



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/160931/2025
EMA/H/C/006331

Sephience (*sepiapterin*)

Общ преглед на Sephience и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Sephience и за какво се използва?

Sephience е лекарство, което се използва за лечение на хиперфенилаланинемия (ХФА, прекомерно високи нива на фенилаланин в кръвта) при възрастни и деца с фенилкетонурия (ФКУ). ФКУ е наследено заболяване, при което аминокиселината фенилаланин (градивен елемент на протеините) се натрупва в кръвта до необичайно високи нива, което причинява проблеми в нервната система.

Хиперфенилаланинемията се счита за рядко заболяване и Sephience е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 20 май 2021 г. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта](#) на ЕМА.

Sephience съдържа активното вещество сепиаптерин (*sepiapterin*).

Как се използва Sephience?

Sephience се отпуска по лекарско предписание и лечението трябва да бъде започнато и проследявано от лекар с опит в лечението на ФКУ.

Sephience се предлага под формата на прах, който се разтваря във вода или ябълков сок или се смесва с мека храна; приема се веднъж дневно с храна.

За повече информация относно употребата на Sephience вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Sephience?

При пациенти с ФКУ ензим (вид протеин), наречен фенилаланинхидроксилаза (РАН), който превръща фенилаланин в друга аминокиселина, не може да се нагъне правилно и поради това има намалена активност. Това води до натрупване на фенилаланин в кръвта, което причинява симптоми на заболяването.

Активното вещество в Sephience, сепиаптерин, е версия на естествено вещество, необходимо, за да може организъмът да произвежда тетрахидробиптерин (BH4). BH4 помага на РАН да преобразува фенилаланин. Сепиаптеринът намалява нивото на фенилаланин в кръвта по два

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



начина: чрез повишаване на нивата на ВН4 в организма и чрез прикрепяне към и стабилизиране на РНА, което увеличава нейната активност.

Какви ползи от Sephience са установени в проучванията?

В едно основно проучване Sephience доказано намалява нивата на фенилаланин в кръвта.

Първата част от проучването включва 157 пациенти с ФКУ, които получават Sephience в продължение на 14 дни. Приема се, че пациентите на възраст най-малко 2 години, при които нивата на фенилаланин в кръвта са намалели с 15 % или повече (110 пациенти), са се повлияли от лечението и са включени във втората част на проучването, когато са приемали Sephience или плацебо (фиктивно лечение) в продължение на 6 седмици. Основната мярка за ефективност е последващата промяна в кръвните нива на фенилаланин при тези пациенти, чиито кръвни нива на фенилаланин вече са понижали с 30 % или повече в рамките на първата част на проучването.

При пациенти, получавали Sephience, нивата на фенилаланин в кръвта са намалели с около 410 микромола на литър (63 % намаляване спрямо първоначалното ниво) в сравнение с около 16 микромола на литър (1,4 % намаляване) при тези, които са получавали плацебо. Освен това проучването показва, че пациенти, за които е известно, че не отговарят на сапроптерин (друго лекарство за лечение на хиперфенилаланемия), са постигнали намаляване на нивата на фенилаланин в кръвта си с 30 % или повече със Sephience.

Данните от текущо проучване показват също, че ползите от лечението се запазват във времето и позволяват на пациентите да увеличат приема на фенилаланин в диетата си.

Допълнителни данни показват, че намаляването на нивата на фенилаланин в кръвта при пациенти на възраст под 2 години е сходно с това, наблюдавано при по-големи деца.

Какви са рисковете, свързани със Sephience?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Sephience вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Sephience (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват инфекция на горните дихателни пътища (инфекция на носа и гърлото), главоболие, диария и коремни болки. Обезцветените изпражнения и хипофенилаланинемията (ниски нива на фенилаланин) също могат да засегнат до 1 на 10 души.

Защо Sephience е разрешен за употреба в ЕС?

Доказано е, че Sephience значително намалява нивата на фенилаланин в кръвта на пациенти с ФКУ след 6-седмично лечение в сравнение с плацебо. Очаква се това намаляване да помогне за контролиране на заболяването и да осигури значими ползи за здравето. Доказано е, че ефектът върху нивата на фенилаланин се запазва във времето и подобрява качеството на живот на пациентите. Sephience представлява и алтернативно лечение за пациенти, които не могат да използват или не отговарят на съществуващи лекарствени лечения.

Профилът на безопасност на Sephience е обнадеждаващ, като не се съобщават сериозни нежелани реакции.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Sephience са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Sephience?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Sephience, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Sephience непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Sephience, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Sephience

Sephience получава разрешение за употреба, валидно в ЕС, на

Допълнителна информация за Sephience можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sephience.

Дата на последно актуализиране на текста 05-2025.