



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sapropterin Dipharma (*Sapropterin*)

Übersicht über Sapropterin Dipharma und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Sapropterin Dipharma und wofür wird es angewendet?

Sapropterin Dipharma ist ein Arzneimittel, das zur Behandlung hoher Phenylalaninblutspiegel bei Erwachsenen und Kindern jedes Alters mit den genetischen Störungen Phenylketonurie (PKU) oder Tetrahydrobiopterinmangel (BH4-Mangel) angewendet wird.

Patienten mit diesen Erkrankungen können die Aminosäure Phenylalanin nicht aus Ernährungseinweiß verarbeiten. Dadurch reichert sich Phenylalanin im Blut in abnormal hohen Konzentrationen an, was Probleme im Nervensystem verursacht.

Sapropterin Dipharma enthält den Wirkstoff Sapropterin und ist ein „Generikum“. Dies bedeutet, dass Sapropterin Dipharma denselben Wirkstoff enthält und auf dieselbe Weise wirkt wie ein in der EU bereits zugelassenes Referenzarzneimittel, Kuvan. Weitere Informationen über Generika finden Sie in dem Frage- und Antwort-Dokument [hier](#).

Wie wird Sapropterin Dipharma angewendet?

Sapropterin Dipharma ist als Tabletten zur Herstellung einer Lösung zum Einnehmen oder als Pulver zum Auflösen in Wasser zum Trinken erhältlich. Das Arzneimittel ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich, und die Behandlung muss von einem Arzt eingeleitet und überwacht werden, der über Erfahrung in der Behandlung von PKU und BH4-Mangel verfügt. Es ist wichtig, dass sich die Patienten bei der Einnahme von Sapropterin Dipharma weiterhin phenylalanin- und eiweißarm ernähren, und die Aufnahme von Phenylalanin und Eiweiß in der Nahrung muss überwacht und angepasst werden, um zu gewährleisten, dass der Phenylalaninspiegel im Blut kontrolliert und die Nährstoffzufuhr ausgewogen ist. Sapropterin Dipharma ist zur Langzeitanwendung bestimmt.

Die Anfangsdosis von Sapropterin Dipharma hängt vom Körpergewicht des Patienten ab. Anschließend wird die Dosis in Abhängigkeit von den Aminosäurespiegeln im Blut, einschließlich Phenylalanin, angepasst. Sapropterin Dipharma wird jeden Tag zur gleichen Zeit, vorzugsweise morgens, zusammen mit einer Mahlzeit eingenommen. Bei manchen Patienten mit BH4-Mangel muss die Dosis unter Umständen auf zwei bis drei Gaben über den Tag verteilt werden, um die bestmögliche Wirkung zu erzielen.

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



Als zufriedenstellendes Ansprechen gilt ein Abfall des Phenylalaninspiegels im Blut um mindestens 30 % oder auf einen vom Arzt festgelegten Wert. Wurde dies nach einem Monat erreicht, wird der Patient als „Responder“ eingestuft und kann Sapropterin Dipharma weiter einnehmen.

Weitere Informationen zur Anwendung von Sapropterin Dipharma entnehmen Sie der Packungsbeilage oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Sapropterin Dipharma?

Der hohe Phenylalaninspiegel im Blut ist auf ein Problem beim Abbau von Phenylalanin durch das Enzym Phenylalaninhydroxylase zurückzuführen. Bei Patienten mit PKU liegen fehlerhafte Versionen des Enzyms vor, und Patienten mit BH4-Mangel weisen niedrige Spiegel von BH4 auf, einem „Co-Faktor“, den dieses Enzym benötigt, um normal arbeiten zu können.

Der Wirkstoff in Sapropterin Dipharma, Sapropterin, ist eine synthetische Kopie von BH4. Bei Patienten mit PKU verbessert es die Aktivität des fehlerhaften Enzyms, während es bei Patienten mit BH4-Mangel den fehlenden Co-Faktor ersetzt. Durch diese Wirkweise erhält das Enzym seine Fähigkeit zur Umwandlung von Phenylalanin in Tyrosin wieder zurück, was den Phenylalaninspiegel im Blut senkt.

Wie wurde Sapropterin Dipharma untersucht?

Studien zu Nutzen und Risiken des Wirkstoffs in den genehmigten Anwendungsgebieten wurden bereits mit dem Referenzarzneimittel Kuvan durchgeführt und müssen für Sapropterin Dipharma nicht wiederholt werden.

Wie für jedes Arzneimittel hat das Unternehmen Daten zur Qualität von Sapropterin Dipharma vorgelegt. Das Unternehmen hat ebenfalls eine Studie durchgeführt, die ergab, dass es mit dem Referenzarzneimittel bioäquivalent ist. Zwei Arzneimittel sind bioäquivalent, wenn sie die gleichen Wirkstoffspiegel im Körper bewirken und daher zu erwarten ist, dass sie die gleiche Wirkung haben.

Welcher Nutzen und welche Risiken sind mit Sapropterin Dipharma verbunden?

Da Sapropterin Dipharma ein Generikum und mit dem Referenzarzneimittel bioäquivalent ist, wird davon ausgegangen, dass es den gleichen Nutzen und die gleichen Risiken wie das Referenzarzneimittel aufweist.

Warum wurde Sapropterin Dipharma in der EU zugelassen?

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte zu dem Schluss, dass gemäß den Anforderungen der EU für Sapropterin Dipharma der Nachweis erbracht wurde, dass es eine mit Kuvan vergleichbare Qualität aufweist und mit Kuvan bioäquivalent ist. Die Agentur war daher der Ansicht, dass wie bei Kuvan der Nutzen von Sapropterin Dipharma gegenüber den festgestellten Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Sapropterin Dipharma ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Sapropterin Dipharma, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Sapropterin Dipharma kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Sapropterin Dipharma werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Sapropterin Dipharma

Weitere Informationen zu Sapropterin Dipharma finden Sie auf den Internetseiten der Agentur: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. Informationen zum Referenzarzneimittel finden Sie ebenfalls auf den Internetseiten der Agentur.