



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/4952/2022
EMA/H/C/005646

Сапроптерин Dipharma (*sapropterin*)

Общ преглед на Сапроптерин Dipharma и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Сапроптерин Dipharma и за какво се използва?

Сапроптерин Dipharma е лекарство, което се използва за лечение на високи нива на фенилаланин в кръвта при възрастни и деца от всички възрасти с генетичните заболявания фенилкетонурия (ФКУ) или тетрахидробиоптеринов (BH4) дефицит.

При пациенти с тези заболявания аминокиселината фенилаланин от протеините в храната не може да се обработва в организма. В резултат на това фенилаланин се натрупва в кръвта до аномално високи нива, което причинява проблеми в нервната система.

Сапроптерин Dipharma съдържа активното вещество сапроптерин (*sapropterin*) и е „генерично лекарство“. Това означава, че Сапроптерин Dipharma съдържа същото активно вещество и действа по същия начин като „референтното лекарство“, което вече е разрешено за употреба в ЕС и се нарича Kuvan. За повече информация относно генеричните лекарства вижте документа тип „въпроси и отговори“ [ТУК](#).

Как се използва Сапроптерин Dipharma?

Сапроптерин Dipharma се предлага под формата на разтворими таблетки или прах, които се разтварят във вода и се изпиват. Лекарственият продукт се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да бъде започнато и наблюдавано от лекар с опит в лечението на ФКУ и BH4 дефицит. Важно е при приема на Сапроптерин Dipharma пациентите да спазват хранителен режим с ниско съдържание на фенилаланин и протеини, а приемът на фенилаланин и протеини трябва да се проследява и коригира, за да се гарантира контрол на нивата на фенилаланин и на хранителния баланс. Сапроптерин Dipharma е предназначен за продължителна употреба.

Началната доза Сапроптерин Dipharma зависи от теглото на пациента. След това дозата се коригира в зависимост от нивата на аминокиселини в кръвта, включително фенилаланин. Сапроптерин Dipharma се приема с храна по едно и също време всеки ден, за предпочитане сутрин. При някои пациенти с BH4 дефицит може да се наложи разделяне на дозата на 2 или 3 дози в продължение на деня с цел постигане на най-добър ефект.

Задоволително повлияване се определя като намаляване на фенилаланиновите нива в кръвта с поне 30 % или съгласно зададените от лекаря стойности. Ако това се постигне за един месец, пациентът се определя като „респондент“ и може да продължи да приема Сапроптерин Dipharma.

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



За повече информация относно употребата на Сапроптерин Dipharma вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Сапроптерин Dipharma?

Високите нива на фенилаланин в кръвта се дължат на проблем при разпада на фенилаланин чрез ензима „фенилаланин хидроксилаза“. При пациентите с ФКУ този ензим е дефектен, а при пациентите с ВН4 дефицит има ниски нива на ВН4 — „кофактор“, необходим за правилното функциониране на ензима.

Активното вещество в Сапроптерин Dipharma, сапроптерин, е синтетично копие на ВН4. При пациентите с ФКУ действието му се изразява в повишаване на активността на дефектния ензим, а при пациентите с ВН4 дефицит то заменя липсващия кофактор. Тези действия помагат да се възстанови способността на ензима да преобразува фенилаланин в тирозин, като по този начин се намаляват нивата на фенилаланин в кръвта.

Как е проучен Сапроптерин Dipharma?

Проучвания за ползите и рисковете от активното вещество при одобрените употреби вече са проведени с референтното лекарство Kuvan и не е необходимо да се повтарят със Сапроптерин Dipharma.

Както за всяко лекарство, фирмата е предоставила данни за качеството на Сапроптерин Dipharma. Фирмата е провела също проучване, което показва, че това лекарство е биоеквивалентно на референтното лекарство. Две лекарства са биоеквивалентни, когато имат едни и същи нива на активното вещество в организма и поради това се очаква да имат един и същ ефект.

Какви са ползите и рисковете, свързани със Сапроптерин Dipharma?

Тъй като Сапроптерин Dipharma е генерично лекарство и е биоеквивалентно на референтното лекарство, се приема, че ползите и рисковете са същите като при референтното лекарство.

Защо Сапроптерин Dipharma е разрешен за употреба в ЕС?

Европейската агенция по лекарствата заключи, че в съответствие с изискванията на ЕС е доказано, че Сапроптерин Dipharma е със сравнимо качество и представлява биоеквивалент на Kuvan. Поради това Агенцията счита, че както при Kuvan, ползите от употребата на Сапроптерин Dipharma превишават установените рискове и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Сапроптерин Dipharma?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Сапроптерин Dipharma, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Сапроптерин Dipharma непрекъснато се проследяват. Подозиранияте нежелани реакции, съобщени при Сапроптерин Dipharma, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Сапроптерин Dipharma:

Допълнителна информация за Сапроптерин Dipharma можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. Информация относно референтното лекарство също може да се намери на уебсайта на Агенцията.