



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sapropterină Dipharma (*sapropterină*)

Prezentare generală a Sapropterinei Dipharma și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Sapropterina Dipharma și pentru ce se utilizează?

Sapropterina Dipharma este un medicament utilizat pentru a trata concentrația mare de fenilalanină în sânge la adulți și la copii de toate vârstele care suferă de bolile genetice fenilcetonurie (FCU) sau deficit de tetrahidrobiopterină (BH4).

Pacienții cu aceste boli nu pot prelucra aminoacidul fenilalanină din proteinele alimentare. Prin urmare, fenilalanina se acumulează în sânge ajungând la concentrații anormal de mari și cauzând probleme ale sistemului nervos.

Sapropterina Dipharma conține substanța activă sapropterină și este un „medicament generic”. Acesta lucru înseamnă că Sapropterina Dipharma conține aceeași substanță activă și acționează în același mod cu „medicamentul de referință” autorizat deja în UE, denumit Kuvan. Pentru mai multe informații despre medicamentele generice, citiți documentul cu întrebări și răspunsuri disponibil [aici](#).

Cum se utilizează Sapropterina Dipharma?

Sapropterina Dipharma este disponibilă sub formă de comprimate solubile sau de pulbere, care se dizolvă în apă și se beau. Medicamentul se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul FCU și al deficitului de BH4. Este important ca pacienții să continue regimul sărac în fenilalanine și proteine când iau Sapropterină Dipharma, iar aportul de fenilalanină și proteine trebuie urmărit și ajustat pentru ținerea sub control a concentrației de fenilalanină din sânge și a echilibrului nutrițional. Sapropterina Dipharma este destinată utilizării pe termen lung.

Doza inițială de Sapropterină Dipharma depinde de greutatea pacientului. Doza este apoi ajustată în funcție de concentrația din sânge a aminoacizilor, inclusiv a fenilalaninei. Sapropterina Dipharma se ia în timpul mesei la aceeași oră în fiecare zi, de preferință dimineața. Pentru unii pacienți cu deficit de BH4, poate fi necesară împărțirea dozei zilnice în 2 sau 3 prize distribuite de-a lungul zilei pentru obținerea efectului optim.

Răspunsul satisfăcător este definit ca reducerea concentrației de fenilalanină în sânge cu cel puțin 30 % sau până la un nivel stabilit de medic. Dacă s-a obținut acest lucru după o lună, se consideră că pacientul a răspuns la tratament și poate continua tratamentul cu Sapropterină 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



Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Sapropterinei Dipharma, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Sapropterina Dipharma?

Concentrația mare de fenilalanină în sânge este cauzată de probleme cu descompunerea fenilalaninei de enzima numită „fenilalanină hidroxilază”. Pacienții cu FCU au versiuni defecte ale enzimei, iar pacienții cu deficit de BH4 au valori mici ale BH4, un „cofactor” de care are nevoie această enzimă pentru a funcționa corect.

Substanța activă din Sapropterină Dipharma, sapropterina, este o copie sintetică a BH4. La pacienții cu FCU, funcționează prin îmbunătățirea activității enzimei defecte, iar la pacienții cu deficit de BH4, prin înlocuirea cofactorului lipsă. În acest mod este restabilită capacitatea enzimei de a converti fenilalanina în tirozină și de a reduce astfel concentrația de fenilalanină din sânge.

Cum a fost studiată Sapropterina Dipharma?

Studiile cu privire la beneficiile și riscurile substanței active în cazul utilizărilor autorizate au fost deja efectuate pentru medicamentul de referință, Kuvan, și nu este necesară repetarea acestora pentru Sapropterină Dipharma.

Ca pentru toate medicamentele, compania a pus la dispoziție studii cu privire la calitatea Sapropterinei Dipharma. De asemenea, compania a efectuat un studiu care demonstrează că acest medicament este „bioechivalent” cu medicamentul de referință. Două medicamente sunt bioechivalente atunci când eliberează aceeași cantitate de substanță activă în organism și, ca urmare, se anticipează că au același efect.

Care sunt beneficiile și riscurile asociate cu Sapropterina Dipharma?

Având în vedere că Sapropterina Dipharma este un medicament generic și este bioechivalentă cu medicamentul de referință, beneficiile și riscurile asociate sunt considerate identice cu cele ale medicamentului de referință.

De ce este Sapropterina Dipharma autorizată în UE?

Agenția Europeană pentru Medicamente a concluzionat că, în conformitate cu cerințele UE, s-a demonstrat că Sapropterina Dipharma are o calitate comparabilă și este bioechivalentă cu Kuvan. Prin urmare, agenția a considerat că, la fel ca în cazul Kuvan, beneficiile Sapropterinei Dipharma sunt mai mari decât riscurile identificate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Sapropterinei Dipharma?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Sapropterinei Dipharma, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Sapropterinei Dipharma sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Sapropterină Dipharma sunt evaluate cu atenție și sunt luate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Sapropterină Dipharma

Informații suplimentare cu privire la Sapropterină Dipharma sunt disponibile pe site-ul agenției: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. De asemenea, pe site-ul agenției pot fi găsite informații despre medicamentul de referință.