



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sapropterin Dipharma (*sapropterín*)

Prehľad o lieku Sapropterin Dipharma a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Sapropterin Dipharma a na čo sa používa?

Sapropterin Dipharma je liek, ktorý sa používa na liečbu vysokej hladiny fenylalanínu v krvi u dospelých a detí všetkých vekových skupín s genetickými poruchami, fenylketonúriou (PKU) alebo nedostatkom tetrahydrobiopterínu (BH4).

Pacienti s týmito poruchami nedokážu spracovať aminokyselinu fenylalanín z bielkovín prijatých v strave. Výsledkom je, že fenylalanín sa ukladá v krvi v abnormálne vysokých hladinách, čo spôsobuje problémy nervovej sústavy.

Liek Sapropterin Dipharma obsahuje liečivo sapropterín a je to tzv. generický liek. To znamená, že liek Sapropterin Dipharma obsahuje rovnaké liečivo a účinkuje rovnakým spôsobom ako tzv. referenčný liek, ktorý je už v EÚ povolený pod názvom Kuvan. Viac informácií o generických liekoch sa nachádza v dokumente s otázkami a odpoveďami [tu](#).

Ako sa liek Sapropterin Dipharma užíva?

Liek Sapropterin Dipharma je dostupný vo forme rozpustných tabliet alebo prášku na rozpustenie vo vode a vypitie. Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis a liečbu musí začať a dohliadať na ňu lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou PKU a nedostatku BH4. Je dôležité, aby pri používaní lieku Sapropterin Dipharma pacienti dodržiavali diétu s nízkym obsahom fenylalanínu a bielkovín, pričom sa príjem fenylalanínu a bielkovín musí sledovať a upravovať, aby sa zabezpečila kontrola hladiny fenylalanínu v krvi a výživovej rovnováhy. Liek Sapropterin Dipharma je určený na dlhodobé používanie.

Začiatková dávka lieku Sapropterin Dipharma závisí od telesnej hmotnosti pacienta. Dávka sa potom upraví v závislosti od hladiny aminokyselín v krvi vrátane fenylalanínu. Liek Sapropterin Dipharma sa užíva spolu s jedlom každý deň v rovnakom čase, najlepšie ráno. Pre niektorých pacientov s nedostatkom BH4 môže byť potrebné dávku v priebehu dňa rozdeliť na 2 alebo 3 dávky, aby sa dosiahol čo najlepší účinok.

Dostatočná odpoveď je definovaná ako najmenej 30 % zníženie hladín fenylalanínu v krvi alebo dosiahnutie hladín, ktoré určil lekár. Ak sa to dosiahlo po jednom mesiaci, pacient je klasifikovaný ako tzv. odpovedajúci a môže pokračovať v užívaní lieku Sapropterin Dipharma.



Viac informácií o používaní lieku Sapropterin Dipharma si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

Akým spôsobom liek Sapropterin Dipharma účinkuje?

Vysoké hladiny fenylalanínu v krvi sú dôsledkom problému s rozkladom fenylalanínu pomocou enzýmu fenylalanínhydroxyláza. Pacienti trpiaci fenylketonúriou majú chybné verzie tohto enzýmu a pacienti s nedostatkom BH4 majú nízke hladiny BH4, čo je tzv. kofaktor, ktorý tento enzým potrebuje na správnu funkciu.

Liečivo lieku Sapropterin Dipharma, sapropterín, je syntetická kópia BH4. U pacientov s fenylketonúriou účinkuje tak, že zvyšuje aktivitu chybného enzýmu, zatiaľ čo u pacientov s nedostatkom BH4 nahrádza chýbajúci kofaktor. Týmto účinkami liek pomáha obnovovať schopnosť enzýmu transformovať fenylalanín na tyrozín, čím sa znižuje hladina fenylalanínu v krvi.

Ako bol liek Sapropterin Dipharma skúmaný?

Štúdie, v ktorých sa skúmajú prínosy a riziká liečiva pri schválených použitíach, sa už uskutočnili pri referenčnom lieku Kuvan a nemusia sa opakovať pre liek Sapropterin Dipharma.

Ako pre každý liek, aj pre liek Sapropterin Dipharma spoločnosť predložila údaje o kvalite. Spoločnosť takisto uskutočnila štúdiu, v ktorej sa preukázala biologická rovnocennosť lieku s referenčným liekom. Dva lieky sú biologicky rovnocenné, ak v tele vytvárajú rovnaké hladiny liečiva, a preto sa očakáva, že budú mať rovnaký účinok.

Aké sú prínosy a riziká spájané s liekom Sapropterin Dipharma?

Keďže liek Sapropterin Dipharma je generický liek a je biologicky rovnocenný s referenčným liekom, jeho prínosy a riziká sa považujú za rovnaké ako v prípade referenčného lieku.

Prečo bol liek Sapropterin Dipharma povolený v EÚ?

Európska agentúra pre lieky dospela k záveru, že v súlade s požiadavkami EÚ bola preukázaná porovnateľná kvalita a biologická rovnocennosť lieku Sapropterin Dipharma s liekom Kuvan. Agentúra preto usúdila, že tak, ako v prípade lieku Kuvan, prínos lieku Sapropterin Dipharma je väčší než identifikované riziká a môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Sapropterin Dipharma?

Na bezpečné a účinné užívanie lieku Sapropterin Dipharma boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o užívaní lieku Sapropterin Dipharma sa neustále kontrolujú. Vedľajšie účinky hlásené pri lieku Sapropterin Dipharma sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Sapropterin Dipharma

Ďalšie informácie o lieku Sapropterin Dipharma sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. Informácie o referenčnom lieku sa takisto nachádzajú na webovej stránke agentúry.