



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sapropterina Dipharma (*sapropterina*)

Resumo sobre Sapropterina Dipharma e porque está autorizado na UE

### O que é Sapropterina Dipharma e para que é utilizado?

Sapropterina Dipharma é um medicamento utilizado para o tratamento de níveis elevados de fenilalanina no sangue em adultos e em crianças de todas as idades com as doenças genéticas fenilcetonúria (PKU) e deficiência em tetrahydrobiopterina (BH4).

As pessoas com estas doenças não sintetizam o aminoácido fenilalanina obtido dos alimentos que contêm proteínas. Por conseguinte, a fenilalanina acumula-se no sangue, atingindo níveis excessivamente elevados, e causa problemas no sistema nervoso.

Sapropterina Dipharma contém a substância ativa sapropterina e é um medicamento genérico, o que significa que contém a mesma substância ativa e funciona da mesma forma que um medicamento de referência já autorizado na UE denominado Kuvan. Para mais informações sobre medicamentos genéricos, ver o documento de perguntas e respostas [aqui](#).

### Como se utiliza Sapropterina Dipharma?

Sapropterina Dipharma está disponível na forma de comprimidos solúveis e de pó para dissolver em água e beber. O medicamento só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento da PKU e da deficiência em BH4. É importante que os doentes continuem com uma dieta pobre em fenilalanina e proteínas durante o tratamento com Sapropterina Dipharma, devendo a ingestão de fenilalanina e proteínas ser monitorizada e adaptada de modo a garantir o controlo dos níveis de fenilalanina no sangue e do equilíbrio nutricional. Sapropterina Dipharma destina-se a tratamento prolongado.

A dose inicial de Sapropterina Dipharma depende do peso do doente, sendo ajustada de acordo com os níveis sanguíneos de aminoácidos, incluindo fenilalanina. Sapropterina Dipharma é tomado com uma refeição todos os dias à mesma hora, de preferência de manhã. Para alguns doentes com deficiência em BH4, a dose poderá ter de ser dividida em 2 ou 3 doses ao longo do dia para se obter o devido efeito.

Uma resposta satisfatória é definida como uma redução dos níveis de fenilalanina no sangue de, pelo menos, 30 %, ou para um nível definido pelo médico. Se este objetivo for alcançado após um mês, o doente é classificado como «doente que respondeu ao tratamento» e pode continuar a tomar Sapropterina 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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Para mais informações sobre a utilização de Sapropterina Dipharma, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

## **Como funciona Sapropterina Dipharma?**

Os níveis elevados de fenilalanina no sangue devem-se a um problema na degradação da fenilalanina pela enzima fenilalanina hidroxilase. Os doentes com PKU têm versões defeituosas da enzima e os doentes com deficiência em BH4 têm níveis reduzidos de BH4, um cofator de que a enzima precisa para funcionar corretamente.

A substância ativa de Sapropterina Dipharma, a sapropterina, é uma cópia sintética da BH4. Nos doentes com PKU, a sapropterina funciona melhorando a atividade da enzima defeituosa e, nos doentes com deficiência em BH4, substituindo o cofator em falta. Estas ações ajudam a restaurar a capacidade da enzima para converter a fenilalanina em tirosina, reduzindo, desse modo, os níveis de fenilalanina no sangue.

## **Como foi estudado Sapropterina Dipharma?**

Os estudos sobre os benefícios e os riscos da substância ativa nas utilizações aprovadas foram já realizados com o medicamento de referência, Kuvan, e não necessitam ser repetidos para Sapropterina Dipharma.

Tal como para todos os medicamentos, a empresa apresentou dados sobre a qualidade de Sapropterina Dipharma. A empresa também realizou um estudo que demonstrou que é bioequivalente ao medicamento de referência. Dois medicamentos são bioequivalentes quando produzem os mesmos níveis de substância ativa no organismo e por isso é esperado que tenham o mesmo efeito.

## **Quais os benefícios e riscos de Sapropterina Dipharma?**

Sapropterina Dipharma é um medicamento genérico e é bioequivalente ao medicamento de referência, os seus benefícios e riscos são considerados idênticos aos do medicamento de referência.

## **Porque está Sapropterina Dipharma autorizado na UE?**

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que, em conformidade com os requisitos da UE, Sapropterina Dipharma demonstrou ter uma qualidade comparável e ser bioequivalente ao Kuvan. Por conseguinte, a Agência considerou que, à semelhança do Kuvan, os benefícios de Sapropterina Dipharma são superiores aos riscos identificados e o medicamento pode ser aprovado para utilização na UE.

## **Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Sapropterina Dipharma?**

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Sapropterina Dipharma.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Sapropterina Dipharma são continuamente monitorizados. As suspeitas de efeitos secundários comunicadas com Sapropterina Dipharma são cuidadosamente avaliadas e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

## **Outras informações sobre Sapropterina Dipharma**

Mais informações sobre Sapropterina Dipharma podem ser encontradas no sítio da internet da Agência: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma). Informação sobre o medicamento de referência pode também ser encontrada no sítio da internet da Agência.