orfadin.com.

Om Sobi

Sobi är ett internationellt läkemedelsföretag inriktat på att tillhandahålla innovativa behandlingar och service som förbättrar livet för patienter med sällsynta sjukdomar. Produktportföljen fokuserar främst på hemofili, inflammationssjukdomar och genetiska sjukdomar. Sobi marknadsför även en portfölj specialist- och sällsynta läkemedel i Europa, Mellanöstern, Ryssland och Nordafrika på uppdrag av olika partnerföretag. Intäkterna uppgick 2015 till 3,2 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 700. Aktien (STO:SOBI) är noterad på OMX NASDAQ Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

För ytterligare information kontakta

Mediarelationer

Oskar Bosson, Head of Communications

+46 70 410 71 80

oskar.bosson@sobi.com

Investerarrelationer

Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations

+1 347-224-0819, +1 212-579-0506, +46 8 697 2135

jorgen.winroth@sobi.com

ⁱ van Spronsen FJ, Thomasse Y, Smit GP, et al. Hepatology. 1994;20(5):1187-1191

ⁱⁱ Orfadin EPAR: Product information 25/07/2013 Orfadin -EMA/H/C/000555 -IB/0045