

## PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 14 juli 2016



### Health Canada validerar ansökan om godkännande för Orfadin® kapsel

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi) meddelade idag att kanadensiska läkemedelsmyndigheten, Health Canada, har inlett utvärdering av ansökan om godkännande för 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.

”Vi är mycket glada över att utvärderingen av Orfadin kapslar i Kanada har inletts. 10 procent av personerna med HT-1 i världen bor i Kanada och Quebec och landet har därför varit prioriterat sedan vi tog ansvar för produkten i regionen. Om Orfadin godkänns är det ett stort steg i att säkerställa att HT-1 patienter i Kanada kan få hållbar tillgång till behandling med Orfadin”, säger Michael Yeh, Head of Global Medical Affairs Core Products på Sobi.

För 20 år sedan, innan det fanns någon farmakologisk behandling tillgänglig, var det mindre än en tredjedel av de barn som före två månaders ålder diagnosticerats med HT-1 som överlevde sin andra födelsedag.<sup>i</sup> I dag har behandling med Orfadin, i kombination med en anpassad diet och tidigare ställande av diagnos ändrat förloppet för HT-1 patienter.<sup>ii</sup>

Orfadin är godkänd i USA och Europa 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. Om produkten godkänns i Kanada kommer det att bli möjligt att individanpassa behandlingen med olika doseringsalternativ: 2 mg, 5 mg, 10 mg och 20 mg kapslar.

---

#### 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 fenylalanin begränsas då tyrosin inte utsöndras från kroppen. Orfadin ägs, utvecklas och tillgängliggörs av Sobi för en global marknad.

Orfadin är för närvarande tillgänglig i Kanada via ett särskilt program, Special Access Programme (SAP) och tillhandahålls i fem olika doseringsalternativ: 2 mg, 5 mg, 10 mg och 20 mg kapslar samt 4 mg/ml oral suspension.

### **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](http://www.sobi.com).

### **För ytterligare information kontakta**

#### Mediarelationer

Oskar Bosson, Head of Communications

+46 70 410 71 80

[oskar.bosson@sobi.com](mailto: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](mailto:jorgen.winroth@sobi.com)

---

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

<sup>ii</sup> Orfadin EPAR: Product information 25/07/2013 Orfadin -EMEA/H/C/000555 -IB/0045