



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sapropterin Dipharma (*sapropteryna*)

Przegląd wiedzy na temat leku Sapropterin Dipharma i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Sapropterin Dipharma i w jakim celu się go stosuje

Sapropterin Dipharma jest lekiem stosowanym w leczeniu wysokiego stężenia fenyloalaniny we krwi u osób dorosłych i dzieci w każdym wieku ze schorzeniami genetycznymi – fenyloketonurią (ang. PKU, phenylketonuria) lub niedoborem tetrahydrobiopteriny (ang. BH4, tetrahydrobiopterin).

Pacjenci z tymi schorzeniami nie są w stanie przetwarzać aminokwasu fenyloalaniny znajdującego się w białkach pokarmowych. W rezultacie fenyloalanina gromadzi się we krwi, dochodząc do nieprawidłowo wysokiego poziomu, co powoduje zaburzenia w układzie nerwowym.

Sapropterin Dipharma jest lekiem generycznym zawierającym substancję czynną sapropterynę. Oznacza to, że lek Sapropterin Dipharma zawiera tę samą substancję czynną oraz działa w ten sam sposób co lek referencyjny o nazwie Kuvan, który jest już dopuszczony do obrotu w UE. Więcej informacji na temat leków generycznych znajduje się w dokumencie z pytaniami i odpowiedziami [tutaj](#).

Jak stosować lek Sapropterin Dipharma

Lek Sapropterin Dipharma jest dostępny w postaci tabletek rozpuszczalnych lub proszku, które rozpuszcza się w wodzie, a następnie połyka. Lek wydawany na receptę. Leczenie prowadzi i nadzoruje lekarz z doświadczeniem w leczeniu PKU i niedoboru BH4. Ważne jest, aby pacjenci stosujący lek Sapropterin Dipharma kontynuowali dietę ubogą w fenyloalaninę i białko, a spożycie fenyloalaniny i białka było monitorowane i dostosowywane, aby zapewnić kontrolę poziomu fenyloalaniny we krwi oraz równowagę żywieniową. Lek Sapropterin Dipharma jest przeznaczony do długotrwałego stosowania.

Dawka początkowa leku Sapropterin Dipharma zależy od masy ciała pacjenta. Dawkę następnie dostosowuje się w zależności od poziomu aminokwasów we krwi, w tym fenyloalaniny. Lek Sapropterin Dipharma przyjmuje się wraz z posiłkiem codziennie o tej samej porze, najlepiej rano. W przypadku niektórych pacjentów z niedoborem BH4, w celu uzyskania najlepszego efektu, może być konieczne rozłożenie dawki na dwie lub trzy dawki w ciągu dnia.

Satysfakcjonującą odpowiedź na leczenie definiuje się jako zmniejszenie poziomu fenyloalaniny we krwi o co najmniej 30% lub do poziomu określonego przez lekarza. Jeżeli udało się to osiągnąć po upływie jednego miesiąca, pacjenta klasyfikuje się jako „osobę reagującą na leczenie” i może on nadal przyjmować lek 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



Więcej informacji o sposobie stosowania leku lek Sapropterin Dipharma znajduje się w ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Sapropterin Dipharma

Wysokie stężenie fenyloalaniny we krwi jest spowodowane zaburzonym rozkładaniem fenyloalaniny przez enzym o nazwie hydroksylaza fenyloalaniny. U pacjentów z PKU występują wadliwe odmiany tego enzymu, a pacjenci z niedoborem BH4 mają niskie stężenie BH4, który jest kofaktorem potrzebnym do prawidłowego działania tego enzymu.

Substancja czynna zawarta w leku Sapropterin Dipharma, sapropteryna, jest syntetyczną kopią BH4. U pacjentów z PKU działa on poprzez zwiększanie aktywności wadliwego enzymu, natomiast u pacjentów z niedoborem BH4 zastępuje brakujący kofaktor. Działania te pomagają przywrócić zdolność enzymu do przekształcania fenyloalaniny w tyrozinę, zmniejszając w ten sposób poziom fenyloalaniny we krwi.

Jak badano lek Sapropterin Dipharma

Badania dotyczące korzyści i ryzyka stosowania substancji czynnej w zatwierdzonych wskazaniach przeprowadzono już z lekiem referencyjnym Kuvan, i nie ma potrzeby ich powtarzać dla leku Sapropterin Dipharma.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, firma przedstawiła dane na temat jakości leku Sapropterin Dipharma. Firma przeprowadziła również badanie wykazujące, że jest to lek biorównoważny z lekiem referencyjnym. Dwa leki są wtedy biorównoważne, kiedy osiągają takie same stężenia substancji czynnej w organizmie i dlatego spodziewane jest takie samo działanie leków.

Korzyści i ryzyko związane ze stosowaniem leku Sapropterin Dipharma

Ponieważ lek Sapropterin Dipharma jest lekiem generycznym, biorównoważnym z lekiem referencyjnym, uznaje się, że z jego stosowaniem wiązą się takie same korzyści i ryzyko jak w przypadku leku referencyjnego.

Podstawy dopuszczenia leku Sapropterin Dipharma do obrotu w UE

Europejska Agencja Leków uznała, że – zgodnie z wymogami UE – wykazano, że lek Sapropterin Dipharma charakteryzuje się porównywalną jakością i jest biorównoważny w stosunku do leku Kuvan. Dlatego też Agencja wyraziła opinię, że – podobnie jak w przypadku leku Kuvan – korzyści ze stosowania leku Sapropterin Dipharma przewyższają rozpoznane ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Sapropterin Dipharma

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Sapropterin Dipharma w Charakterystyce Produktu Leczniczego i Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Sapropterin Dipharma są stale monitorowane. Zgłaszane podejrzewane działania niepożądane leku Sapropterin Dipharma są starannie oceniane i podejmowane są wszystkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Sapropterin Dipharma

Dalsze informacje na temat leku Sapropterin Dipharma znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. Informacje dotyczące leku referencyjnego również znajdują się na stronie internetowej Agencji.