



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sapropterin Dipharma (*sapropterin*)

Pregled informacija o lijeku Sapropterin Dipharma i zašto je odobren u EU-u

Što je Sapropterin Dipharma i za što se koristi?

Sapropterin Dipharma je lijek koji se primjenjuje za liječenje visoke razine fenilalanina u krvi odraslih i djece svih dobi s genetskim poremećajima kao što je fenilketonurija (PKU) ili nedostatak tetrahidrobiopterina (BH4).

Bolesnici s tim poremećajima ne mogu preraditi aminokiselinu fenilalanin iz bjelančevine koja se unosi hranom. Zbog toga se fenilalanin nakuplja u krvi do abnormalno visokih razina, uzrokujući probleme u živčanom sustavu.

Sapropterin Dipharma sadrži djelatnu tvar sapropterin te je „generički lijek“. To znači da Sapropterin Dipharma sadrži istu djelatnu tvar i djeluje na jednak način kao i „referentni lijek“ koji je već odobren u EU-u pod nazivom Kuvan. Više informacija o generičkim lijekovima potražite u dokumentu s pitanjima i odgovorima [ovdje](#).

Kako se Sapropterin Dipharma primjenjuje?

Sapropterin Dipharma dostupan je u obliku topivih tableta ili kao prašak koji se otapaju u vodi i piju. Lijek se izdaje samo na recept, a liječenje mora započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju fenilketonurije ili nedostatka tetrahidrobiopterina. Važno je da bolesnici nastave s prehranom s niskom razinom fenilalanina i bjelančevine tijekom uzimanja lijeka Sapropterin Dipharma, a unos fenilalanina i bjelančevine mora se pratiti i prilagoditi kako bi se osigurala kontrola razine fenilalanina u krvi i uravnotežene prehrane. Sapropterin Dipharma namijenjen je za dugoročnu primjenu.

Početna doza lijeka Sapropterin Dipharma ovisi o tjelesnoj težini bolesnika. Doza se zatim prilagođava ovisno o razinama aminokiselina u krvi, uključujući fenilalanin. Sapropterin Dipharma uzima se uz obrok u isto vrijeme svaki dan, po mogućnosti ujutro. Za neke bolesnike s nedostatkom tetrahidrobiopterina dozu će možda trebati podijeliti u dvije do tri doze tijekom dana kako bi se postigao najbolji učinak.

Zadovoljavajući odgovor definira se kao smanjenje razine fenilalanina u krvi za najmanje 30 % ili do razine koju odredi liječnik. Ako se to postigne nakon mjesec dana, bolesnika se klasificira kao „bolesnika koji reagira na lijek“ te može nastaviti uzimati Sapropterin Dipharma.

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



Više informacija o primjeni lijeka Sapropterin Dipharma pročitajte u uputi o lijeku, odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Sapropterin Dipharma?

Visoka razina fenilalanina u krvi uzrokovana je problemom u razgradnji fenilalanina uz pomoć enzima fenilalanin hidrosilaza. Bolesnici s fenilketonurijom imaju defektne verzije enzima, a bolesnici s nedostatkom tetrahidrobiopterina imaju niske razine tetrahidrobiopterina, „kofaktora“ koji je potreban da bi ovaj enzim ispravno funkcionirao.

Djelatna tvar lijeka Sapropterin Dipharma, sapropterin, sintetička je kopija tetrahidrobiopterina. U bolesnika s fenilketonurijom djeluje povećavanjem aktivnosti defektnog enzima, dok u bolesnika s nedostatkom tetrahidrobiopterina zamjenjuje kofaktor koji nedostaje. Ta djelovanja pomažu u ponovnoj uspostavi sposobnosti enzima da pretvara fenilalanin u tirozin, čime se smanjuje razina fenilalanina u krvi.

Kako je Sapropterin Dipharma ispitivan?

Ispitivanja omjera koristi i rizika od djelatne tvari u odobrenim primjenama već su provedena s referentnim lijekom Kuvan i stoga ih nije potrebno ponavljati za lijek Sapropterin Dipharma.

Kao i za svaki lijek, tvrtka je dostavila podatke o kakvoći lijeka Sapropterin Dipharma. Tvrtka je također provela ispitivanje koje je pokazalo da je lijek „bioekvivalentan“ referentnom lijeku. Dva su lijeka bioekvivalentna ako u tijelu postižu iste razine djelatne tvari i stoga se očekuje da imaju isti učinak.

Koje su koristi i rizici od lijeka Sapropterin Dipharma?

Budući da je lijek Sapropterin Dipharma generički lijek te da je bioekvivalentan referentnom lijeku, smatra se da su njegove koristi i rizici isti kao i oni referentnog lijeka.

Zašto je lijek Sapropterin Dipharma odobren u EU-u?

Europska agencija za lijekove zaključila je kako je, u skladu sa zahtjevima EU-a, utvrđeno da lijek Sapropterin Dipharma ima usporedivu kakvoću te da je bioekvivalentan lijeku Kuvan. Stoga je stav Agencije da koristi od lijeka Sapropterin Dipharma, kao i od lijeka Kuvan, nadmašuju identificirane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Sapropterin Dipharma?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Sapropterin Dipharma nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Sapropterin Dipharma kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Sapropterin Dipharma pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Sapropterin Dipharma

Više informacija o lijeku Sapropterin Dipharma dostupno je na službenim stranicama Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. Informacije o referentnom lijeku također se nalaze na službenim stranicama Agencije.