



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sapropterin Dipharma (σαπροπτερίνη)

Ανασκόπηση του Sapropterin Dipharma και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Sapropterin Dipharma και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Sapropterin Dipharma είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για την αντιμετώπιση των υψηλών επιπέδων φαινυλαλανίνης στο αίμα σε ενήλικες και παιδιά όλων των ηλικιών με γενετική διαταραχή φαινυλκετονουρίας (PKU) ή ανεπάρκεια τετραϋδροβιοπτερίνης (BH4).

Οι ασθενείς με αυτές τις διαταραχές δεν μπορούν να επεξεργαστούν το αμινοξύ φαινυλαλανίνη που υπάρχει στις πρωτεΐνες των τροφών. Ως εκ τούτου, η φαινυλαλανίνη συσσωρεύεται στο αίμα σε ασυνήθιστα υψηλά επίπεδα, προκαλώντας προβλήματα στο νευρικό σύστημα.

Το Sapropterin Dipharma περιέχει τη δραστική ουσία σαπροπτερίνη και είναι «γενόσημο φάρμακο». Αυτό σημαίνει ότι το Sapropterin Dipharma περιέχει την ίδια δραστική ουσία και δρα κατά τον ίδιο τρόπο με το «φάρμακο αναφοράς» που είναι ήδη εγκεκριμένο στην Ευρωπαϊκή Ένωση (ΕΕ) και ονομάζεται Κυναν. Περισσότερες πληροφορίες για τα γενόσημα φάρμακα περιέχονται στο κείμενο ερωτήσεων-απαντήσεων που διατίθεται [εδώ](#).

Πώς χρησιμοποιείται το Sapropterin Dipharma;

Το Sapropterin Dipharma διατίθεται υπό μορφή διαλυτών δισκίων ή σε μορφή σκόνης, για διάλυση σε νερό και πόση. Το φάρμακο χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και η έναρξη και επίβλεψη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιείται από γιατρό με πείρα στη θεραπεία γενετικών διαταραχών PKU και ανεπάρκειας BH4. Είναι σημαντικό οι ασθενείς να ακολουθούν διατροφή με χαμηλή περιεκτικότητα σε φαινυλαλανίνη και πρωτεΐνες κατά τη λήψη του Sapropterin Dipharma ενώ η πρόσληψη φαινυλαλανίνης και πρωτεϊνών πρέπει να παρακολουθείται και να προσαρμόζεται, ώστε να διασφαλίζεται ο έλεγχος των επιπέδων φαινυλαλανίνης στο αίμα και της διατροφικής ισορροπίας. Το Sapropterin Dipharma προορίζεται για μακροχρόνια χρήση.

Η δόση έναρξης του Sapropterin Dipharma εξαρτάται από το βάρος του ασθενούς. Στη συνέχεια, η δόση προσαρμόζεται ανάλογα με τα επίπεδα αμινοξέων στο αίμα, συμπεριλαμβανομένης της φαινυλαλανίνης. Το Sapropterin Dipharma λαμβάνεται μαζί με γεύμα την ίδια ώρα κάθε μέρα, κατά προτίμηση το πρωί. Για ορισμένους ασθενείς με ανεπάρκεια BH4, η δόση μπορεί να χρειαστεί να διαιρεθεί σε 2 ή 3 δόσεις κατά τη διάρκεια της ημέρας προκειμένου να επιτευχθεί το βέλτιστο αποτέλεσμα.

Ως ικανοποιητική απόκριση ορίζεται η μείωση των επιπέδων φαινυλαλανίνης στο αίμα κατά τουλάχιστον 30% ή η μείωση σε επίπεδο που ορίζεται από τον γιατρό. Εάν αυτό επιτευχθεί μετά από έναν μήνα, ο



ασθενής ταξινομείται ως «ανταποκρινόμενος» και μπορεί να συνεχίσει να λαμβάνει τη θεραπεία με Sapropterin Dipharma.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Sapropterin Dipharma, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Sapropterin Dipharma;

Τα υψηλά επίπεδα φαινυλαλανίνης στο αίμα οφείλονται σε πρόβλημα διάσπασης της φαινυλαλανίνης μέσω του ενζύμου «υδροξυλάση της φαινυλαλανίνης». Οι ασθενείς με γενετική διαταραχή PKU έχουν ελαττωματικές μορφές του ενζύμου και οι ασθενείς με ανεπάρκεια BH4 έχουν χαμηλά επίπεδα BH4, ενός συμπαράγοντα που απαιτείται για την ορθή λειτουργία του συγκεκριμένου ενζύμου.

Η δραστική ουσία του Sapropterin Dipharma, η σαπροπτερίνη, είναι συνθετικό αντίγραφο του BH4. Σε ασθενείς με γενετική διαταραχή PKU δρα ενισχύοντας τη δραστηριότητα του ελαττωματικού ενζύμου και σε ασθενείς με ανεπάρκεια (BH4 αντικαθιστά τον συμπαράγοντα που λείπει. Αυτό βοηθάει στην αποκατάσταση της ικανότητας του ενζύμου να μετατρέπει τη φαινυλαλανίνη σε τυροσίνη, μειώνοντας τα επίπεδα φαινυλαλανίνης στο αίμα.

Ποιες μελέτες εκπονήθηκαν για το Sapropterin Dipharma;

Έχουν ήδη διεξαχθεί μελέτες για το φάρμακο αναφοράς, το Κυναν, προκειμένου να καταδειχθούν τα οφέλη και οι κίνδυνοι της δραστικής ουσίας για τις εγκεκριμένες ενδείξεις και δεν χρειάζεται να επαναληφθούν για το Sapropterin Dipharma.

Όπως για κάθε φάρμακο, η εταιρεία υπέβαλε στοιχεία σχετικά με την ποιότητα του Sapropterin Dipharma. Η εταιρεία διεξήγαγε επίσης μελέτη προκειμένου να αποδειχθεί η «βιοϊσοδυναμία» με το φάρμακο αναφοράς. Δύο φάρμακα είναι βιοϊσοδύναμα όταν παράγουν τα ίδια επίπεδα δραστικής ουσίας στον οργανισμό και επομένως αναμένεται να έχουν την ίδια επίδραση.

Ποια είναι τα οφέλη και οι κίνδυνοι του Sapropterin Dipharma;

Δεδομένου ότι το Sapropterin Dipharma είναι γενόσημο φάρμακο και βιοϊσοδύναμο με το φάρμακο αναφοράς, τα οφέλη και οι κίνδυνοι που συνδέονται με αυτό ταυτίζονται με τα οφέλη και τους κινδύνους του φαρμάκου αναφοράς.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Sapropterin Dipharma στην ΕΕ;

Ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι, σύμφωνα με τις απαιτήσεις της ΕΕ, έχει αποδειχθεί ότι το Sapropterin Dipharma είναι συγκρίσιμης ποιότητας και βιοϊσοδύναμο με το Κυναν. Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός έκρινε ότι, όπως ισχύει για το Κυναν, τα οφέλη του Sapropterin Dipharma υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Sapropterin Dipharma;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Sapropterin Dipharma.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Sapropterin Dipharma τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται με το Sapropterin Dipharma θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Sapropterin Dipharma

Περισσότερες πληροφορίες για το Sapropterin Dipharma διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma.

Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με το φάρμακο αναφοράς διατίθενται επίσης στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού.