



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapterin*)

En oversigt over Sephience, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Sephience, og hvad anvendes det til?

Sephience er et lægemiddel til behandling af hyperphenylalaninæmi (HPA, for højt indhold af phenylalanin i blodet) hos voksne og børn med phenylketonuri (PKU). PKU er en arvelig sygdom, hvor aminosyren phenylalanin (en byggesten for proteiner) ophobes i blodet til unormalt høje niveauer, hvilket medfører problemer i nervesystemet.

Hyperphenylalaninæmi er sjælden, og Sephience blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 20. maj 2021. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme på EMA's [websted](#).

Sephience indeholder det aktive stof sepiapterin.

Hvordan anvendes Sephience?

Sephience fås kun på recept, og behandlingen skal påbegyndes og overvåges af en læge, der har erfaring med behandling af PKU.

Sephience fås som et pulver, der opløses i vand eller æblejuice eller blandes med blød mad. Det tages én gang dagligt sammen med et måltid.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Sephience, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Sephience?

Hos patienter med PKU kan et enzym (en type protein) kaldet phenylalaninhydroxylase (PAH), som omdanner fenylalanin til en anden aminosyre, ikke folde sig korrekt og har derfor reduceret aktivitet. Dette medfører ophobning af phenylalanin i blodet, hvilket giver symptomerne på sygdommen.

Det aktive stof i Sephience, sepiapterin, er en version af et naturligt stof, der er nødvendigt for kroppen til at producere tetrahydrobiopterin (BH4). BH4 hjælper PAH med at omdanne fenylalanin. Sepiapterin nedsætter koncentrationen af fenylalanin i blodet på to måder: ved at øge koncentrationen af BH4 i kroppen og ved at binde sig til og stabilisere PHA, hvorved dets aktivitet øges.

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



Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Sephience?

I et hovedstudie blev det påvist, at Sephience nedsætter koncentrationen af fenylalanin i blodet.

Den første del af studiet omfattede 157 patienter med PKU, som fik Sephience i 14 dage. Patienter i alderen mindst to år, hos hvem koncentrationen af fenylalanin i blodet var faldet med 15 % eller mere (110 patienter), blev anset for at reagere på behandlingen og deltog i den anden del af studiet, hvor de fik enten Sephience eller placebo (uvirksom behandling) i seks uger. Det primære effektmål var en yderligere ændring i koncentrationen af fenylalanin i blodet hos de patienter, der i forvejen havde haft et fald på 30 % eller mere i koncentrationen af fenylalanin i blodet i den første del af studiet.

Hos de patienter, der fik Sephience, var faldet i indholdet af fenylalanin i blodet ca. 410 mikromol pr. liter (en reduktion på 63 % i forhold til den oprindelige værdi) sammenlignet med ca. 16 mikromol pr. liter (en reduktion på 1,4 %) hos de patienter, der fik placebo. Desuden viste studiet, at patienter, som vides ikke at reagere på sapropterin (et andet lægemiddel mod hyperphenylalaninæmi), opnåede et fald i indholdet af phenylalanin i blodet på 30 % eller derover med Sephience.

Data fra et igangværende studie viste også, at fordelene ved behandlingen opretholdes over tid og giver patienterne mulighed for at øge indtagelsen af fenylalanin fra deres kost.

Yderligere data viste, at reduktionen i indholdet af phenylalanin i blodet hos patienter under to år svarede til den, der ses hos ældre børn.

Hvilke risici er der forbundet med Sephience?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Sephience fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Sephience (som kan forekomme hos mere end en ud af 10 personer) er infektioner i de øvre luftveje (næse og hals), hovedpine, diarré og mavesmerter.

Misfarvet afføring og hypophenylalaninæmi (lavt indhold af fenylalanin) kan også forekomme hos op til en ud af 10 personer.

Hvorfor er Sephience godkendt i EU?

Sephience har vist sig at reducere indholdet af phenylalanin i blodet betydeligt hos patienter med PKU efter seks ugers behandling sammenlignet med placebo. Disse reduktioner forventes at bidrage til at bekæmpe sygdommen og give meningsfulde sundhedsmæssige fordele. Virkningen på fenylalaninniveauet har vist sig at blive opretholdt over tid og at forbedre patienternes livskvalitet. Sephience er også en alternativ behandling for patienter, der ikke kan bruge eller ikke reagerer på eksisterende behandlinger.

Sikkerhedsprofilen for Sephience er betryggende, og der er ikke indberettet nogen alvorlige bivirkninger.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Sephience opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Sephience anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Sephience anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Sephience løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Sephience vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Sephience

Sephience fik en markedsføringstilladelse med gyldighed i hele EU den

Yderligere information om Sephience findes på agenturets websted:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sephience.

Denne oversigt blev sidst ajourført i 05-2025.