

## PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 30 januari 2019

### **Ravicti® nu tillgängligt för alla åldersgrupper i Europa efter ett utökat godkännande för nyfödda**

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi™) meddelar att Ravicti®, ett läkemedel för behandling av patienter med ureacykelrubbningar (UCD), har den 18:e december 2018 godkänts av EU-kommissionen med en pediatrik indikation (från födseln till två månader) efter ett positivt utlåtande från den europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA) vetenskapliga kommitté för humanläkemedel (CHMP).

Den tidigare indikationen för Ravicti (glycerolfenylbutyrat) innebar att behandlingen bara kunde ges till barn från två månaders ålder.

“Denna nya utökade indikation innebär att patienter i alla åldrar kan få behandlingen, vilket är särskilt viktigt eftersom sjukdomen ofta debuterar hos nyfödda”, säger Norbert Oppitz, Head of Specialty Care på Sobi. “Efter stabilisering med akut intravenös behandling kan barn nu behandlas långsiktigt med Ravicti redan under sina första dagar i livet.”

Godkännandet baseras på en öppen klinisk studie av multicentertyp, utförd av Horizon Pharma plc (Nasdaq: HZNP), som undersökt säkerhet, effekt och farmakokinetik vid behandling med glycerolfenylbutyrat av barn yngre än två år med UCD. Studien, som innefattade en kohort bestående av 16 barn med UCD från födseln upp till två månaders ålder, visade att glycerolfenylbutyrat på ett säkert och effektivt sätt minskade och upprätthöll ammoniaknivåerna i kroppen hos barn med UCD i åldrarna noll till två år.

Det är mycket viktigt att patienter med UCD får behandling tidigt för att reducera mängden ammoniak i kroppen. Om behandling inte sätts in finns risk för försämrad intellektuell funktion, neurologiska skador och hyperammonemiska kriser med låga medvetandenivåer eller koma.

---

#### **Om ureacykelrubbningar**

Ureacykelrubbningar är en grupp genetiska sjukdomar där patienten har brist på ett av de enzymer eller transportfunktioner som ingår i ureacykeln, där ammoniak omvandlas till urea. De är mycket sällsynta, allvarliga och livshotande sjukdomar, eftersom avsaknad av eller svår brist på enzymer eller transportfunktionerna leder till att toxiska nivåer av ammoniak ansamlas i patientens blod och hjärna. Förhöjda nivåer av ammoniak kan orsaka hyperammonemirelaterad koma och obotliga hjärnskador, kramper och cerebral pares samt även orsaka dödsfall om tillståndet inte behandlas. Officiella beräkningar av UCD-incidensen saknas, men en allmänt accepterad uppskattning är 1 på 35 000 födselar.

#### **Om Ravicti®**

Ravicti® (glycerolfenylbutyrat [GPB]) är avsett som tillägg till långtidsbehandling av patienter med ureacykelrubbningar (UCD), inklusive brist på karbamoylfosfatsyntetas I (CPS), ornitinkarbamoyltransferas (OTC), argininsuccinatsyntetas (ASS), argininsuccinatyas (ASL), arginas I (ARG) och ornitintranslokasbrist hyperammonemi-hyperornitinemi-homocitrullinemi-syndrom (HHH), som inte kan kontrolleras enbart med proteinreducerad kost och/eller aminosyratillskott. Ravicti måste användas tillsammans med proteinreducerad kost och, i vissa fall, kosttillskott (t.ex. essentiella aminosyror, arginin, citrullin och proteinfria kaloritillskott). Ravicti fick centralt godkännande för försäljning av EU-kommissionen den 27 november 2015. Ravicti är godkänt för användning i alla

28 medlemsländer i EU och i tre medlemsländer i Europeiska ekonomiska samarbetsområdet (EES). För fullständig europeisk förskrivningsinformation, se [EMAs hemsida](#).

#### **Om samarbetet mellan Sobi™ och Horizon Pharma plc/Immedica Group**

Den 7 december 2016 slöt Sobi och Horizon Pharma plc ett distributionsavtal för Ravicti® (glycerolfenylbutyrat) och för Ammonaps® (natriumfenylbutyrat) i vissa europeiska länder, och för Ammomaps även i vissa länder i Mellanöstern. Sobi och Horizon hade även ett distributionsavtal för Ravicti i Mellanöstern som slöts 2013, vars rättigheter senare införlivades i 2016 års distributionsavtal. Den 28 december 2018 sålde Horizon rättigheterna för Ravicti® och Ammonaps® (som heter Buphenyl® i USA) utanför Nordamerika och Japan till Medical Need Europe AB, som ingår i Immedica Group, ett Stockholmsbaserat företag.

#### **Om Sobi™**

Sobi™ är ett internationellt biofarmaceutiskt företag inriktat på sällsynta sjukdomar. Vår vision är att bli ansedd som en global ledare i att tillhandahålla innovativa och livsförändrande behandlingar för människor som lever med sällsynta sjukdomar. Produktportföljen fokuserar främst på behandlingar inom Haemophilia och Specialty Care. Samarbeten avseende utveckling och kommersialisering av produkter inom Specialty Care är en viktig del av vår strategi. Sobi är en pionjär inom bioteknologi med stort kunnande inom proteinteknik och produktion av biologiska läkemedel. 2017 uppgick intäkterna till 6,5 miljarder SEK och antalet anställda var cirka 850. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på [www.sobi.com](http://www.sobi.com).

#### **För mer information, vänligen kontakta:**

Media/Investerare

Linda Holmström, Senior Communications/IR Manager

+46 708 734 095

[linda.holmstrom@sobi.com](mailto:linda.holmstrom@sobi.com)

Investerare

Jörgen Winroth, Senior IR Advisor

+1 347 224 0819, +1 212 579 0506

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

Paula Treutiger, Head of Communications & Investor

Relations

+46 733 666 599

[paula.treutiger@sobi.com](mailto:paula.treutiger@sobi.com)