

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 5 september 2017



Sobi får FDA-godkännande för doseringsfrekvensen en gång dagligen för Orfadin® vid behandling av HT-1

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\)](#) (Sobi™) har fått godkännande från den amerikanska läkemedelsmyndigheten, FDA, för en reducerad doseringsfrekvens av Orfadin® (nitisinon) från två gånger till en gång dagligen för patienter som är fem år eller äldre. Godkännandet baseras på resultaten från en klinisk studie på 16 personer med med ärftlig tyrosinemi typ 1 (HT-1), där man under fyra veckors tid jämförde dosering två gånger dagligen med en gång dagligen.

Orfadin är i kombination med ett begränsat intag av tyrosin och fenylalanin godkänt för behandling av personer med HT-1, en sällsynt genetisk sjukdom som kan orsaka lever-, njur- och neurologiska komplikationer. Den reducerade doseringsfrekvensen är godkänd för patienter som är fem år eller äldre och inte har detekterbara koncentrationer av succinylaceton i urin och serum efter minst fyra veckor på en stabil dos av nitisinon. Doseringsfrekvensen en gång dagligen godkändes också av EU-kommissionen i början av året.

”Vi är mycket glada över att få FDA:s godkännande för den nya doseringsfrekvensen för Orfadin. Orfadin är den första nitisinonprodukten som godkänts för dosering en gång per dag i USA. Detta är ett viktigt steg mot minskad behandlingsbörda för personer som lever med HT-1 och är i linje med Sobis införande av Orfadin 20 mg kapslar och Orfadin oral suspension”, säger Milan Zdravkovic, Senior Vice President, Chief Medical Officer och Head of Research & Development på Sobi.

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.

Fullständig förskrivningsinformation inom Europa finns tillgänglig på [EMA's hemsida](#). Fullständig förskrivningsinformation för USA finns tillgänglig på www.orfadin.com

Om Sobi™

Sobi™ är ett internationellt läkemedelsföretag inriktat på sällsynta sjukdomar. Vårt 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 sÄrläkemedel i Europa, Mellanöstern, Nordafrika och Ryssland på uppdrag av olika partnerföretag. Sobi är en pionjär inom bioteknologi med stort kunnande inom produktion av biologiska läkemedel. Intäkterna uppgick 2016 till 5,2 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 760. 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

T: +46 70 873 40 95

linda.holmstrom@sobi.com

Investor relations

Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations

+1 347 224 0819, +1 212 579 0506

jorgen.winroth@sobi.com