



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (szepiapterin)

A Sephience-re vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Sephience és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Sephience a hiperfenilalaninémia (HPA, a vér túl magas fenilalanin szintje) kezelésére alkalmazott gyógyszer fenilketonuriában (PKU) szenvedő felnőtteknél és gyermekeknél. A PKU egy örökletes betegség, amelyben a fenilalanin nevű aminosav (a fehérjék építőeleme) rendellenesen magas szintre emelkedik a vérben, ami idegrendszeri problémákat okoz.

Mivel a hiperfenilalaninémia „ritkának” minősül, ezért a Sephience-t 2021. május 20-án „ritka betegség elleni gyógyszerre” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Sephience hatóanyaga a szepiapterin.

Hogyan kell alkalmazni a Sephience-t?

A Sephience csak receptre kapható, és a kezelést a PKU kezelésében tapasztalattal rendelkező orvosnak kell megkezdenie és felügyelnie.

A Sephience por formájában kapható, amelyet vízben vagy almalében kell feloldani, vagy lágy étellel kell összekeverni; naponta egyszer, étkezés közben kell bevenni.

A Sephience alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Sephience?

PKU-ban szenvedő betegeknél a fenilalanint egy másik aminosavvá alakító, fenilalanin-hidroxiláz (PAH) nevű enzim (egy fehérjetípus) nem hajlik megfelelően, ezért aktivitása csökken. Ez a vérben a fenilalanin felhalmozódásához vezet, ami a betegség tüneteit okozza.

A Sephience hatóanyaga, a szepiapterin egy természetes anyag olyan változata, amelyre a szervezetnek a tetrahidroipterin (BH4) előállításához van szüksége. A BH4 segíti a PAH-t a fenilalanin átalakításában. A szepiapterin kétféle módon csökkenti a fenilalanin szintjét a vérben: egyrészt növeli

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



a BH4 szintjét a szervezetben, másrészt a PHA-hoz kötődve és annak stabilizálásával növeli annak aktivitását.

Milyen előnyei voltak a Sephience alkalmazásának a vizsgálatok során?

Egy fő vizsgálatban kimutatták, hogy a Sephience csökkenti a fenilalanin szintjét a vérben.

A vizsgálat első részében 157 PKU-ban szenvedő beteg vett részt, akik 14 napon keresztül Sephience-t kaptak. Azok a legalább 2 éves betegeket, akiknél a vér fenilalaninszintje legalább 15%-kal csökkent (110 beteg), és akiket így a kezelésre reagálónak tekintettek, részt vettek a vizsgálat második részében, amelynek során 6 hétig Sephience-t vagy placebót (hatóanyag nélküli kezelést) kaptak. A hatásosság fő mutatója a vér fenilalaninszintjének további változása volt azoknál a betegeknél, akiknél a vizsgálat első részében már legalább 30%-kal csökkent a vér fenilalaninszintje.

A Sephience-t kapó betegeknél a vér fenilalaninszintjének csökkenése körülbelül 410 mikromol/liter volt (63%-os csökkenés a kezdeti szinthez képest), míg a placebót kapó betegeknél ez az érték körülbelül 16 mikromol/liter volt (1,4%-os csökkenés). A vizsgálat azt is igazolta, hogy azok a betegek, akikről ismert, hogy nem reagáltak a szapropterinre (a hiperfenilalaninémia kezelésére szolgáló másik gyógyszer), a Sephience alkalmazásával legalább 30%-kal csökkentették a fenilalanin vérszintjüket.

Egy folyamatban lévő vizsgálatból származó adatok azt is jelezték, hogy a kezelés előnyei az idő múlásával is fennmaradnak, és lehetővé teszik a betegek számára, hogy növeljék a fenilalanin felvételét a diétából.

További adatok arra utaltak, hogy a fenilalanin vérszintjének csökkenése a 2 évesnél fiatalabb betegeknél hasonló volt az idősebb gyermekeknél megfigyelthez.

Milyen kockázatokkal jár a Sephience alkalmazása?

A Sephience alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Sephience leggyakoribb mellékhatásai (10 beteg közül több mint 1-nél jelentkezhet) a felső légúti fertőzés (orr- és torokfertőzés), a fejfájás, a hasmenés és a hasi fájdalom. Elszíneződött széklet és hipofenilalaninémia (alacsony fenilalaninszint) 10 személy közül legfeljebb 1-nél jelentkezhet.

Miért engedélyezték a Sephience forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Sephience a placebohoz képest igazoltan jelentős mértékben csökkenti a vér fenilalaninszintjét PKU-ban szenvedő betegeknél, 6 hetes kezelést követően; az ilyen csökkenés várhatóan segít kontrollálni a betegséget, és jelentős egészségügyi előnyökkel jár. Kimutatták, hogy a fenilalaninszintre gyakorolt hatás az idő múlásával is fennmarad, és javítja a betegek életminőségét. A Sephience alternatív kezelést is jelent azon betegek számára, akiknél a meglévő kezelések nem alkalmazhatók, vagy nem a betegek reagálnak azokra.

A Sephience biztonságossági profilja megnyugtató, súlyos mellékhatásokat nem jelentettek.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Sephience alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért a gyógyszer alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Sephience biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Sephience biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Sephience alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Sephience alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Sephience-vel kapcsolatos egyéb információ

...-án/-én a Sephience az Európai Unió egész területére érvényes forgalombahozatali engedélyt kapott.

A Sephience-vel kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sephience.

Az áttekintés utolsó aktualizálása: 05-2025.