

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

Sapropterine Dipharma (*sapropterine*)

Een overzicht van Sapropterine Dipharma en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Sapropterine Dipharma en wanneer wordt het voorgeschreven?

Sapropterine Dipharma is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van grote hoeveelheden fenylalanine in het bloed bij volwassenen en kinderen van alle leeftijden met de genetische aandoening fenylketonurie (PKU) of tetrahydrobiopterinedeficiëntie (BH4-deficiëntie).

Patiënten met deze aandoeningen kunnen het aminozuur fenylalanine uit eiwitten in de voeding niet verwerken. Hierdoor hoopt fenylalanine zich tot een abnormaal hoog niveau op in het bloed, wat kan leiden tot problemen met het zenuwstelsel.

Sapropterine Dipharma bevat de werkzame stof sapropterine en is een 'generiek geneesmiddel'. Dit betekent dat Sapropterine Dipharma dezelfde werkzame stof bevat en op dezelfde manier werkt als een 'referentiegeneesmiddel' dat al in de EU is toegelaten onder de naam 'Kuvan'. Meer informatie over generieke geneesmiddelen vindt u in het [vraag-en-antwoorddocument](#).

Hoe wordt Sapropterine Dipharma gebruikt?

Sapropterine Dipharma is verkrijgbaar in de vorm van oplosbare tabletten of als poeder, om op te lossen in water en op te drinken. Het geneesmiddel is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door en onder toezicht staan van een arts die ervaring heeft met de behandeling van PKU en BH4-deficiëntie. Het is belangrijk dat patiënten die Sapropterine Dipharma nemen een dieet blijven volgen dat arm is aan fenylalanine en eiwitten. De inname van fenylalanine en eiwitten moet worden gevolgd en aangepast om ervoor te zorgen dat de fenylalaninespiegel in het bloed en de voedingsbalans onder controle blijven. Sapropterine Dipharma is bedoeld voor langdurig gebruik.

De aanvangsdosis van Sapropterine Dipharma hangt af van het lichaamsgewicht van de patiënt. De dosis wordt vervolgens aangepast naargelang het gehalte aan aminozuren in het bloed, waaronder fenylalanine. Sapropterine Dipharma wordt elke dag op hetzelfde tijdstip bij de maaltijd ingenomen, bij voorkeur 's ochtends. Bij sommige patiënten met BH4-deficiëntie dient de totale dagelijkse dosis mogelijk te worden verdeeld over twee of drie toedieningen verspreid over de dag voor een optimale werking.



Er is sprake van een toereikende werking als het gehalte fenylalanine in het bloed daalt met ten minste 30 % of tot een door de arts bepaald niveau. Patiënten bij wie dit effect na één maand is bereikt, worden als 'responders' beschouwd en kunnen Sapropterine Dipharma blijven innemen.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Sapropterine Dipharma.

Hoe werkt Sapropterine Dipharma?

De hoge bloedspiegels van fenylalanine worden veroorzaakt door een probleem met de afbraak van fenylalanine door het enzym 'fenylalaninehydroxylase'. Bij patiënten met PKU is dit enzym gebrekkig en patiënten met BH4-deficiëntie hebben lage concentraties BH4, een 'cofactor' die het enzym nodig heeft om goed te werken.

De werkzame stof in Sapropterine Dipharma, sapropterine, is een synthetische versie van BH4. Bij patiënten met PKU versterkt deze stof de activiteit van het gebrekkige enzym, terwijl bij patiënten met BH4-deficiëntie de ontbrekende cofactor erdoor wordt vervangen. Hierdoor wordt het enzym opnieuw in staat gesteld om fenylalanine om te zetten in tyrosine, waardoor het fenylalaninegehalte in het bloed daalt.

Hoe is Sapropterine Dipharma onderzocht?

De voordelen en risico's van de werkzame stof bij de goedgekeurde toepassingen zijn reeds onderzocht in studies met het referentiegeneesmiddel, Kuvan, en hoeven dus niet nogmaals te worden onderzocht voor Sapropterine Dipharma.

Zoals voor elk geneesmiddel heeft het bedrijf gegevens over de kwaliteit van Sapropterine Dipharma overgelegd. Het bedrijf heeft tevens een studie verricht die heeft aangetoond dat het geneesmiddel 'biologisch equivalent' is aan het referentiegeneesmiddel. Twee geneesmiddelen zijn biologisch equivalent wanneer ze dezelfde concentraties van de werkzame stof in het lichaam produceren en daarom naar verwachting hetzelfde effect zullen hebben.

Welke voordelen en risico's heeft Sapropterine Dipharma?

Aangezien Sapropterine Dipharma een generiek geneesmiddel is en biologisch gelijkwaardig is aan het referentiegeneesmiddel, worden de voordelen en risico's van het middel geacht dezelfde te zijn als die van het referentiegeneesmiddel.

Waarom is Sapropterine Dipharma geregistreerd in de EU?

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft geconcludeerd dat overeenkomstig de EU-eisen is aangetoond dat Sapropterine Dipharma van vergelijkbare kwaliteit is als en biologisch gelijkwaardig is aan Kuvan. Daarom was het Bureau van mening dat, net als bij Kuvan, de voordelen van Sapropterine Dipharma groter zijn dan de vastgestelde risico's en dat het middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Sapropterine Dipharma te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Sapropterine Dipharma, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Sapropterine Dipharma continu gevolgd. Bijwerkingen waargenomen voor Sapropterine Dipharma worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Sapropterine Dipharma

Meer informatie over Sapropterine Dipharma is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. Informatie over het referentiegeneesmiddel staat eveneens op de website van het Geneesmiddelenbureau.