



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sapropterin Dipharma (*sapropterinas*)

Sapropterin Dipharma apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Sapropterin Dipharma ir kam jis vartojamas?

Sapropterin Dipharma – tai vaistas, skiriamas suaugusiesiems ir bet kokio amžiaus vaikams, kurių fenilalanino koncentracija kraujyje yra padidėjusi, sergantiems genetinė liga fenilketonurija (FKU) ar kuriems nustatytas tetrahidrobiopterino (BH4) trūkumas.

Šiomis ligomis sergančių pacientų organizmas negali perdirbti maisto baltymuose esančios aminorūgšties fenilalanino. Dėl to kraujyje kaupiasi pernelyg didelė aminorūgšties koncentracija, sutrikdanti nervų sistemos veiklą.

Sapropterin Dipharma sudėtyje yra veikliosios medžiagos sapropterino, ir tai yra generinis vaistas. Tai reiškia, kad Sapropterin Dipharma sudėtyje yra tos pačios veikliosios medžiagos ir jis veikia tokiu pačiu būdu kaip referencinis vaistas Kuvan, kuris jau registruotas ES. Daugiau informacijos apie generinius vaistus rasite klausimų ir atsakymų dokumente [čia](#).

Kaip vartoti Sapropterin Dipharma?

Sapropterin Dipharma tiekiamas tirpinamųjų tablečių arba miltelių, kuriuos reikia ištirpinti vandenyje ir išgerti, forma. Vaisto galima įsigyti tik pateikus receptą. Gydytąjį turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis FKU ir BH4 trūkumo gydymo patirties. Svarbu, kad Sapropterin Dipharma vartojantys pacientai toliau laikytųsi fenilalaniną ir baltymus ribojančios dietos; būtina stebėti ir koreguoti fenilalanino ir baltymų kiekį, siekiant užtikrinti reikiamą fenilalanino kiekį kraujyje ir mitybinį balansą. Sapropterin Dipharma skirtas ilgalaikiam vartojimui.

Pirminė Sapropterin Dipharma dozė nustatoma pagal paciento svorį. Vėliau dozė koreguojama atsižvelgiant į aminorūgščių, įskaitant fenilalaniną, kiekį kraujyje. Sapropterin Dipharma vartojamas su maistu kasdien tuo pačiu paros metu, geriausia ryte. Norint pasiekti geriausią rezultatą, kai kuriems pacientams, kuriems nustatytas BH4 trūkumas, dozę gali tekti padalinti į 2 ar 3 paros dozes.

Patenkinamu atsaku laikoma, jeigu fenilalanino kiekis kraujyje sumažėjo bent 30 proc. arba jeigu pasiekiamas gydytojo nustatytas kiekis. Jei toks rezultatas pasiekiamas per mėnesį, pacientas laikomas reaguojančiu į gydymą ir gali toliau vartoti 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



Daugiau informacijos apie Sapropterin Dipharma vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Sapropterin Dipharma?

Fenilalanino kiekis kraujyje padidėja dėl sutrikusio fenilalanino skaidymo veikiant fermentui fenilalanino hidroksilazei. FKU sergančių pacientų organizme šis fermentas yra pakitęs, o pacientų, kuriems nustatytas BH4 trūkumas, BH4 kiekis yra sumažėjęs. Jis būtinas, kad šis fermentas tinkamai veiktų.

Sapropterin Dipharma veiklioji medžiaga sapropterinas yra sintetinė BH4 kopija. FKU sergančių pacientų organizme jis stiprina pakitusio fermento aktyvumą; pacientų, kuriems nustatytas BH4 trūkumas, organizme jis pakeičia trūkstamą kofaktorių. Šis poveikis padeda atstatyti fermento gebėjimą fenilalaniną paversti tirozinu ir taip sumažinti fenilalanino kiekį kraujyje.

Kaip buvo tiriamas Sapropterin Dipharma?

Pagal patvirtintas indikacijas vartojamos veikliosios medžiagos naudos ir rizikos santykio tyrimai jau buvo atlikti su referenciniu vaistu Kuvan, todėl su Sapropterin Dipharma jų kartoti nereikia.

Kaip ir kiekvienam vaistui, bendrovė pateikė Sapropterin Dipharma kokybės duomenis. Bendrovė taip pat atliko tyrimą, kuris įrodė, kad šis vaistas yra biologiškai ekvivalentiškas referenciniam vaistui. Du vaistai yra biologiškai ekvivalentiški, kai jie organizme išskiria tiek pat veikliosios medžiagos, todėl jų poveikis turėtų būti toks pat.

Kokia yra Sapropterin Dipharma nauda ir rizika?

Kadangi Sapropterin Dipharma yra generinis vaistas ir įrodytas jo biologinis ekvivalentiškumas referenciniam vaistui, manoma, kad jo nauda ir rizika yra tokia pati kaip ir referencinio vaisto.

Kodėl Sapropterin Dipharma buvo registruotas ES?

Europos vaistų agentūra nusprendė, kad pagal ES reikalavimus įrodyta, jog Sapropterin Dipharma yra panašios kokybės kaip Kuvan ir yra jam biologiškai ekvivalentiškas. Todėl Agentūra laikėsi nuomonės, kad, kaip ir Kuvan, Sapropterin Dipharma nauda yra didesnė už nustatytą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Sapropterin Dipharma vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Sapropterin Dipharma vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Sapropterin Dipharma vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Sapropterin Dipharma šalutinis poveikis kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Sapropterin Dipharma

Daugiau informacijos apie Sapropterin Dipharma rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. Informacijos apie referencinį vaistą taip pat galima rasti Agentūros tinklalapyje.