

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 2 februari, 2017



Sobi får EU-godkännande för en ny doseringsfrekvens för Orfadin®

[Swedish Orphan Biovitrum International AB \(publ\)](#) (Sobi) har fått bekräftat att EU-kommissionen godkänt en reducerad doseringsfrekvens för Orfadin® (nitisinon), från två gånger till en gång dagligen, för personer med ärftlig tyrosinemi typ 1 (HT-1) och en kroppsvikt > 20 kg.

"Sobi har ett långsiktigt engagemang för att förbättra livet för människor som drabbats av ärftlig tyrosinemi typ 1 och den förändrade doseringen utgör ännu ett betydelsefullt steg på denna resa", säger Milan Zdravkovic, Senior Vice President, Chief Medical Officer och Head of Research & Development på Sobi.

Godkännandet baseras på resultaten av en klinisk studie på 18 personer med HT-1, där man under fyra veckors tid jämförde effekten av dosering två gånger dagligen med en gång dagligen. Studien visade att halterna av nitisinon i blodet, samt säkerheten och effekten för de båda behandlingsregimerna var jämförbara. Det fanns inte tillräckligt med data för att kunna jämföra de två regimerna hos personer under 20 kg, eftersom för få personer med en kroppsvikt under 20 kg var inkluderade i studien.

Om Orfadin®

Personer med ärftlig tyrosinemi typ 1 (HT-1) har svårt att bryta ned aminosyran tyrosin. Toxiska biprodukter bildas och ansamlas i kroppen, vilket kan orsaka lever-, njur- och neurologiska komplikationer. Ca 1 000 personer runt om i världen är diagnostiserade med HT-1 idag.

Orfadin® (nitisinon) blockerar nedbrytningen av tyrosin, och reducerar därigenom mängden av toxiska biprodukter i kroppen. Patienter måste hålla en särskild diet i kombination med Orfadinbehandling, eftersom nedbrytningen av tyrosin är otillräcklig. Orfadin ägs, utvecklas och marknadsförs av Sobi på en global marknad.

Innan Orfadin blev tillgänglig var överlevnaden vid HT-1 efter två år 29 % hos barn som utvecklade symtom före två månaders ålder.ⁱ Efter introduktionen av Orfadin är överlevnaden 93 % efter två år hos patienter där behandling inleder innan två månaders ålder.ⁱⁱ

Fullständig förskrivningsinformation inom Europa finns tillgänglig på [EMA's hemsida](#).

Om Sobi™

Sobi är ett internationellt läkemedelsföretag inriktat på sällsynta sjukdomar. Sobis uppdrag är att utveckla och tillhandahålla innovativa behandlingar och tjänster som ger patienter ett bättre liv. Produktportföljen fokuserar främst på hemofili, inflammationssjukdomar och genetiska sjukdomar. Sobi marknadsför även en portfölj med specialist- och sällsynta läkemedel på uppdrag av olika partnerföretag i Europa, Mellanöstern, Nordafrika och Ryssland. Sobi är en pionjär inom bioteknologi med stort kunnande inom produktion av biologiska läkemedel. Intäkterna uppgick 2015 till 3,2 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 700. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

För mer information, vänligen kontakta:

Media relations

Linda Holmström, Senior Communications Manager

0708 73 40 95, 08 697 31 74

linda.holmstrom@sobi.com

Investor relations

Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations

+1 347-224-0819, +1 212-579-0506, 08 697 2135

jorgen.winroth@sobi.com

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

ⁱⁱ Orfadin Product monograph 12/12/2016 (Submission Control No: 193226)