



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapterina*)

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

¿Qué es Sephience y para qué se utiliza?

Sephience es un medicamento indicado para el tratamiento de la hiperfenilalaninemia (HPA, concentraciones excesivas de fenilalanina en sangre) en pacientes adultos y pediátricos con fenilcetonuria (PKU). La PKU es una enfermedad hereditaria en la que el aminoácido fenilalanina (un componente básico de las proteínas) se acumula en la sangre hasta concentraciones anómalamente elevadas, lo que provoca problemas en el sistema nervioso.

La hiperfenilalaninemia es una enfermedad rara, y Sephience fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras) el 20 de mayo de 2021. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web](#) de la EMA.

Sephience contiene el principio activo sepiapterina.

¿Cómo se usa Sephience?

Este 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.

Sephience se presenta en forma de polvo que debe disolverse en agua o zumo de manzana, o mezclarse con alimentos blandos. Se toma una vez al día con alimentos.

Si desea más información sobre el uso de Sephience, lea el prospecto o consulte a un profesional sanitario.

¿Cómo actúa Sephience?

En pacientes con PKU, una enzima (un tipo de proteína) denominada fenilalanina hidroxilasa (PAH), que convierte la fenilalanina en otro aminoácido, no puede plegarse adecuadamente y, por tanto, presenta una actividad reducida. Esto da lugar a una acumulación de fenilalanina en la sangre, lo que provoca los síntomas de la enfermedad.

El principio activo de Sephience, la sepiapterina, es una versión de una sustancia natural necesaria para que el organismo produzca tetrahidrobiopterina (BH4). La BH4 ayuda a la PAH a convertir la

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



fenilalanina. Sepiapterina reduce la concentración de fenilalanina en la sangre de dos maneras: aumentando la concentración de BH4 en el organismo y uniéndose a la PAH y estabilizándola, aumentando así su actividad.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Sephience en los estudios realizados?

En un estudio principal se ha demostrado que Sephience reduce las concentraciones de fenilalanina en la sangre.

En la primera parte del estudio participaron 157 pacientes con PKU que recibieron Sephience durante 14 días. Se consideró que los pacientes de al menos 2 años de edad que presentaron una reducción del 15 % o más en sus concentraciones de fenilalanina en sangre (110 pacientes) respondían al tratamiento y se les hizo participar en la segunda parte del estudio, en la que recibieron Sephience o placebo (un tratamiento ficticio) durante 6 semanas. El criterio de valoración principal de la eficacia fue un mayor cambio en las concentraciones de fenilalanina en sangre en los pacientes que ya habían experimentado una disminución del 30 % o más de sus concentraciones de fenilalanina en sangre en la primera parte del estudio.

En los pacientes que recibieron Sephience, la reducción de las concentraciones de fenilalanina en sangre fue de alrededor de 410 micromol por litro (reducción del 63 % con respecto a la concentración inicial) en comparación con unos 16 micromol por litro (reducción del 1,4 %) en los que recibieron placebo. Asimismo, el estudio mostró que los pacientes de los que se sabía que no respondían a la sapropterina (otro medicamento para la hiperfenilalaninemia) lograron una reducción de sus concentraciones de fenilalanina en sangre del 30 % o más con Sephience.

Los datos de un estudio en curso también indicaron que los beneficios del tratamiento se mantienen a lo largo del tiempo y permiten a los pacientes aumentar la ingesta de fenilalanina en su dieta.

Asimismo, otros datos indicaron que las reducciones de las concentraciones de fenilalanina en sangre en pacientes menores de 2 años eran similares a las observadas en niños mayores.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Sephience?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Sephience se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Sephience (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son infección de las vías respiratorias superiores (infección de nariz y garganta), dolor de cabeza, diarrea y dolor abdominal. Las heces con cambio de color y la hipofenilalaninemia (concentraciones bajas de fenilalanina) también pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes.

¿Por qué se ha autorizado Sephience en la UE?

Se ha demostrado que Sephience reduce significativamente las concentraciones de fenilalanina en sangre en pacientes con PKU después de 6 semanas de tratamiento en comparación con el placebo. Se espera que estas reducciones ayuden a controlar la enfermedad y aporten beneficios significativos para la salud. Se ha demostrado que el efecto sobre las concentraciones de fenilalanina se mantiene a lo largo del tiempo y que mejora la calidad de vida de los pacientes. Sephience también representa un tratamiento alternativo para los pacientes que no pueden utilizar los tratamientos existentes o no responden a ellos.

El perfil de seguridad de Sephience es tranquilizador y no se han notificado efectos adversos graves.

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Sephience eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

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

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

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

Otra información sobre Sephience

Sephience recibió una autorización de comercialización válida en toda la UE el

Puede encontrar más información sobre el medicamento en la página web de la Agencia:

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

Fecha de la última actualización del presente resumen: 05-2025.