



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sapropterin Dipharma (*sapropterina*)

Sintesi di Sapropterin Dipharma e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Sapropterin Dipharma e per cosa si usa?

Sapropterin Dipharma è un medicinale utilizzato per il trattamento di livelli ematici elevati di fenilalanina in adulti e bambini di tutte le età affetti dalla patologia genetica fenilchetonuria (PKU) o da carenza di tetraidrobiopterina (BH4).

I pazienti con queste patologie non sono in grado di trasformare l'aminoacido fenilalanina contenuto nelle proteine alimentari. Di conseguenza, la fenilalanina si accumula nel sangue a livelli anormalmente elevati, causando problemi al sistema nervoso.

Sapropterin Dipharma contiene il principio attivo sapropterina ed è un "medicinale generico". Questo significa che Sapropterin Dipharma contiene lo stesso principio attivo e agisce allo stesso modo di un "medicinale di riferimento", già autorizzato nell'UE, denominato Kuvan. Per maggiori informazioni sui medicinali generici, consultare le domande e le risposte cliccando [qui](#).

Come si usa Sapropterin Dipharma?

Sapropterin Dipharma è disponibile in compresse solubili o in polvere, da assumere come soluzione orale in acqua. Il medicinale può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e la terapia deve essere iniziata e controllata da un medico esperto nel trattamento della PKU e della carenza di BH4. Durante il trattamento con Sapropterin Dipharma, è importante che i pazienti continuino a seguire una dieta povera di fenilalanina e di proteine; inoltre, l'assunzione di fenilalanina e di proteine deve essere monitorata e adeguata per garantire il controllo dei livelli di fenilalanina nel sangue e dell'equilibrio nutrizionale. Il trattamento con Sapropterin Dipharma deve essere continuato nel lungo termine.

La dose iniziale di Sapropterin Dipharma dipende dal peso del paziente e deve successivamente adeguata in funzione dei livelli nel sangue di aminoacidi, compresa la fenilalanina. Sapropterin Dipharma deve essere assunto durante i pasti ogni giorno alla stessa ora, preferibilmente al mattino. Per alcuni pazienti con carenza di BH4 può essere necessario suddividere la dose in 2 o 3 somministrazioni nel corso della giornata per un'efficacia ottimale.

Per risposta soddisfacente s'intende una riduzione dei livelli di fenilalanina nel sangue del 30 % almeno o a un livello determinato dal medico. Se tale obiettivo è stato raggiunto dopo un mese, il paziente è classificato come "responsivo" e può continuare ad assumere Sapropterin Dipharma.

Official address Domenico Scarlatti laan 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



Per maggiori informazioni sull'uso di Sapropterin Dipharma, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Sapropterin Dipharma?

I livelli elevati di fenilalanina nel sangue sono dovuti a un problema della sua scomposizione mediante l'enzima "fenilalanina idrossilasi". Questo enzima è difettoso nei pazienti affetti da PKU e i pazienti con carenza di BH4 hanno bassi livelli di BH4, un "cofattore" di cui questo enzima ha bisogno per funzionare correttamente.

Il principio attivo di Sapropterin Dipharma, sapropterina, è una copia sintetica di BH4. Nei pazienti affetti da PKU agisce potenziando l'attività dell'enzima difettoso, mentre in quelli con carenza di BH4 sostituisce il cofattore mancante. Così facendo, contribuisce a ripristinare la capacità dell'enzima di convertire la fenilalanina in tirosina, riducendo in tal modo i livelli di fenilalanina nel sangue.

Quali studi sono stati effettuati su Sapropterin Dipharma?

Studi riguardo ai benefici e ai rischi del principio attivo per gli usi approvati sono già stati effettuati per il medicinale di riferimento, Kuvan, e non è necessario ripeterli per Sapropterin Dipharma.

Come per ogni medicinale, la ditta ha fornito dati sulla qualità di Sapropterin Dipharma. Inoltre, ha effettuato uno studio che ha mostrato la sua "bioequivalenza" rispetto al medicinale di riferimento. Due medicinali sono bioequivalenti quando determinano gli stessi livelli di principio attivo nell'organismo e ci si aspetta che abbiano lo stesso effetto.

Quali sono i benefici e i rischi di Sapropterin Dipharma?

Poiché Sapropterin Dipharma è un medicinale generico ed è bioequivalente al medicinale di riferimento, i suoi benefici e rischi sono considerati uguali a quelli del medicinale di riferimento.

Perché Sapropterin Dipharma è autorizzato nell'UE?

L'Agenzia europea per i medicinali ha concluso che, conformemente ai requisiti dell'UE, Sapropterin Dipharma ha mostrato di possedere una qualità paragonabile e di essere bioequivalente a Kuvan. Pertanto, l'Agenzia ha ritenuto che, come nel caso di Kuvan, i benefici di Sapropterin Dipharma siano superiori ai rischi individuati e il suo uso possa essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Sapropterin Dipharma?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Sapropterin Dipharma sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Sapropterin Dipharma sono costantemente monitorati. Gli effetti indesiderati riportati con Sapropterin Dipharma sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Sapropterin Dipharma

Ulteriori informazioni su Sapropterin Dipharma sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. Anche le informazioni sul medicinale di riferimento si trovano sul sito web dell'Agenzia.