

PRESSMEDDELANDE

Stockholm, 18 september 2020

Orfadin® (nitisinon) får positivt yttrande från CMHP för behandling av AKU

Swedish Orphan Biovitrum AB (publ) (Sobi™) meddelar idag att den Europeiska läkemedelsmyndighetens kommitté för humanläkemedel, CHMP, har utfärdat ett positivt yttrande för Orfadin® (nitisinon) vid behandling av vuxna patienter med alkaptonuri (AKU). Yttrandet går nu vidare till Europeiska kommissionen för beslut.

AKU var den första identifierade genetiska sjukdomen i människa och är en allvarlig, mångfacetterad, funktionsnedsättande och långsamt progressiv sjukdom som drabbar cirka en till fyra personer per miljon invånare. Sjukdomen är även känd som Black Bone Disease eller Black Urine Disease på grund av att den kännetecknas av mörkfärgning av vävnader och urin. Det är ett extremt sällsynt genetiskt tillstånd som kan orsaka betydande skador på ben, brosk och vävnad vilket så småningom leder till ledsjukdom. Det medicinska behovet är stort eftersom det för närvarande inte finns någon farmakologisk behandling tillgänglig. Nuvarande terapi består främst av smärtlindring och ledprotesoperationer.

“Dagens tillkännagivande är resultatet av ett banbrytande samarbete mellan ett läkemedelsföretag, akademi och en patientorganisation. AKU är en ikonisk sjukdom som i över ett århundrade saknat godkänd behandling, därför utgör denna dag en avgörande milstolpe för AKU-patienter världen över”, säger Dr Nicolas Sireau, vd och ordförande för AKU Society och far till två söner med AKU.

CMHP:s yttrande baseras på vetenskapliga resultat från DevelopAKUre, ett kliniskt utvecklingsprogram som drivits av ett forskningskonsortium initierat av AKU Society och kliniska experter. DevelopAKUre är ett prisbelönt exempel på ett europeiskt patientcentrerat samarbete för en behandling för en ultra-sällsynt sjukdom.

“Vi är mycket stolta över samarbetet mellan Sobi och parterna i DevelopAKUre med AKU Society i spetsen, vilket har lett till dagens tillkännagivande. Om rekommendationen följs och behandlingen godkänns av EU-kommissionen, kommer den att bidra till att tillgodose ett medicinskt behov för personer med AKU sedan sjukdomen upptäcktes för över 120 år sedan”, säger Ravi Rao, Chief Medical Officer och Head of Research and Development på Sobi.

DevelopAKUre-programmet omfattade en internationell långsiktig, klinisk fas 3-effektstudie med 138 patienter som visade att nitisinon i en dos på 10 mg per dag tolererades väl och var effektivt för att minska den sjukdomsgenererande utsöndringen av homogentisinsyra (HGA) i urinen. Detta i sin tur resulterade i att sjukdomsprocessen (okronos) dämpades och att kliniska tecken minskade, vilket indikerar en långsammare sjukdomsprogression hos vuxna patienter med AKU. Studien publicerades nyligen i *Lancet Diabetes and Endocrinology*.¹

Om Orfadin®

Orfadin® (nitisinon) är för närvarande godkänt för behandling av ärftlig tyrosinemi typ 1 (HT-1). Orfadin ägs, utvecklas och marknadsförs av Sobi på en global marknad. Orfadin utvecklades ursprungligen av svenska forskare och behandlingen godkändes av FDA 2002 och EMA 2005.

¹ Ranganath et al. *Lancet Diabetes Endocrinol* 2020; 8: 762–72

Innan Orfadin fanns tillgängligt var överlevnadsgraden för barn som utvecklat symtom på HT-1 före två månaders ålder 29 procent efter två år.² Efter införandet av Orfadin är överlevnadsgraden 93 procent efter två år hos patienter med behandlingsstart före två månaders ålder.³

För fullständig europeisk förskrivningsinformation, se EMA:s hemsida.

Om DevelopAKUre

Det kliniska utvecklingsprogrammet DevelopAKUre togs fram för att undersöka om nitisinon är en effektiv behandling för AKU. Programmet leddes av ett europeiskt konsortium bestående av 13 partners, inklusive samordnare och huvudsponsorer (Royal Liverpool University Hospital / University of Liverpool), Sobi och AKU Society. Programmet stöddes av Europeiska kommissionens sjunde ramprogram med finansiering beviljad år 2012 (projektnummer: 304985).

Om Sobi™

Sobi är ett specialiserat, internationellt biofarmaceutiskt företag som gör betydande skillnad för människor som lever med sällsynta sjukdomar. Sobi tillhandahåller innovativa behandlingar inom hematologi, immunologi samt för nischindikationer. Idag har Sobi cirka 1 400 medarbetare i Europa, Nordamerika, Mellanöstern, Ryssland och Nordafrika. För 2019 uppgick Sobis totala intäkter till 14,2 miljarder SEK. Sobis aktie (STO:SOBI) är noterad på Nasdaq Stockholm. Ytterligare information finns på www.sobi.com.

Kontaktpersoner

Paula Treutiger, Head of Communication & Investor Relations
0733 666 599
paula.treutiger@sobi.com

Linda Holmström, Corporate Communication & Investor Relations
0708 734 095
linda.holmstrom@sobi.com

² van Spronsen FJ, Thomasse Y, Smit GP, et al. Hepatology. 1994;20(5): 1187-1191

³ Orfadin EPAR: Produktinformation 2017-01-26