



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Saproptérine Dipharma (*saproptérine*)

Aperçu de Saproptérine Dipharma et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Saproptérine Dipharma et dans quel cas est-il utilisé ?

Saproptérine Dipharma est un médicament utilisé pour traiter les taux élevés de phénylalanine dans le sang chez les adultes et les enfants de tous âges atteints des troubles génétiques suivants: phénylcétonurie (PCU) ou déficit en tétrahydrobioptérine (BH4).

Les patients atteints de ces troubles ne peuvent pas transformer la phénylalanine, un acide aminé contenu dans les protéines alimentaires. Par conséquent, la phénylalanine s'accumule dans le sang pour atteindre des taux anormalement élevés, ce qui cause des problèmes dans le système nerveux.

Saproptérine Dipharma contient la substance active saproptérine et est un « médicament générique ». Cela signifie que Saproptérine Dipharma contient la même substance active et fonctionne de la même manière qu'un « médicament de référence » déjà autorisé dans l'UE, à savoir Kuvan. Pour de plus amples informations sur les médicaments génériques, voir le document sous forme de questions/réponses disponible [ici](#).

Comment Saproptérine Dipharma est-il utilisé ?

Saproptérine Dipharma est disponible sous la forme de comprimés solubles ou de poudre à dissoudre dans l'eau et à boire. Le médicament n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être initié et surveillé par un médecin ayant l'expérience du traitement de la PCU et du déficit en BH4. Il est important que les patients poursuivent un régime pauvre en phénylalanine et en protéines lorsqu'ils prennent Saproptérine Dipharma, et une gestion active des apports alimentaires en phénylalanine et en protéines est nécessaire pour garantir un contrôle adéquat des taux sanguins de phénylalanine et un bon équilibre nutritionnel. Saproptérine Dipharma est destiné à une utilisation à long terme.

La dose initiale de Saproptérine Dipharma dépend du poids du patient. La dose est ensuite ajustée en fonction des taux sanguins d'acides aminés, y compris la phénylalanine. Saproptérine Dipharma est pris lors d'un repas, à la même heure chaque jour, de préférence le matin. Chez certains patients atteints de déficit en BH4, il peut être nécessaire de diviser la dose en 2 ou 3 prises réparties sur la journée, afin d'obtenir l'effet optimal.

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



Une réponse satisfaisante est définie par une réduction d'au moins 30 % des taux sanguins de phénylalanine ou l'atteinte d'un taux défini par le médecin. Si ce résultat est atteint au bout d'un mois, le patient est classé comme « répondeur » et peut continuer à prendre Saproptérine Dipharma.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Saproptérine Dipharma, voir la notice ou contacter votre médecin ou pharmacien.

Comment Saproptérine Dipharma agit-il ?

Les taux élevés de phénylalanine dans le sang sont dus à un problème de dégradation de la phénylalanine par le biais de l'enzyme « phénylalanine hydroxylase ». Les patients atteints de PCU ont des versions défectueuses de l'enzyme et les patients présentant un déficit en BH4 ont des taux faibles de BH4, un « cofacteur » dont l'enzyme a besoin pour fonctionner correctement.

La substance active de Saproptérine Dipharma, la saproptérine, est une version synthétique de la BH4. Chez les patients atteints de PCU, elle agit en augmentant l'activité de l'enzyme défectueuse, tandis que chez les patients atteints de déficit en BH4, elle remplace le cofacteur manquant. Ces actions contribuent à restaurer la capacité de l'enzyme à transformer la phénylalanine en tyrosine, réduisant ainsi les taux de phénylalanine dans le sang.

Quelles études ont été menées sur Saproptérine Dipharma ?

Des études sur les bénéfices et les risques de la substance active dans les utilisations approuvées ont déjà été réalisées avec le médicament de référence Kuvan, et il n'est pas nécessaire de les réitérer pour Saproptérine Dipharma.

Comme pour tous les médicaments, la société a fourni des données sur la qualité de Saproptérine Dipharma. La société a également réalisé une étude qui a montré que Saproptérine Dipharma est « bioéquivalente » au médicament de référence. Deux médicaments sont bioéquivalents lorsqu'ils produisent les mêmes niveaux de substance active dans le corps, avec le même effet attendu.

Quels sont les bénéfices démontrés par Saproptérine Dipharma et quels sont les risques associés à son utilisation ?

Étant donné que Saproptérine Dipharma est un médicament générique et qu'il est bioéquivalent au médicament de référence, ses bénéfices et risques sont considérés comme étant les mêmes que ceux du médicament de référence.

Pourquoi Saproptérine Dipharma est-il autorisé dans l'UE ?

L'Agence européenne des médicaments a conclu que, conformément aux exigences de l'UE, il a été démontré que Saproptérine Dipharma est de qualité comparable à celle de Kuvan et bioéquivalent à ce dernier. Par conséquent, l'Agence a estimé que, comme pour Kuvan, les bénéfices de Saproptérine Dipharma sont supérieurs aux risques identifiés et que l'utilisation de ce médicament au sein de l'UE peut être autorisée.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Saproptérine Dipharma ?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Saproptérine Dipharma ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Saproptérine Dipharma sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés avec Saproptérine Dipharma sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Saproptérine Dipharma :

De plus amples informations sur Saproptérine Dipharma sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous : ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. De plus amples informations relatives au médicament de référence sont également disponibles sur le site web de l'Agence.