

# Neue Arzneimittel

Information der Arzneimittelkommission der deutschen Ärzteschaft (AkdÄ)



## Kuvan® (Sapropterindihydrochlorid)

### Indikation

Kuvan® wird angewendet:

1. bei erwachsenen Patienten (bis 65 Jahren) und bei pädiatrischen Patienten ab vier Jahren mit Phenylketonurie zur Behandlung der Hyperphenylalaninämie, die nachweislich auf eine solche Therapie ansprechen.
2. zur Behandlung einer Hyperphenylalaninämie bei erwachsenen und pädiatrischen Patienten mit Tetrahydrobiopterin-Mangel, die nachweislich auf eine solche Therapie ansprechen.

### Bewertung

Das Arzneimittel ist eine synthetische Version des Tetrahydrobiopterin, dessen erhöhte Zufuhr bei einem Teil der Patienten mit Phenylketonurie zu einer teilweisen Reaktivierung der das Phenylalanin abbauenden Phenylalaninhydroxylase führen kann. Das Ansprechen muss durch Messen des Phenylalaninspiegels im Blut überprüft werden. Die Gabe von Kuvan® ermöglicht bei einem Teil der Patienten, bei denen der Nachweis von erniedrigten Phenylalaninspiegeln unter Therapie mit Kuvan® erbracht wurde, eine etwas höhere Flexibilität bei der Diätbehandlung. Es handelt sich um eine „Orphan Drug“-Indikation.

### Klinische Studien

Die Wirksamkeit in der Indikation Phenylketonurie wurde in einer begrenzten Anzahl von Patienten (Alter über acht Jahre) nachgewiesen. Eine höhere Flexibilität bei der Diätbehandlung wurde bei etwas mehr als 60 % der 33 Patienten, die einen um etwa 20 % geringeren Phenylalaninspiegel unter der Therapie hatten, nachgewiesen. Patienten mit Tetrahydrobiopterin-Mangel sind selten. Daher wurde für die Indikation Tetrahydrobiopterin-Mangel keine Studie unter Good Clinical Practice-Bedingungen mit Kuvan® durchgeführt, sondern veröffentlichte Studien bei einer begrenzten Zahl von Patienten (n = 16) herangezogen, in denen die Wirksamkeit anhand der Senkung des Blutphenylalaninspiegels, des Anstiegs von Dihydrobiopterin und des Abfalls des Neopterin-Biopterin-Verhältnisses im Urin bestimmt wurde. 14 der Patienten wiesen, gemessen an den dargestellten Parametern, eine Besserung auf.

### Unerwünschte Arzneimittelwirkungen

Häufigste unerwünschte Wirkungen sind Kopfschmerzen (sehr häufig), Rhinorrhö, laryngopharyngeale Schmerzen, verstopfte Nase, Husten, Durchfall, Erbrechen und Bauchschmerzen.

Arzneimittelkommission  
der deutschen Ärzteschaft  
Herbert-Lewin-Platz 1  
10623 Berlin

Postfach 12 08 64  
10598 Berlin

Telefon 030 400456-500  
Telefax 030 400456-555

sekretariat@akdae.de  
www.akdae.de

## Anwendung bei besonderen Patientengruppen



Kuvan® (Sapropterindihydrochlorid)	
<b>Ältere Patienten</b>	Vorsicht bei der Verabreichung bei Patienten über 65 Jahren.
<b>Kinder und Jugendliche</b>	Bei Kindern ab 4 Jahren zugelassen.
<b>Patienten mit eingeschränkter Nierenfunktion</b>	Sicherheit und Wirksamkeit wurde nicht untersucht: Vorsicht bei der Verabreichung.
<b>Patienten mit eingeschränkter Leberfunktion</b>	Sicherheit und Wirksamkeit wurde nicht untersucht: Vorsicht bei der Verabreichung.
<b>Anwendung bei Schwangeren</b>	Anwendung nur, falls strenge diätetische Behandlung Phenylalaninspiegel nicht adäquat absenkt. Vorsicht bei der Verabreichung.
<b>Anwendung bei Stillenden</b>	Sollte nicht angewendet werden.

## Dosierung und Kosten

Kuvan® (Sapropterindihydrochlorid)		
Darreichungsform	Dosis pro Tag <sup>1</sup>	Kosten pro Jahr [€] <sup>2</sup>
Tabletten zur Herstellung einer Lösung zum Einnehmen	<b>PKU:</b> pädiatrische und erwachsene Patienten  Anfangsdosis: 10 mg / kg KG  Erhaltungsdosis: 5–20 mg / kg KG	Erhaltungsdosis: Kinder <sup>3</sup> : 9170,17 – 55.021,01  Erwachsene <sup>4</sup> : 27.510,51 – 128.382,36
	<b>BH4-Mangel:</b> pädiatrische und erwachsene Patienten  Anfangsdosis: bis 2–5 mg / kg KG  Erhaltungsdosis: bis 20 mg / kg KG	Erhaltungsdosis: Kinder <sup>3</sup> : bis 55.021,01  Erwachsene <sup>4</sup> : bis 128.382,36

Stand Lauertaxe: 15.04.2009

<sup>1</sup>weitere Dosierungen sind der Fachinformation zu entnehmen; <sup>2</sup>Kostenberechnung anhand des kostengünstigsten Präparates (hier nur ein Präparat) einschließlich Import; gesetzliche Pflichtrabatte der Apotheken und pharmazeutischen Unternehmen wurden berücksichtigt; <sup>3</sup>Kostenberechnung für ein 30 kg schweres Kind; <sup>4</sup>Kostenberechnung für eine 70 kg schwere Person.

Arzneimittelkommission  
der deutschen Ärzteschaft  
Herbert-Lewin-Platz 1  
10623 Berlin

Postfach 12 08 64  
10598 Berlin

Telefon 030 400456-500  
Telefax 030 400456-555

sekretariat@akdae.de  
www.akdae.de

Aktuelle Informationen über neu zugelassene Arzneimittel in der Europäischen Union; erstellt auf der Basis des Europäischen Öffentlichen Beurteilungsberichts (EPAR) [Kuvan®](#) vom 16.01.2009.