



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapterin*)

Ħarsa ġenerali lejn Sephience u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Sephience u għal xiex jintuża?

Sephience huwa mediċina li tintuża għat-trattament tal-iperfenilalaninemija (HPA, livelli eċċessivi ta' fenilalanina fid-demm) fl-adulti u fit-tfal bil-fenilketonurja (PKU). Il-PKU hija kundizzjoni ereditarja fejn l-amminoacidu fenilalanina (element kostitwenti għall-proteini) jakkumula fid-demm għal livelli għoljin b'mod anormali, u jikkawża problemi fis-sistema nervuża.

L-iperfenilalaninemija hija rari, u Sephience ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fl-20 ta' Mejju 2021. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjonijiet orfni tinstab fuq is-[sit web](#) tal-EMA.

Sephience fih is-sustanza attiva sepiapterin.

Kif jintuża Sephience?

Sephience jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib, u t-trattament irid jinbeda u jiġi ssorveljat minn tabib b'esperjenza fit-trattament tal-PKU.

Sephience jiġi bħala trab li għandu jinxtered fl-ilma jew fil-meraq tat-tuffieħ, jew jithallat ma' ikel artab; jittieħed darba kuljum mal-ikel.

Għal aktar informazzjoni dwar l-użu ta' Sephience, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

Kif jaħdem Sephience?

F'pazjenti bil-PKU, enzima (tip ta' proteina) imsejha fenilalanina idrossilażi (PAH), li tikkonverti l-fenilalanina f'amminoacidu ieħor, ma tistax tintewa sew u għalhekk għandha attività mnaqqsa. Dan iwassal għal akkumulazzjoni ta' fenilalanina fid-demm, u jikkawża sintomi tal-marda.

Is-sustanza attiva f'Sephience, is-sepiapterin, hija verżjoni ta' sustanza naturali meħtieġa għall-ġisem biex jipproduċi t-tetraidrobapterina (BH4). Il-BH4 tgħin lill-PAH biex tikkonverti l-fenilalanina. Sepiapterin tnaqqas il-livell ta' fenilalanina fid-demm b'żewġ modi: billi żżid il-livelli ta' BH4 fil-ġisem, u billi teħel mal-PAH u tistabbilizzaha, u b'hekk iżid l-attività tagħha.

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



X'inhuma l-benefiċċji ta' Sephience li ħarġu mill-istudji?

Sephience ntwera li jnaqqas il-livelli ta' fenilalanina fid-demm fi studju ewlieni wieħed.

L-ewwel parti tal-istudju involviet 157-il pazjent b'PKU li ngħataw Sephience għal 14-il jum. Dawk li kellhom mill-inqas sentejn li kellhom tnaqqis ta' 15 % jew aktar fil-livelli ta' fenilalanina fid-demm tagħhom (110 pazjenti) tqiesu bħala li rrispondew għat-trattament u kienu involuti fit-tieni parti tal-istudju, fejn ingħataw Sephience jew placebo (trattament fint) għal 6 ġimgħat. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien bidla oħra fil-livelli ta' fenilalanina fid-demm f'dawk il-pazjenti li diġà kellhom tnaqqis ta' 30 % jew aktar fil-livelli ta' fenilalanina fid-demm tagħhom fl-ewwel parti tal-istudju.

Fil-pazjenti li ngħataw Sephience, it-tnaqqis fil-livelli ta' fenilalanina fid-demm kien ta' madwar 410 mikromoli għal kull litru (tnaqqis ta' 63 % mil-livell inizjali) meta mqabbel ma' madwar 16-il mikromolu għal kull litru (tnaqqis ta' 1.4 %) f'dawk li ngħataw il-placebo. Barra minn hekk, l-istudju wera li pazjenti li kienu magħrufa li ma rrispondewx għal sapropterin (medicina oħra għall-iperfenilalaninemija) kisbu tnaqqis fil-livelli ta' fenilalanina fid-demm tagħhom ta' 30 % jew aktar b'Sephience.

Data minn studju li għadu għaddej indikat ukoll li l-benefiċċji tat-trattament jinżammu maż-żmien u jippermettu lill-pazjenti jżidu l-konsum ta' fenilalanina mid-dieta tagħhom.

Data addizzjonali indikat li t-tnaqqis fil-livelli ta' fenilalanina fid-demm f'pazjenti taħt l-età ta' sentejn kien simili għal dak li deher fi tfal akbar.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Sephience?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Sephience, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Sephience (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu infezzjoni fil-parti ta' fuq tal-apparat respiratorju (infezzjoni fl-immieħer u fil-grizmejn), uġiġħ ta' ras, dijarea u uġiġħ addominali (fiż-żaqq). Tibdil fil-kulur tal-ippurgar u ipofenilalaninemija (livelli baxxi ta' fenilalanina) jistgħu jaffettwaw ukoll sa persuna 1 minn kull 10.

Għaliex Sephience ġie awtorizzat fl-UE?

Sephience ntwera li jnaqqas b'mod sinifikanti l-livelli ta' fenilalanina fid-demm f'pazjenti bil-PKU wara 6 ġimgħat ta' trattament meta mqabbel mal-placebo; tnaqqis bħal dan huwa mistenni li jgħin fil-kontroll tal-marda u jipprovdi benefiċċji sinifikattivi għas-saħħa. L-effett fuq il-livelli ta' fenilalanina ntwera li jinżamm maż-żmien, u li jtejjeb il-kwalità tal-ħajja tal-pazjenti. Sephience jirrappreżenta wkoll trattament alternattiv għal pazjenti li ma jistgħux jużaw jew li ma jirrispondux għat-trattament eżistenti.

Il-profil tas-sigurtà ta' Sephience huwa ta' serħan il-moħħ u ma ġie rrapportat ebda effett sekondarju serju.

L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini għaldaqstant iddeċidiet li l-benefiċċji ta' Sephience huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Sephience?

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi r-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom ikunu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Sephience.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Sephience hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Sephience huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Sephience

Sephience rċieva awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq valida fl-UE kollha fi

Aktar informazzjoni dwar Sephience tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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

Din il-ħarsa ġenerali ġiet aġġornata l-aħħar f'05-2025.