



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sapropterina Dipharma (*sapropterina*)

Información general sobre Sapropterina Dipharma y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Sapropterina Dipharma y para qué se utiliza?

Sapropterina Dipharma es un medicamento que se utiliza para el tratamiento de la hiperfenilalaninemia (HFA, concentración alta de fenilalanina en la sangre) en adultos y niños de cualquier edad que padecen los trastornos genéticos: deficiencia de fenilcetonuria (PKU) o tetrahidrobiopterina (BH4).

Los pacientes que padecen estos trastornos no pueden procesar el aminoácido fenilalanina de la proteína dietaria. Como resultado, la fenilalanina se acumula en la sangre hasta niveles anormalmente elevados, lo que provoca problemas en el sistema nervioso.

Sapropterina Dipharma contiene el principio activo sapropterina y es un «medicamento genérico», es decir, contiene el mismo principio activo y funciona de la misma manera que el «medicamento de referencia» ya autorizado en la UE denominado Kuvan. Para obtener más información sobre los medicamentos genéricos, puede consultar [aquí](#) el documento de preguntas y respuestas correspondiente.

¿Cómo se usa Sapropterina Dipharma?

Sapropterina Dipharma se presenta en comprimidos solubles o en polvo, que deben disolverse en agua y a continuación beberse. El medicamento solo se podrá dispensar con receta médica y el tratamiento debe iniciarlo y supervisarlo un médico con experiencia en el tratamiento de la PKU y la deficiencia de BH4. Es importante que los pacientes prosigan una dieta baja en fenilalanina y proteínas cuando toman Sapropterina Dipharma, y hay que controlar y ajustar la ingesta de fenilalanina y proteínas para asegurarse de que los niveles de fenilalanina y el equilibrio nutricional están controlados. Sapropterina Dipharma está destinado a un tratamiento a largo plazo.

La dosis inicial de Sapropterina Dipharma depende del peso del paciente. A continuación, la dosis se ajusta en función de los niveles sanguíneos de aminoácidos, incluida la fenilalanina. Sapropterina Dipharma se toma con una comida todos los días a la misma hora, preferentemente por la mañana. En algunos pacientes con deficiencia de BH4 podría ser necesario dividir la dosis en dos o tres tomas a lo largo del día para conseguir el efecto idóneo.

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



La respuesta satisfactoria se define como la reducción de la concentración sanguínea de fenilalanina de al menos un 30% o hasta el nivel que determine el médico. Si esto se consigue al cabo de un mes, el paciente se clasifica como «respondedor» y puede seguir tomando Sapropterina Dipharma.

Para mayor información sobre el uso de Sapropterina Dipharma consulte el prospecto o póngase en contacto con su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Sapropterina Dipharma?

Las concentraciones altas de fenilalanina en la sangre se deben a un problema de degradación de la fenilalanina a través de la enzima «fenilalanina hidroxilasa». Los pacientes con FCU presentan defectos en esta enzima y los pacientes con déficit de BH4 muestran una concentración baja de BH4, un «cofactor» que la enzima necesita para funcionar adecuadamente.

El principio activo de Sapropterina Dipharma, la sapropterina, es una copia sintética de BH4. En pacientes con FCU, actúa potenciando la actividad de la enzima defectuosa, mientras que en pacientes con déficit de BH4 sustituye al cofactor que falta. Estas acciones contribuyen a recuperar la capacidad de la enzima para convertir la fenilalanina en tirosina, reduciéndose así la concentración de fenilalanina en la sangre.

¿Qué tipo de estudios se han realizado con Sapropterina Dipharma?

Los estudios sobre los beneficios y riesgos del principio activo para los usos aprobados se han realizado ya con el medicamento de referencia, Kuvan, y no es necesario repetirlos para Sapropterina Dipharma.

Como para todos los medicamentos, la compañía facilitó datos sobre la calidad de Sapropterina Dipharma. La compañía también realizó un estudio para demostrar que este medicamento es «bioequivalente» con respecto al medicamento de referencia. Dos medicamentos son bioequivalentes cuando se obtienen las mismas concentraciones del principio activo en el organismo y se espera, por tanto, que tengan el mismo efecto.

¿Qué beneficios ha demostrado tener y cuál es el riesgo asociado a Sapropterina Dipharma?

Dado que Sapropterina Dipharma es un medicamento genérico y es bioequivalente al medicamento de referencia, se considera que sus beneficios y riesgos son los mismos que los del medicamento de referencia.

¿Por qué se ha autorizado Sapropterina Dipharma en la UE?

La Agencia Europea de Medicamentos concluyó que, de acuerdo con los requisitos de la UE, Sapropterina Dipharma ha demostrado tener una calidad comparable y ser bioequivalente a Kuvan. Por tanto se considera que, al igual que en el caso de Kuvan, los beneficios de Sapropterina Dipharma son mayores que los riesgos identificados y se recomienda autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Sapropterina Dipharma?

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Sapropterina Dipharma se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Sapropterina Dipharma se controlan de forma continua. Los efectos adversos notificados de Sapropterina Dipharma son evaluados cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otras informaciones sobre Sapropterina Dipharma

Puede encontrar información adicional sobre Sapropterina Dipharma en la página web de la Agencia: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sapropterin-dipharma. La información sobre el medicamento de referencia se puede encontrar asimismo en la página web de la Agencia.