



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sapropterin Dipharma (sapropteriin)

Ülevaade ravimist Sapropterin Dipharma ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Sapropterin Dipharma ja milleks seda kasutatakse?

Sapropteriin Dipharma on ravim, mida kasutatakse vere suure fenüülalaniinisalduse raviks täiskasvanutel ja mis tahes vanuses lastel, kellel esinevad sellised geneetilised haigused nagu fenüülketonuuria või tetrahüdriopteriini (BH4) vaegus.

Nende haigustega patsientide organism ei suuda töödelda toiduvalguga saadavat aminohapet fenüülalaniini. Selle tulemusena koguneb verre ebanormaalselt palju fenüülalaniini, mis põhjustab närvisüsteemi probleeme.

Sapropterin Dipharma sisaldab toimeainena sapropteriini ja on geneeriline ravim. See tähendab, et Sapropterin Dipharma sisaldab sama toimeainet ja toimib samamoodi nagu võrdlusravim Kuvan, millel juba on ELis müügiluba. Lisateave geneeriliste ravimite kohta on teabedokumendis [siin](#).

Kuidas Sapropterin Dipharmat kasutatakse?

Sapropterin Dipharmat turustatakse lahustuvate tablettide või pulbrina, mis tuleb vees lahustada ja ära juua. Sapropterin Dipharma on retseptiravim. Ravi tohib alustada fenüülketonuuria ja tetrahüdriopteriini vaeguse ravis kogenud arst ning see peab toimuma tema järelevalve all. Sapropterin Dipharmat võtavad patsiendid peavad kindlasti jätkama fenüülalaniini- ja valguvaest dieeti ning fenüülalaniini- ja valgukogust peab jälgima ja kohandama, et reguleerida vere fenüülalaniinisaldust ja toitainete tasakaalu. Sapropterin Dipharma on ette nähtud pikaajaliseks kasutamiseks.

Sapropterin Dipharma algannus sõltub patsiendi kehamassist. Seejärel annust kohandatakse vastavalt aminohapete, sh fenüülalaniini sisaldusele veres. Sapropterin Dipharmat võetakse koos toiduga iga päev samal kellaajal, eelistatavalt hommikuti. Mõnel tetrahüdriopteriini vaegusega patsiendil võib parima toime saavutamiseks olla vaja jagada ööpäevane annus kaheks või kolmeks manustamiskorraks.

Rahuldav ravivastus on vere fenüülalaniinisalduse vähenemine vähemalt 30% või arsti määratud tasemeni. Kui see saavutatakse ühe kuu jooksul, loetakse patsient ravile reageerinuks ja ta võib jätkata Sapropterin Dipharma võtmist.

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



Lisateavet Sapropterin Dipharma kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Sapropterin Dipharma toimib?

Vere suure fenüülalaniinisalduse põhjus on fenüülalaniini lagunemisel ensüümi fenüülalaniini hüdroksülaasi toimel tekkinud probleem. Fenüülketonuuriaga patsientidel esinevad selle ensüümi defektsed versioonid ning tetrahüdrobiopteriini vaegusega patsientidel on vähe tetrahüdrobiopteriini (selle ensüümi normaalseks funktsioneerimiseks vajalik kofaktor).

Sapropterin Dipharma toimeaine sapropteriin on tetrahüdrobiopteriini sünteetiline koopia. Fenüülketonuuriaga patsientidel tugevdab see defektse ensüümi aktiivsust ja tetrahüdrobiopteriini vaegusega patsientidel asendab see puuduva kofaktori. See aitab taastada ensüümi võimet muundada fenüülalaniini türosiiniks, vähendades seega vere fenüülalaniinisaldust.

Kuidas Sapropterin Dipharmat uuriti?

Võrdlusravimiga Kuvan on juba tehtud toimeaine heakskiidetud kasutamiskiiside kasulikkuse ja riski uuringud ning neid ei ole vaja Sapropterin Dipharmaga korrata.

Nagu iga ravimi korral, esitas ettevõtte Sapropterin Dipharma kvaliteedi andmed. Ettevõtte tegi ka uuringu, mis tõendas, et see on bioekvivalentne võrdlusravimiga. Kaks ravimit on bioekvivalentsed, kui mõlemad ravimid tekitavad organismis sama toimeainesisalduse ja seetõttu on eeldatav toime ühesugune.

Milles seisneb Sapropterin Dipharma kasulikkus ja mis riskid ravimiga kaasnevad?

Et Sapropterin Dipharma on geneeriline ravim ja võrdlusravimiga bioekvivalentne, peetakse tema kasulikkust ja riske samadeks mis võrdlusravimil.

Miks Sapropterin Dipharma ELis heaks kiideti?

Euroopa Raviamet järeldas, et vastavalt ELi nõuetele on tõendatud ravimi Sapropterin Dipharma võrreldav kvaliteet ja bioekvivalentsus ravimiga Kuvan. Seetõttu on amet arvamusel, et nagu ka Kuvani korral, ületab Sapropterin Dipharma kasulikkus sellega kaasnevad riskid ja seda võib kasutada ELis.

Mis meetmed võetakse, et tagada Sapropterin Dipharma ohutu ja efektiivne kasutamine?

Sapropterin Dipharma ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite puhul, tehakse Sapropterin Dipharma kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Sapropterin Dipharma kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Sapropterin Dipharma kohta

Lisateave Sapropterin Dipharma kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. Teave võrdlusravimi kohta on samuti Euroopa Raviameti veebilehel.