



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sapropterin Dipharma (*sapropterīns*)

Sapropterin Dipharma pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Sapropterin Dipharma* un kāpēc tās lieto?

Sapropterin Dipharma ir zāles, ko lieto paaugstināta fenilalanīna līmeņa asinīs ārstēšanai visu vecumu pieaugušajiem un bērniem ar ģenētiskiem traucējumiem – fenilketonūriju (FKU) vai tetrahidrobiopterīna (BH4) deficītu.

Pacienti ar šiem traucējumiem nevar pārstrādāt aminoskābi fenilalanīnu no uztura olbaltumvielām. Rezultātā fenilalanīns asinīs uzkrājas līdz patoloģiski augstam līmenim, radot nervu sistēmas traucējumus.

Sapropterin Dipharma satur aktīvo vielu sapropterīnu un ir "ģenēriskas zāles". Tas nozīmē, ka *Sapropterin Dipharma* satur tādu pašu aktīvo vielu un darbojas tāpat kā "atsauces zāles", kas jau ir reģistrētas Eiropas Savienībā (ES) ar nosaukumu *Kuvan*. Sīkāku informāciju par ģenēriskām zālēm skatīt jautājumu un atbilžu dokumentā [šeit](#).

Kā lieto *Sapropterin Dipharma*?

Sapropterin Dipharma ir pieejamas kā šķīstošas tabletes vai pulveris, kas ir jāizšķīdina ūdenī un jāizdzer. Šīs zāles var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi FKU un BH4 deficīta ārstēšanā. Ir svarīgi, lai pacienti, lietojot *Sapropterin Dipharma*, turpinātu ievērot diētu ar zemu fenilalanīna un olbaltumvielu saturu, un fenilalanīna un olbaltumvielu uzņemšana ir jāuzrauga un jāpielāgo, lai nodrošinātu, ka tiek kontrolēts fenilalanīna līmenis asinīs un uztura līdzsvars. *Sapropterin Dipharma* ir paredzētas ilgstošai lietošanai.

Sapropterin Dipharma sākumdeva ir atkarīga no pacienta masas. Tad devu pielāgo atkarībā no aminoskābju, tostarp fenilalanīna, līmeņa asinīs. *Sapropterin Dipharma* lieto kopā ar ēdienu katru dienu vienā un tajā pašā laikā, vēlams no rīta. Lai sasniegtu vislabāko iedarbību, dažiem pacientiem ar BH4 nepietiekamību deva, iespējams, jāsadala divās vai trīs daļās un jāieņem dienas gaitā.

Apmierinoša reakcija tiek definēta kā fenilalanīna līmeņa samazināšanās asinīs par vismaz 30 % vai līdz ārsta noteiktam līmenim. Ja tas sasniegts pēc viena mēneša, pacientu klasificē kā "reaģējušo" un viņš var turpināt lietot *Sapropterin Dipharma*.

Papildu informāciju par *Sapropterin Dipharma* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

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



Kā *Sapropterin Dipharma* darbojas?

Augstais fenilalanīna līmenis asinīs ir saistīts ar problēmu, kas saistīta ar fenilalanīna sadalīšanos, izmantojot fermentu fenilalanīnhidroksilāzi. Fenilketonūrijas pacientiem ir defektīvs šā fermenta variants, bet pacientiem ar tetrahydrobiopterīna nepietiekamību ir zems tetrahydrobiopterīna (kofaktora, kas nepieciešams šā fermenta pilnvērtīgai darbībai) līmenis.

Sapropterin Dipharma aktīvā viela sapropterīns ir tetrahydrobiopterīna sintētiska kopija. Fenilketonūrijas pacientiem tas darbojas, palielinot defektīvā fermenta aktivitāti, bet pacientiem ar tetrahydrobiopterīna nepietiekamību tas aizvieto trūkstošo kofaktoru. Šāda rīcība palīdz atjaunot fermenta spēju pārveidot fenilalanīnu par tirozīnu, tādējādi pazeminot fenilalanīna līmeni asinīs.

Kā noritēja *Sapropterin Dipharma* izpēte?

Pētījumi par aktīvās vielas ieguvumu un risku apstiprinātajā lietošanā jau ir veikti ar atsauces zālēm *Kuvan*, un ar *Sapropterin Dipharma* tie nav jāatkārto.

Tāpat kā visām zālēm, uzņēmums iesniedza datus par *Sapropterin Dipharma* kvalitāti. Uzņēmums veica arī pētījumu, kas apliecināja, ka tās ir "bioekvivalentas" atsauces zālēm. Divas zāles ir bioekvivalentas, ja tās nodrošina vienādu aktīvās vielas līmeni organismā un līdz ar to tām ir sagaidāma vienāda iedarbība.

Kāda ir *Sapropterin Dipharma* ieguvuma un riska attiecība?

Tā kā *Sapropterin Dipharma* ir ģenēriskas zāles un bioekvivalentas atsauces zālēm, to ieguvuma un riska attiecību uzskata par līdzvērtīgu atsauces zāļu ieguvuma un riska attiecībai.

Kāpēc *Sapropterin Dipharma* ir reģistrētas ES?

Eiropas Zāļu aģentūra secināja, ka saskaņā ar ES prasībām ir pierādīta *Sapropterin Dipharma* un *Kuvan* kvalitātes līdzvērtība un bioekvivalence. Tādēļ aģentūra uzskatīja, ka, tāpat kā *Kuvan* gadījumā, *Sapropterin Dipharma* ieguvums pārsniedz identificēto risku un tās var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Sapropterin Dipharma* lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Sapropterin Dipharma* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Sapropterin Dipharma* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Sapropterin Dipharma* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Sapropterin Dipharma*

Sīkāka informācija par *Sapropterin Dipharma* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. Aģentūras tīmekļa vietnē ir atrodama arī informācija par atsauces zālēm.