



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapteryna*)

Przegląd wiedzy na temat leku Sephience i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Sephience i w jakim celu się go stosuje

Sephience to lek stosowany w leczeniu hiperfenyloalaninemii (HPA, nadmiernego stężenia fenyloalaniny we krwi) u osób dorosłych i dzieci z fenylketonurią (PKU). PKU jest chorobą dziedziczną, w przebiegu której aminokwas fenyloalanina (element budulcowy białek) gromadzi się we krwi w nieprawidłowo wysokim stężeniu, co powoduje problemy w układzie nerwowym.

Ze względu na to, że hiperfenyloalaninemia jest chorobą rzadko występującą, w dniu 20 maja 2021 r. lek Sephience uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Sephience jest sepiapteryna.

Jak stosować lek Sephience

Lek wydawany na receptę. Leczenie powinien rozpoczynać i nadzorować lekarz mający doświadczenie w leczeniu PKU.

Lek Sephience ma postać proszku do rozpuszczenia w wodzie lub soku jabłkowym lub zmieszania z miękkim pokarmem; przyjmuje się go raz na dobę wraz z posiłkiem.

Więcej informacji o sposobie stosowania leku Sephience znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Sephience

U pacjentów z PKU enzym (rodzaj białka) o nazwie hydroksylaza fenyloalaninowa (PAH), który przekształca fenyloalaninę w inny aminokwas, nie wykazuje prawidłowego zwijania, a zatem ma zmniejszoną aktywność. Prowadzi to do nagromadzenia fenyloalaniny we krwi i powoduje objawy choroby.

Substancja czynna leku Sephience, sepiapteryna, jest odmianą naturalnej substancji potrzebnej organizmowi do wytwarzania tetrahydrobiopteryny (BH4). BH4 pomaga PAH przekształcać

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



fenyloalaninę. Sepiapteryna zmniejsza stężenie fenyloalaniny we krwi na dwa sposoby: zwiększa stężenie BH4 w organizmie oraz przyłącza się do PAH i stabilizuje go, zwiększając jego aktywność.

Korzyści ze stosowania leku Sephience wykazane w badaniach

W jednym badaniu głównym wykazano, że lek Sephience zmniejsza stężenie fenyloalaniny we krwi.

W pierwszej części badania uczestniczyło 157 pacjentów z PKU, którzy otrzymywali lek Sephience przez 14 dni. Uznano, że osoby w wieku co najmniej 2 lat, u których stężenie fenyloalaniny we krwi zmniejszyło się o co najmniej 15% (110 pacjentów), odpowiedziały na leczenie i uczestniczyły one w drugiej części badania, w której otrzymywały lek Sephience albo placebo (leczenie pozorowane) przez 6 tygodni. Głównym kryterium oceny skuteczności była dalsza zmiana stężenia fenyloalaniny we krwi u pacjentów, u których już w pierwszej części badania nastąpiło zmniejszenie tego stężenia o co najmniej 30%.

U pacjentów otrzymujących lek Sephience zmniejszenie stężenia fenyloalaniny we krwi wyniosło około 410 mikromoli na litr (spadek o 63% w stosunku do wartości wyjściowej), w porównaniu z około 16 mikromolami na litr (spadek o 1,4%) u pacjentów otrzymujących placebo. Ponadto w badaniu wykazano, że u pacjentów, u których stwierdzono brak odpowiedzi na sapropterynę (inny lek stosowany w leczeniu hiperfenyloalaninemii), po zastosowaniu leku Sephience stężenie fenyloalaniny we krwi zmniejszyło się o co najmniej 30%.

Dane z trwającego badania wykazały również, że korzyści z leczenia utrzymują się w czasie i pozwalają pacjentom na zwiększenie spożycia fenyloalaniny w diecie.

Dodatkowe dane wskazują, że zmniejszenie stężenia fenyloalaniny we krwi u pacjentów w wieku poniżej 2 lat było podobne do tego obserwowanego u starszych dzieci.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Sephience

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Sephience znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane związane ze stosowaniem leku Sephience (mogące wystąpić częściej niż u 1 na 10 pacjentów) to: zakażenia górnych dróg oddechowych (nosa i gardła), ból głowy, biegunka i ból brzucha. U 1 na 10 pacjentów mogą też wystąpić zmiany zabarwienia stolca i hipofenyloalaninemia.

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Sephience w UE

Wykazano, że lek Sephience po 6 tygodniach leczenia znacznie zmniejsza stężenie fenyloalaniny we krwi u pacjentów z PKU w porównaniu z placebo; oczekuje się, że takie zmniejszenie pomoże opanować chorobę i zapewni znaczące korzyści zdrowotne. Wykazano, że wpływ na stężenie fenyloalaniny utrzymuje się z biegiem czasu i poprawia jakość życia pacjentów. Lek Sephience stanowi również inną możliwość leczenia pacjentów, którzy nie mogą stosować istniejących terapii lub nie odpowiadają na nie.

Profil bezpieczeństwa stosowania leku Sephience nie budzi obaw, nie odnotowano żadnych poważnych działań niepożądanych leku.

W związku z tym Europejska Agencja Leków uznała, że korzyści płynące ze stosowania leku Sephience przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Sephience

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Sephience w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich leków, dane o stosowaniu leku Sephience są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane leku Sephience są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Sephience

Lek Sephience otrzymał pozwolenie na dopuszczenie do obrotu, ważne w całej UE od dnia .

Dalsze informacje dotyczące leku Sephience znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sephience.

Data ostatniej aktualizacji: 05.2025.