



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sapropterin Dipharma (*sapropterinum*)

Přehled pro přípravek Sapropterin Dipharma a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Sapropterin Dipharma a k čemu se používá?

Sapropterin Dipharma je léčivý přípravek, který se používá k léčbě vysoké hladiny fenylalaninu v krvi u dospělých a dětí všech věkových skupin s genetickými poruchami fenylketonurií nebo deficitem (nedostatkem) tetrahydrobiopterinu (BH4).

Pacienti s těmito poruchami nedokáží zpracovat aminokyselinu fenylalanin z bílkovin přijímaných v potravě. V důsledku toho se fenylalanin hromadí v krvi a dosahuje abnormálně vysoké hladiny, což vede k potížím s nervovým systémem.

Přípravek Sapropterin Dipharma obsahuje léčivou látku sapropterin a je to „generikum“. Znamená to, že přípravek Sapropterin Dipharma obsahuje stejnou léčivou látku a účinkuje stejným způsobem jako „referenční léčivý přípravek“, který je již v EU registrován, a sice přípravek Kuvan. Více informací o generikách naleznete v příslušném dokumentu otázek a odpovědí [zde](#).

Jak se přípravek Sapropterin Dipharma používá?

Přípravek Sapropterin Dipharma je dostupný ve formě rozpustných tablet nebo prášku, který se rozpustí ve vodě a vypije. Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčba musí být zahájena a prováděna pod dohledem lékaře, který má zkušenosti s léčbou fenylketonurie a deficitu BH4. Je důležité, aby při užívání přípravku Sapropterin Dipharma pacienti pokračovali s dietou s nízkým obsahem fenylalaninu a bílkovin. Příjem fenylalaninu a bílkovin musí být sledován a upraven, aby se zajistila kontrola hladiny fenylalaninu v krvi a nutriční rovnováha. Přípravek Sapropterin Dipharma je určen k dlouhodobému užívání.

Úvodní dávka přípravku Sapropterin Dipharma závisí na tělesné hmotnosti pacienta. Dávka se poté upraví v závislosti na hladinách aminokyselin v krvi, včetně fenylalaninu. Přípravek Sapropterin Dipharma se užívá s jídlem každý den ve stejnou dobu, přednostně ráno. U některých pacientů s deficitem BH4 může být pro zajištění co nejlepšího účinku nutné rozdělit dávku do dvou nebo tří dílčích dávek, které pacient užívá během dne.

Uspokojivá odpověď je definována jako snížení hladiny fenylalaninu v krvi alespoň o 30 % nebo dosažení hladiny fenylalaninu stanovené lékařem. Pokud je tato odpověď dosažena po jednom měsíci

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



léčby, je pacient klasifikován jako „reagující na léčbu“ a v užívání přípravku Sapropterin Dipharma může pokračovat.

Více informací o používání přípravku Sapropterin Dipharma naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Sapropterin Dipharma působí?

Vysoká hladina fenylalaninu v krvi je důsledkem potíží se štěpením fenylalaninu prostřednictvím enzymu s názvem fenylalanin-hydroxyláza. Pacienti s fenylketonurií mají porušené formy tohoto enzymu a pacienti s deficitem BH4 vykazují nízkou hladinu BH4, což je „kofaktor“, který tento enzym potřebuje k řádnému působení.

Léčivá látka v přípravku Sapropterin Dipharma, sapropterin, je syntetická kopie BH4. U pacientů s fenylketonurií působí tak, že zvyšuje aktivitu porušeného enzymu, zatímco u pacientů s deficitem BH4 nahrazuje chybějící kofaktor. Tím napomáhá obnovit schopnost enzymu přeměnit fenylalanin na tyrosin a snížit tak hladinu fenylalaninu v krvi.

Jak byl přípravek Sapropterin Dipharma zkoumán?

Studie přínosů a rizik s léčivou látkou ve schválených použitích již byly provedeny s referenčním léčivým přípravkem Kuvan, a nemusí se tedy opakovat s přípravkem Sapropterin Dipharma.

Stejně jako u všech léčivých přípravků předložila společnost údaje o kvalitě přípravku Sapropterin Dipharma. Společnost také provedla studii, která prokázala, že je přípravek „bioekvivalentní“ s referenčním léčivým přípravkem. Dva léčivé přípravky jsou bioekvivalentní, pokud dosahují stejné hladiny léčivé látky v těle, a proto se očekává, že budou mít stejný účinek.

Jaké jsou přínosy a rizika přípravku Sapropterin Dipharma?

Jelikož přípravek Sapropterin Dipharma je generikum, které je bioekvivalentní s referenčním léčivým přípravkem, jeho přínosy a rizika se považují za shodné s přínosy a riziky referenčního léčivého přípravku.

Na základě čeho byl přípravek Sapropterin Dipharma registrován v EU?

Evropská agentura pro léčivé přípravky dospěla k závěru, že v souladu s požadavky EU bylo prokázáno, že přípravek Sapropterin Dipharma je kvalitativně srovnatelný a bioekvivalentní s přípravkem Kuvan. Stanovisko agentury proto bylo takové, že stejně jako u přípravku Kuvan přínosy přípravku Sapropterin Dipharma převyšují zjištěná rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Sapropterin Dipharma?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Sapropterin Dipharma, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Sapropterin Dipharma průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Sapropterin Dipharma jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Sapropterin Dipharma

Další informace o přípravku Sapropterin Dipharma jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. Na internetových stránkách agentury jsou rovněž k dispozici informace o referenčním léčivém přípravku.