



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sapropterin Dipharma (*sapropterin*)

En oversigt over Sapropterin Dipharma, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Sapropterin Dipharma, og hvad anvendes det til?

Sapropterin Dipharma er et lægemiddel, der anvendes til behandle et højt indhold af phenylalanin i blodet hos voksne og børn i alle aldre med den genetiske lidelse fenyylketonuri (PKU) eller tetrahydrobiopterin-mangel (BH4).

Patienter med disse lidelser kan ikke nedbryde aminosyren phenylalanin fra protein i kosten. På den måde ophobes phenylalanin i blodet til unormalt høje niveauer, hvilket forårsager problemer i nervesystemet.

Sapropterin Dipharma indeholder det aktive stof sapropterin og er et "generisk lægemiddel". Det betyder, at Sapropterin Dipharma indeholder det samme aktive stof og virker på samme måde som et "referencelægemiddel", der allerede er godkendt i EU, og som hedder Kuvan. Der kan indhentes yderligere oplysninger om generiske lægemidler i dokumentet med spørgsmål og svar [her](#).

Hvordan anvendes Sapropterin Dipharma?

Sapropterin Dipharma fås som opløselige tabletter eller som pulver, der opløses i vand og drikkes. Lægemidlet fås kun på recept, og behandlingen skal indledes og overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af PKU- og BH4-mangel. Det er vigtigt, at patienterne fortsætter med en diæt med et lavt indhold af phenylalanin og protein, når de tager Sapropterin Dipharma. Desuden skal deres indtag af phenylalanin og protein overvåges og justeres for at sikre, at phenylalaninniveauet i blodet og kostbalancen er under kontrol. Sapropterin Dipharma er beregnet til langtidsbehandling.

Startdosen af Sapropterin Dipharma afhænger af patientens vægt. Dosen justeres derefter afhængigt af indholdet af aminosyrer i blodet, herunder phenylalanin. Sapropterin Dipharma tages sammen med et måltid på samme tidspunkt hver dag, helst om morgenen. For visse patienter med BH4-mangel kan det være nødvendigt at dele dosen op i to eller tre doser fordelt over dagen for at opnå den bedste effekt.

En tilfredsstillende respons defineres som et fald i koncentrationen af phenylalanin i blodet på mindst 30 % eller til et niveau, der er fastsat af lægen. Hvis dette er opnået efter en måned, kan patienten klassificeres som "responder" og kan fortsætte med at tage Sapropterin 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



Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Sapropterin Dipharma, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Sapropterin Dipharma?

Det høje indhold af phenylalanin i blodet skyldes et problem med nedbrydningen af phenylalanin via enzymet phenylalaninhydroxylase. Patienter med PKU har defekte udgaver af enzymet, og patienter med BH4-mangel har lave niveauer af BH4, som er en "medvirkende faktor", enzymet skal bruge for at fungere korrekt.

Det aktive stof i Sapropterin Dipharma, sapropterin, er en syntetisk kopi af BH4. Hos patienter med PKU virker det ved at forstærke det defekte enzyms aktivitet, og hos patienter med BH4-mangel erstatter det den medvirkende faktor, der mangler. Dette er med til at gendanne enzymets evne til at omdanne phenylalanin til tyrosin, hvorved koncentrationen af phenylalanin i blodet sænkes.

Hvordan blev Sapropterin Dipharma undersøgt?

Der er allerede foretaget studier af det aktive stofs fordele og risici ved godkendt brug med referencelægemidlet, Kuvan, og de behøver ikke at blive gentaget for Sapropterin Dipharma.

Som for alle lægemidler fremlagde virksomheden data vedrørende kvaliteten af Sapropterin Dipharma. Virksomheden har også udført et studie, der har vist, at det er "bioækvivalent" med referencelægemidlet. To lægemidler er bioækvivalente, når de giver de samme niveauer af det aktive stof i kroppen, og de derfor forventes at have samme effekt.

Hvilke fordele og risici er der forbundet med Sapropterin Dipharma?

Da Sapropterin Dipharma er et generisk lægemiddel og er bioækvivalent med referencelægemidlet, anses dets fordele og risici for at være de samme som for referencelægemidlet.

Hvorfor er Sapropterin Dipharma godkendt i EU?

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede, at det i overensstemmelse med EU's krav er påvist, at Sapropterin Dipharma er af sammenlignelig kvalitet og er bioækvivalent med Kuvan. Det var derfor agenturets opfattelse, at fordelene ved Sapropterin Dipharma opvejer de identificerede risici som for Kuvan, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Sapropterin Dipharma?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre risikofri og effektiv anvendelse af Sapropterin Dipharma.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende brugen af Sapropterin Dipharma løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Sapropterin Dipharma vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Andre oplysninger om Sapropterin Dipharma

Yderligere information om Sapropterin Dipharma findes på agenturets websted under:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. Information om referencelægemidlet findes også på agenturets websted.