

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 21 mars 2018



Sobi™ lanserar Ravicti® i Europa och förbättrar vården för patienter med ureacykelrubbningar

[Swedish Orphan Biovitrum AB \(publ\) \(Sobi™\)](#) meddelar att företaget har erhållit nationellt godkännande för subvention av Ravicti®, ett nytt behandlingsalternativ för behandling av patienter med ureacykelrubbningar (UCD), i flera medlemsländer i EU och EES. Ravicti har lanserats i Sverige, Danmark, Österrike och Tyskland, och kommer därefter att lanseras i Storbritannien, Spanien och Nederländerna.

“Vi är mycket nöjda med att Ravicti nu godkänns för subvention i flera länder i Europa för patienter med ureacykelrubbningar” säger Norbert Oppitz, Head of Specialty Care på Sobi. “Godkännandet innebär att vi kan ge läkare och patienter säker tillgång till det nya läkemedlet.”

I Europa är Ravicti (glycerolfenylbutyrat) avsett för långtidsbehandling av ureacykelrubbningar hos vuxna och barn från två månaders ålder när enbart proteinreducerad kost och/eller aminosyratillskott inte kan kontrollera sjukdomarna. UCD 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.

UCD är mycket sällsynta, allvarliga och livshotande sjukdomar. Avsaknad av eller svår brist på de aktuella enzymerna eller transportfunktionerna leder till att toxiska nivåer av ammoniak ansamlas i patientens blod och hjärna. Förhöjda nivåer av ammoniak kan orsaka koma och obotliga hjärnskador och leda till kognitiv funktionsnedsättning, kramper och cerebral pares samt även orsaka dödsfall om tillståndet inte behandlas.

För patienter med UCD är det avgörande med tidigt insatt behandling och adekvat ammoniakkontroll för att bevara den intellektuella funktionsförmågan, förebygga neurologiska skador och reducera förekomsten av akut hyperammonemi.

“Det finns ett stort behov av effektivare behandlingar av UCD”, säger Armin Reininger, Head of Medical & Scientific Affairs på Sobi. “Introduktionen av Ravicti innebär att ett nytt behandlingsalternativ för att sänka ammoniakhalten i blodet blir tillgängligt och vi anser att detta kommer att bidra till ytterligare förbättring av vården av patienter med UCD.”

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 enzymerna 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 ureacykelrubbingar (UCD) hos vuxna och barn från två månaders ålder, inklusive brist på karbamoylfosfatsyntetas I (CPS), ornitinkarbamoyltransferas (OTC), argininsuccinatsyntetas (ASS), argininsuccinatlyas (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

Den 7 december 2016 tecknade Sobi och Horizon Pharma plc ett femårigt distributionsavtal för Ravicti® (glycerolfenylbutyrat) i vissa europeiska länder, inklusive Storbritannien, Tyskland, Frankrike, Italien och Spanien, och för Ammonaps® (natriumfenylbutyrat) i motsvarande europeiska länder och i vissa länder i Mellanöstern. Sobi kommer under avtalet att inneha exklusiva rättigheter för marknadsföring, försäljning och distribution för de båda läkemedlen inom angivna områden till och med den 31 december 2021. Sobi och Horizon har också ett distributionsavtal för Ravicti i Mellanöstern sedan 2013.

Om Sobi™

Sobi™ är ett internationellt läkemedelsföretag inriktat på sällsynta sjukdomar. Vår vision är att bli ansedd som en global ledare i att tillhandahålla innovativa behandlingar som gör skillnad för människor som lever med sällsynta sjukdomar. Produktportföljen fokuserar främst på behandlingar inom hemofili och Specialty Care. Partnerskap inom 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. Intäkterna uppgick 2017 till 6,5 miljarder kronor och antalet anställda var cirka 850. Aktien (STO: SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

För mer information, vänligen kontakta

Media relations

Charlotte af Klercker, Head of Communications (acting)

0707-297327

charlotte.afklercker@sobi.com

Investor relations

Jörgen Winroth, Vice President, Head of Investor Relations

+1 347 224 0819, +1 212 579 0506

jorgen.winroth@sobi.com