



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sapropterin Dipharma (*sapropterin*)

Pregled zdravila Sapropterin Dipharma in zakaj je odobreno v EU

### Kaj je zdravilo Sapropterin Dipharma in za kaj se uporablja?

Sapropterin Dipharma je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje visokih ravni fenilalanina v krvi pri odraslih in otrocih vseh starosti z genskima motnjama fenilketonurijo (PKU) ali pomanjkanjem tetrahidrobiopterina (BH4).

Bolniki s temi motnjami ne morejo razgraditi aminokisline fenilalanin, ki je prisotna v beljakovinah v hrani. Zaradi tega se fenilalanin kopiči v krvi in dosega neobičajno visoko raven, kar povzroča težave z živčnim sistemom.

Zdravilo Sapropterin Dipharma vsebuje učinkovino sapropterin in je „generično zdravilo“. To pomeni, da vsebuje enako učinkovino in ima enak način delovanja kot „referenčno zdravilo“, ki je že odobreno v EU in se imenuje Kuvan. Za več informacij o generičnih zdravilih si oglejte dokument z vprašanji in odgovori, ki je na voljo [tukaj](#).

### Kako se zdravilo Sapropterin Dipharma uporablja?

Zdravilo Sapropterin Dipharma je na voljo v obliki tablet za peroralno raztopino ali praška, ki se raztopijo v vodi in popijejo. Predpisovanje in izdaja zdravila je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem fenilketonurije in pomanjkanja tetrahidrobiopterina. Pomembno je, da bolniki med zdravljenjem z zdravilom Sapropterin Dipharma nadaljujejo z uživanjem prehrane z nizko vsebnostjo fenilalanina in beljakovin. Njihov vnos je treba nadzorovati in prilagajati, da bi zagotovili ustrezno raven fenilalanina v krvi in prehransko uravnoteženost. Zdravilo Sapropterin Dipharma je namenjeno za dolgotrajno uporabo.

Začetni odmerek zdravila Sapropterin Dipharma je odvisen od bolnikove telesne mase. Odmerek se nato prilagodi glede na ravni aminokislin, vključno s fenilalaninom, v krvi. Zdravilo Sapropterin Dipharma se jemlje z obrokom vsak dan ob istem času, najbolje zjutraj. Za doseglo najboljšega učinka bo pri nekaterih bolnikih s pomanjkanjem BH4 odmerek morda treba razdeliti na dva ali tri odmerke, ki jih bolnik vzame čez dan.

Zadovoljiv odziv je opredeljen kot vsaj 30-odstotno znižanje ravni fenilalanina v krvi ali znižanje na raven, ki jo določi zdravnik. Če je to stanje doseženo po enem mesecu, se bolnik opredeli kot „odziven“ in lahko še naprej jemlje zdravilo Sapropterin Dipharma.



Za več informacij o uporabi zdravila Sapropterin Dipharma glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

## **Kako zdravilo Sapropterin Dipharma deluje?**

Visoke ravni fenilalanina v krvi so posledica težav pri razgradnji fenilalanina s pomočjo encima fenilalanin hidroksilaza. Bolniki s fenilketonurijo imajo okvarjeno različico encima, bolniki s pomanjkanjem BH4 pa nizko raven BH4, tj. kofaktorja ki ga encim potrebuje za pravilno delovanje.

Učinkovina zdravila Sapropterin Dipharma, sapropterin, je sintetična kopija BH4. Pri bolnikih s fenilketonurijo deluje tako, da poveča aktivnost okvarjenega encima, pri bolnikih s pomanjkanjem BH4 pa nadomesti manjkajoči kofaktor. S tem se ponovno vzpostavi sposobnost encima, da pretvarja fenilalanin v tirozin, s čimer se zniža raven fenilalanina v krvi.

## **Kako je bilo zdravilo Sapropterin Dipharma raziskano?**

Študije o koristih in tveganjih učinkovine pri odobrenih načinih uporabe so že bile izvedene z referenčnim zdravilom Kuvan, zato jih ni treba ponoviti za zdravilo Sapropterin Dipharma.

Tako kot za vsako zdravilo, je podjetje predložilo podatke o kakovosti zdravila Sapropterin Dipharma. Izvedlo je tudi študijo, ki je pokazala, da je zdravilo bioekvivalentno referenčnemu zdravilu. Dve zdravili sta bioekvivalentni, kadar dosejata enake ravni učinkovine v telesu in imata zato po pričakovanjih enak učinek.

## **Kakšne so koristi in tveganja zdravila Sapropterin Dipharma?**

Ker je zdravilo Sapropterin Dipharma generično zdravilo in je bioekvivalentno referenčnemu zdravilu, so njegove koristi in tveganja enaki kot pri referenčnem zdravilu.

## **Zakaj je bilo zdravilo Sapropterin Dipharma odobreno v EU?**

Evropska agencija za zdravila je zaključila, da je bilo v skladu z zahtevami EU dokazano, da ima zdravilo Sapropterin Dipharma primerljivo raven kakovosti in je bioekvivalentno referenčnemu zdravilu Kuvan. Zato je menila, da koristi zdravila Sapropterin Dipharma, enako kot pri zdravilu Kuvan, odtehtajo znana tveganja in da se zdravilo lahko odobri v EU.

## **Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Sapropterin Dipharma?**

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Sapropterin Dipharma upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Sapropterin Dipharma stalno spremljajo. Domnevni neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Sapropterin Dipharma, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

## **Druge informacije o zdravilu Sapropterin Dipharma**

Nadaljnje informacije za zdravilo Sapropterin Dipharma so na voljo na spletni strani agencije: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma). Informacije o referenčnem zdravilu so prav tako na voljo na spletni strani agencije.