

## PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 26 april 2016



### Orfadin® oral suspension godkänd i USA

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi™) meddelade idag att den amerikanska läkemedelsmyndigheten FDA den 22 april 2016 godkänt en flytande beredningsform av Orfadin (nitisinon), för behandling av ärftlig tyrosinemi typ 1 (HT-1) i kombination med en diet med begränsat intag av tyrosin och fenylalanin. HT-1 är en sällsynt, ärftlig sjukdom som drabbar spädbarn och barn. Det är en gradvis tilltagande sjukdom som kan leda till lever- och njursvikt och vara dödlig om den inte behandlas i ett tidigt skede.

För tjugo år sedan, innan det fanns någon läkemedelsbehandling, var det färre än en tredjedel av de barn som fick diagnosen HT-1 innan två månaders ålder som överlevde sin tvåårsdag.<sup>1</sup> Idag har behandling med Orfadin, i kombination med diet och tidig diagnos förbättrat resultaten för HT-1 patienterna.<sup>2</sup> Orfadin är godkänd i USA, EU och flera andra länder för behandling av patienter med HT-1.

”HT-1 patientens resa – från tidig upptäckt och diagnos, till förbättrad vård som lett till stigande överlevnadssiffror – har drivit Sobi att utveckla av nya styrkor och formuleringar av Orfadin för att fortsätta möta HT-1 patienternas medicinska behov”, säger Michael Yeh, Vice President Medical Affairs på Sobi.

Att ha ett tydligt patientfokus är avgörande och Sobi utvecklar kontinuerligt initiativ utifrån de behov som uppstår hos patienter, vårdgivare och sjukvårdspersonal. I takt med att fler länder inför screening av nyfödda för HT-1, får fler barn diagnosen tidigare i livet. Doseringen anpassas till vikt och för spädbarn innebär detta att den justeras löpande månad för månad, i takt med att de växer. Den nya flytande beredningsformen av Orfadin syftar till att underlätta medicineringen, särskilt när det gäller användning hos barn.

---

#### Om Orfadin

Orfadin (nitisinon) hindrar nedbrytningen av tyrosin och minskar därmed mängden giftiga biprodukter i kroppen. 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. I kombination med Orfadin måste patienter följa en anpassad diet där intag av tyrosin och fenylalanin begränsas då tyrosin inte utsöndras från kroppen. Cirka 1 000 personer i världen har identifierats som lever med HT-1 idag. Orfadin ägs, utvecklas och marknadsförs av Sobi för en global marknad. För fullständig forskrivningsinformation för den amerikanska marknaden, vänligen se [www.orfadin.com](http://www.orfadin.com).

---

<sup>1</sup> van Spronsen FJ, Thomasse Y, Smit GP, et al. Hepatology. 1994;20(5):1187-1191

<sup>2</sup> Orfadin EPAR: Product information 25/07/2013 Orfadin -EMA/H/C/000555 -IB/0045

## **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 säräkemedel 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**

#### Media relations

Oskar Bosson, Head of Communications

+46 70 410 71 80

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

#### Investor relations

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)