



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapterin*)

Pregled informacija o lijeku Sephience i zašto je odobren u EU-u

Što je Sephience i za što se koristi?

Sephience je lijek koji se koristi za liječenje hiperfenilalaninemije (HPA, prekomjerne razine fenilalanina u krvi) u odraslih i djece s fenilketonurijom (PKU). Fenilketonurija je nasljedna bolest kod koje se aminokiselina fenilalanin (sastavni dio proteina) nakuplja u krvi do abnormalno visokih razina, što uzrokuje probleme u živčanom sustavu.

Hiperfenilalaninemija je rijetka bolest, a lijek Sephience dobio je status „lijeka za rijetku bolest“ 20. svibnja 2021. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu](#) EMA-e.

Lijek Sephience sadrži djelatnu tvar sepiapterin.

Kako se Sephience primjenjuje?

Lijek Sephience izdaje se samo na recept, a liječenje mora započeti i nadzirati liječnik s iskustvom u liječenju fenilketonurije.

Lijek Sephience dostupan je u obliku praška koji se rasprši u vodi ili soku od jabuke ili se pomiješa s mekanom hranom. Uzima se jedanput na dan uz obrok.

Za više informacija o primjeni lijeka Sephience pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Sephience?

U bolesnika s fenilketonurijom, enzim (vrsta proteina) fenilalanin hidroksilaza (PAH), koji pretvara fenilalanin u drugu aminokiselinu, ne može se ispravno presavijati i stoga ima smanjenu aktivnost. To dovodi do nakupljanja fenilalanina u krvi, što uzrokuje simptome bolesti.

Djelatna tvar lijeka Sephience, sepiapterin, verzija je prirodne tvari koja je tijelu potrebna za proizvodnju tetrahidrobiopterina (BH4). BH4 pomaže PAH-u (fenilalanin hidroksilazi) u pretvaranju fenilalanina. Sepiapterin smanjuje razinu fenilalanina u krvi na dva načina: povećanjem razina BH4 u tijelu te vezivanjem na PHA i njegovim stabiliziranjem, čime se povećava njegova aktivnost.

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



Koje su koristi od lijeka Sephience utvrđene u ispitivanjima?

U jednom glavnom ispitivanju pokazalo se da lijek Sephience smanjuje razine fenilalanina u krvi.

U prvom dijelu ispitivanja sudjelovalo je 157 bolesnika s fenilketonurijom koji su primali lijek Sephience tijekom 14 dana. Smatra se da je odgovor na terapiju postignut u bolesnika u dobi od najmanje dvije godine u kojih je zabilježeno smanjenje razine fenilalanina u krvi od 15 % ili više (110 bolesnika) i koji su bili uključeni u drugi dio ispitivanja, tijekom kojeg su šest tjedana primali lijek Sephience ili placebo (prividno liječenje). Glavno mjerilo učinkovitosti bila je dodatna promjena razine fenilalanina u krvi bolesnika koji su već imali smanjenje razine fenilalanina u krvi od 30 % ili više u prvom dijelu ispitivanja.

U bolesnika koji su primali lijek Sephience smanjenje razine fenilalanina u krvi iznosilo je oko 410 mikromola po litri (smanjenje od 63 % u odnosu na početnu razinu) u usporedbi s oko 16 mikromola po litri (smanjenje od 1,4 %) u bolesnika koji su primali placebo. Osim toga, ispitivanje je pokazalo da su bolesnici za koje se znalo da ne reagiraju na sapropterin (drugi lijek protiv hiperfenilalaninemije) postigli smanjenje razine fenilalanina u krvi od 30 % ili više uz primjenu lijeka Sephience.

Podatci iz ispitivanja koje je u tijeku također upućuju na to da se koristi od liječenja održavaju tijekom vremena i omogućuju bolesnicima da povećaju unos fenilalanina iz prehrane.

Dodatni podatci upućuju na to da su smanjenja razine fenilalanina u krvi u bolesnika mlađih od dvije godine bila slična onima zabilježenima u starije djece.

Koji su rizici povezani s lijekom Sephience?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s primjenom lijeka Sephience potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Sephience (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) uključuju infekciju gornjih dišnih puteva (infekciju nosa i grla), glavobolju, proljev i bol u trbuhu (abdomenu). Promjena boje stolice i hipofenilalaninemija (niske razine fenilalanina) također se mogu javiti u manje od 1 na 10 osoba.

Zašto je lijek Sephience odobren u EU-u?

Pokazalo se da se primjenom lijeka Sephience znatno smanjuju razine fenilalanina u krvi u bolesnika s PKU-om nakon šest tjedana liječenja u usporedbi s placebo. Očekuje se da će takva smanjenja pomoći u kontroli bolesti i donijeti znatne zdravstvene koristi. Pokazalo se da se učinak na razine fenilalanina održava tijekom vremena te da se poboljšava kvaliteta života bolesnika. Lijek Sephience također predstavlja alternativno liječenje za bolesnike koji ne mogu primati postojeće terapije ili ne reagiraju na njih.

Sigurnosni profil lijeka Sephience je ohrabrujući, bez prijavljenih ozbiljnih nuspojava.

Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Sephience nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Sephience?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati radi sigurne i učinkovite primjene lijeka Sephience nalaze se u sažetku opisa svojstava i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Sephience kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Sephience pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Sephience

Za lijek Sephience izdano je odobrenje za stavljanje u promet koje je na snazi u EU-u od

Više informacija o lijeku Sephience dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:

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

Pregled informacija posljednji je put ažuriran u 5. 2025.