



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sapropterin Dipharma (*szapropterin*)

A Sapropterin Dipharma-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

### **Milyen típusú gyógyszer a Sapropterin Dipharma és milyen betegségek esetén alkalmazható?**

A Sapropterin Dipharma-t a fenilketonuria (PKU) vagy tetrahidro-biopterin (BH4) hiány elnevezésű genetikai rendellenességben szenvedő felnőttek és minden korosztályú gyermekek magas fenilalanin-vérszintjének kezelésére alkalmazzák.

Az ezekben a rendellenességekben szenvedő betegek szervezete az elfogyasztott fehérjékben található, fenilalanin nevű aminosavat nem képes feldolgozni. Ennek eredményeként a fenilalanin rendellenesen magas szintig felhalmozódik a vérben, ami idegrendszeri problémákhoz vezet.

A szapropterin hatóanyagot tartalmazó Sapropterin Dipharma „generikus gyógyszer”. Ez azt jelenti, hogy a Sapropterin Dipharma ugyanazt a hatóanyagot tartalmazza és ugyanolyan módon hat, mint egy, az Európai Unióban (EU) már engedélyezett, Kuvan nevű „referencia-gyógyszer”. A generikus gyógyszerekkel kapcsolatban további információ [ebben](#) a kérdés-válasz dokumentumban található.

### **Hogyan kell alkalmazni a Sapropterin Dipharma-t?**

A Sapropterin Dipharma oldódó tabletta vagy por formájában kapható, amelyeket vízben kell feloldani, majd az oldatot meg kell inni. A gyógyszer csak receptre kapható, és a kezelést a PKU és a BH4-hiány kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie. Fontos, hogy a betegek étrendjében a fenilalanin és a fehérje mennyisége továbbra is alacsony legyen a Sapropterin Dipharma alkalmazásakor, és a fenilalanin- és fehérjefelvételt ellenőrizni kell és be kell állítani annak biztosítása érdekében, hogy a vér fenilalaninszintje és a táplálkozási egyensúly szabályozott legyen. A Sapropterin Dipharma-t hosszú távú alkalmazásra szánták.

A Sapropterin Dipharma kezdő adagja a beteg testsúlyától függ. Az adagot ezt követően a vérben található aminosavak, köztük a fenilalanin szintjétől függően módosítják. A Sapropterin Dipharma-t étkezés közben, minden nap ugyanabban az időpontban, lehetőleg reggel kell bevenni. Egyes BH4-hiányban szenvedő betegeknél a legjobb hatás elérése érdekében szükség lehet a napi adag 2 vagy 3 részre történő felosztására.

---

**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



A kielégítő gyógyszerválaszt a vér fenilalaninszintjének legalább 30%-os vagy az orvos által meghatározott szintet elérő csökkenése jelenti. Ha ezt egy hónap elteltével sikerült elérni, a beteg „reagálónak” minősül, és továbbra is szedheti a Sapropterin Dipharma-t.

A Sapropterin Dipharma alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve forduljon kezelőorvosához vagy gyógyszerészéhez.

## **Hogyan fejt ki hatását a Sapropterin Dipharma?**

A fenilalanin magas vérszintjét a fenilalaninnek a „fenilalanin-hidroxiláz” enzim általi lebontásával kapcsolatos probléma okozza. A PKU-ban szenvedő betegeknél az enzim hibás változata található meg, a BH4-hiányban szenvedő betegeknél pedig alacsony a BH4, az enzim megfelelő működéséhez szükséges „kofaktor” szintje.

A Sapropterin Dipharma hatóanyaga, a szapropterin a BH4 szintetikus másolata. A PKU-ban szenvedő betegeknél úgy fejt ki hatását, hogy fokozza a hibás enzim aktivitását, míg a BH4-hiányban szenvedő betegeknél pótolja a hiányzó kofaktort. Ezek a hatások segítik az enzim azon képességének helyreállítását, hogy a fenilalanint tirozinná alakítsa, ezáltal csökkentve a fenilalanin vérszintjét.

## **Milyen módszerekkel vizsgálták a Sapropterin Dipharma-t?**

A hatóanyag előnyeire és kockázataira irányuló vizsgálatokat a jóváhagyott alkalmazásokban már elvégezték a referencia-gyógyszerrel, a Kuvan-nal, így ezeket a Sapropterin Dipharma esetében nem szükséges megismételni.

Mint minden gyógyszer esetében, a vállalat a Sapropterin Dipharma minőségére vonatkozó adatokat nyújtott be. A vállalat elvégzett egy további vizsgálatot is, amely igazolta a referencia-gyógyszerrel való biológiai egyenértékűséget. Két gyógyszer akkor biológiailag egyenértékű, ha ugyanolyan hatóanyagszintet eredményeznek a szervezetben, így hatásuk várhatóan egyezik.

## **Milyen előnyökkel és kockázatokkal jár a Szapropterin Dipharma alkalmazása?**

Mivel a Sapropterin Dipharma generikus gyógyszer, és biológiailag egyenértékű a referencia-gyógyszerrel, előnyei és kockázatai azonosnak tekinthetők a referencia-gyógyszer előnyeivel és kockázataival.

## **Miért engedélyezték a Sapropterin Dipharma forgalomba hozatalát az EU-ban?**

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy az EU követelményeinek megfelelően a Sapropterin Dipharma minőségi szempontból összehasonlíthatónak és biológiailag egyenértékűnek bizonyult a Kuvan-nal. Ezért az Ügynökségnek az volt a véleménye, hogy a Kuvan-hoz hasonlóan a Sapropterin Dipharma előnyei meghaladják annak azonosított kockázatait, és alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

## **Milyen intézkedések vannak folyamatban a Sapropterin Dipharma biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?**

A Sapropterin Dipharma biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Sapropterin Dipharma alkalmazásával kapcsolatos információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Sapropterin Dipharma alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

## **A Sapropterin Dipharma-val kapcsolatos egyéb információ**

A Sapropterin Dipharma-val kapcsolatban további információ az Ügynökség honlapján található: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma). A referencia-gyógyszerre vonatkozó információ szintén megtalálható az Ügynökség weboldalán.