



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sapropterin Dipharma (*saproteriini*)

Yleisiä tietoja Sapropterin Dipharmasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

### Mitä Sapropterin Dipharma on ja mihin sitä käytetään?

Sapropterin Dipharma on lääke, jota käytetään veren korkean fenyylialaniinipitoisuuden hoitamiseen aikuisilla ja kaiken ikäisillä lapsilla, joilla on geneettinen fenyyliketonuria (PKU) tai tetrahydrobiopteriniin (BH4) puutos.

Näistä häiriöistä kärsivien potilaiden elimistö ei pysty käsittelemään ruoassa esiintyvää fenyylialaniinimistä aminohappoa. Tämän seurauksena fenyylialaniinia kertyy vereen epätavallisen korkeita pitoisuuksia, mikä aiheuttaa ongelmia hermostossa.

Sapropterin Dipharma vaikuttava aine on saproteriini, ja se on ns. geneerinen lääkevalmiste. Tämä tarkoittaa sitä, että Sapropterin Dipharma sisältää samaa vaikuttavaa ainetta ja vaikuttaa samalla tavoin kuin viitevalmiste Kuvan, joka on jo saanut myyntiluvan EU:ssa. Lisätietoja geneerisistä lääkkeistä on tässä [kysymyksiä ja vastauksia](#) sisältävässä asiakirjassa.

### Miten Sapropterin Dipharmaa käytetään?

Sapropterin Dipharmaa on saatavana liukenevina tabletteina tai jauheena, joka liuotetaan veteen ja juodaan. Lääkevalmistetta saa ainoastaan lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa lääkäri, jolla on kokemusta PKU:n ja BH4-vajeen hoidosta, ja hänen tulee myös valvoa hoitoa. Sapropterin Dipharma -hoidon aikana on tärkeää, että potilas noudattaa sellaista ruokavaliota, joka sisältää vähän fenyylialaniinia ja proteiinia. Fenyylialaniinin ja proteiinin saantia on seurattava ja mukautettava sen varmistamiseksi, että veren fenyylialaniinipitoisuus ja ravintotasapaino ovat hallinnassa. Sapropterin Dipharma on tarkoitettu pitkäaikaiseen käyttöön.

Sapropterin Dipharmann aloitusannos määräytyy potilaan painon mukaan. Annostusta muutetaan myöhemmin veren aminohappojen, mukaan lukien fenyylialaniini, pitoisuuden mukaan. Sapropterin Dipharma otetaan aterian yhteydessä samaan aikaan joka päivä, mieluiten aamuisin. Joillakin BH4:n puutoksesta kärsivillä potilailla vuorokausiannos saattaa olla tarpeen jakaa kahteen tai kolmeen päivän mittaan otettavaan annokseen parhaan vaikutuksen aikaansaamiseksi.

Tyydyttäväksi hoitovasteeksi katsotaan veren fenyylialaniinipitoisuuksien pienentyminen vähintään 30 prosenttia tai lääkärin määrittämälle tasolle. Jos tämä taso on saavutettu hoidon kestätyä yhden kuukauden, hoitovasteen katsotaan kehittyneen ja potilas voi jatkaa Sapropterin Dipharmann käyttöä.

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Lisätietoja Sapropterin Dipharmen käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

## **Miten Sapropterin Dipharma vaikuttaa?**

Korkeat fenyyilalaniinipitoisuudet veressä johtuvat ongelmasta fenyyilalaniinin hajoamisessa, jossa fenyyilalaniinihydroksylaasientsyymi on osallinen. PKU-potilailla kyseinen entsyymi on viallinen. Potilailla, joilla on BH4:n puutos, veren alhainen BH4-pitoisuus saa aikaan sen, ettei entsyymi toimi kunnolla, koska yhteisvaikutusta ei synny.

Sapropterin Dipharmen vaikuttava aine sapropteriini on synteettinen kopio BH4:stä. PKU-potilailla se vaikuttaa tehostamalla viallisen entsyymin toimintaa. BH4:n puutoksesta kärsivillä potilailla se korvaa puuttuvaa BH4:ää ja saa aikaan yhteisvaikutuksen. Tämä auttaa entsyymiä jälleen muuntamaan fenyyilalaniinia tyrosiiniksi, mikä pienentää veren fenyyilalaniinipitoisuutta.

## **Miten Sapropterin Dipharmaa on tutkittu?**

Vaikuttavan aineen hyötyä ja riskejä koskevat tutkimukset hyväksytyissä käyttöaiheissa on jo suoritettu viitevalmiste Kuvanilla, eikä niitä ole tarpeen toistaa Sapropterin Dipharmen osalta.

Kuten kaikkien lääkkeiden osalta tehdään, yhtiö toimitti tietoa Sapropterin Dipharmen laadusta. Yhtiö suoritti myös tutkimuksen, joka osoitti lääkevalmisteen olevan biologisesti samanarvoinen viitevalmisteseen nähden. Kaksi lääkettä ovat biologisesti samanarvoisia, kun ne saavat aikaan saman pitoisuuden vaikuttavaa ainetta elimistössä, jolloin niiden vaikutuksen odotetaan olevan samanlainen.

## **Mitkä ovat Sapropterin Dipharmen hyödyt ja riskit?**

Koska Sapropterin Dipharma on geneerinen lääkevalmiste ja biologisesti samanarvoinen viitevalmisteen kanssa, sen etujen ja riskien katsotaan olevan samat kuin viitevalmisteen.

## **Miksi Sapropterin Dipharma on hyväksytty EU:ssa?**

Euroopan lääkevirasto katsoi, että Sapropterin Dipharmen on osoitettu olevan laadultaan vastaava ja biologisesti samanarvoinen Kuvanin kanssa Euroopan unionin vaatimusten mukaisesti. Näin ollen virasto katsoi, että Kuvanin tavoin Sapropterin Dipharmen hyödyt ovat tunnistettuja riskejä suuremmat ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

## **Miten voidaan varmistaa Sapropterin Dipharmen turvallinen ja tehokas käyttö?**

Suosituksot ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Sapropterin Dipharmen käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Sapropterin Dipharmen käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Sapropterin Dipharmasta ilmoitetut epäillyt haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

## **Muuta tietoa Sapropterin Dipharmasta**

Lisää tietoa Sapropterin Dipharmasta on saatavissa viraston verkkosivustolla osoitteessa [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma). Viraston verkkosivustolla on tietoa myös viitevalmisteesta.