



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sapropterin Dipharma (*sapropterin*)

Sammanfattning av Sapropterin Dipharma och varför det är godkänt inom EU

Vad är Sapropterin Dipharma och vad används det för?

Sapropterin Dipharma är ett läkemedel som används för att behandla höga nivåer av fenylalanin i blodet hos vuxna och barn i alla åldrar som har den genetiska störningen fenylketonuri (PKU) eller brist på tetrahydrobiopterin (BH4).

Patienter med dessa störningar kan inte bryta ned aminosyran fenylalanin ur proteinet i kosten. Detta gör att fenylalanin ansamlas i blodet till onormalt höga nivåer, vilket orsakar problem i nervsystemet.

Sapropterin Dipharma innehåller den aktiva substansen sapropterin och är ett generiskt läkemedel, vilket innebär att Sapropterin Dipharma innehåller samma aktiva substans och verkar på samma sätt som ett "referensläkemedel" som redan är godkänt i EU. Referensläkemedlet är Kuvan. Mer information om generiska läkemedel finns i dokumentet med frågor och svar [här](#).

Hur används Sapropterin Dipharma?

Sapropterin Dipharma finns som lösliga tabletter eller som ett pulver, som ska lösas upp i vatten och drickas. Läkemedlet är receptbelagt och behandling ska inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla PKU och BH4-brist. Det är viktigt att patienterna fortsätter med en kost med låga halter av fenylalanin och protein när de tar Sapropterin Dipharma, och intaget av fenylalanin och protein måste övervakas och justeras så att nivåerna av fenylalanin och näringsbalansen kontrolleras. Sapropterin Dipharma är avsett för långtidsbehandling.

Startdosen av Sapropterin Dipharma beror på patientens vikt. Dosen justeras sedan beroende på nivåerna av aminosyror i blodet, inklusive fenylalanin. Sapropterin Dipharma tas i samband med måltid vid samma tidpunkt varje dag, helst på morgonen. För vissa patienter med BH4-brist kan det vara nödvändigt att dela upp den totala dygnsdosen i två eller tre doser, fördelade över dagen, för att uppnå bästa möjliga effekt.

Tillfredsställande behandlingssvar definieras som en sänkning av nivåerna av fenylalanin i blodet med minst 30 procent eller till en nivå som fastställs av läkaren. Om detta har uppnåtts efter en månad anses patienten ha svarat på behandlingen och kan fortsätta att ta Sapropterin Dipharma.

För mer information om hur du använder Sapropterin Dipharma, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

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



Hur verkar Sapropterin Dipharma?

De höga nivåerna av fenylalanin i blodet beror på problem med att bryta ner fenylalanin med hjälp av enzymet fenylalaninhydroxylas. Patienter med PKU har defekta versioner av enzymet och patienter med BH4-brist har låga nivåer av BH4, en "kofaktor" som detta enzym behöver för att fungera korrekt.

Den aktiva substansen i Sapropterin Dipharma, sapropterin, är en syntetisk kopia av BH4. Hos patienter med PKU verkar den genom att förstärka det defekta enzymets aktivitet och hos patienter med BH4-brist ersätter sapropterin den saknade kofaktorn. Detta bidrar till att återställa enzymets förmåga att omvandla fenylalanin till tyrosin och därigenom sänka nivåerna av fenylalanin i blodet.

Hur har Sapropterin Dipharmas effekt undersökts?

Fördelarna och riskerna med den aktiva substansen vid godkänd användning har redan studerats för referensläkemedlet, Kuvan, och behöver inte studeras igen för Sapropterin Dipharma.

Liksom för alla läkemedel har företaget lagt fram kvalitetsdata för Sapropterin Dipharma. Företaget har också visat i en studie att det är "bioekvivalent" med referensläkemedlet. Två läkemedel är bioekvivalenta när de bildar samma halter av den aktiva substansen i kroppen och förväntas därmed ha samma effekt.

Vilka är fördelarna och riskerna med Sapropterin Dipharma?

Eftersom Sapropterin Dipharma är ett generiskt läkemedel och är bioekvivalent med referensläkemedlet anses dess fördelar och risker vara desamma som för referensläkemedlet.

Varför är Sapropterin Dipharma godkänt i EU?

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann att det styrkts att Sapropterin Dipharma i enlighet med EU:s krav har likvärdig kvalitet och är bioekvivalent med Kuvan. Myndigheten fann därför att fördelarna är större än de konstaterade riskerna, liksom för Kuvan, och att Sapropterin Dipharma kan godkännas för användning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Sapropterin Dipharma?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Sapropterin Dipharma har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Sapropterin Dipharma kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Sapropterin Dipharma utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienter.

Mer information om Sapropterin Dipharma

Mer information om Sapropterin Dipharma finns på EMA:s webbplats:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. Information om referensläkemedlet finns också på EMA:s webbplats.