



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapterina*)

Um resumo sobre Sephience e porque está autorizado na UE

O que é Sephience e para que é utilizado?

Sephience é um medicamento utilizado no tratamento da hiperfenilalaninemia (HPA, níveis excessivos de fenilalanina no sangue) em adultos e crianças com fenilcetonúria (PKU). A PKU é uma doença hereditária na qual o aminoácido fenilalanina (um elemento de base para as proteínas) se acumula no sangue em níveis anormalmente elevados, causando problemas no sistema nervoso.

A hiperfenilalaninemia é uma doença rara, e Sephience foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 20 de maio de 2021. Estão disponíveis mais informações sobre a designação de medicamento órfão no [sítio Web](#) da EMA.

Sephience contém a substância ativa sepiapterina.

Como se utiliza Sephience?

Sephience só pode ser obtido mediante receita médica e o tratamento deve ser iniciado e supervisionado por um médico com experiência no tratamento do cancro.

Sephience está disponível na forma de um pó para dispersão em água ou sumo ou misturado com alimentos moles; é tomado uma vez por dia com alimentos.

Para mais informações sobre a utilização de Sephience, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Sephience?

Nos doentes com PKU, uma enzima (um tipo de proteína) designada fenilalanina hidroxilase (PAH), que converte a fenilalanina noutro aminoácido, não se consegue dobrar adequadamente e, por conseguinte, tem uma atividade reduzida. Isto leva a uma acumulação de fenilalanina no sangue, originando os sintomas da doença.

A substância ativa de Sephience, a sepiapterina, é uma versão de uma substância natural necessária para que o organismo produza tetra-hidrobiopterina (BH4). A BH4 ajuda a PAH a converter fenilalanina. Sepiapterina reduz o nível de fenilalanina no sangue de duas formas: aumentando os níveis de BH4 no organismo e ligando-se e estabilizando a PAH, o que aumenta a sua atividade.

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



Quais os benefícios demonstrados por Sephience durante os estudos?

Num estudo principal, foi demonstrado que Sephience reduz os níveis de fenilalanina no sangue.

A primeira parte do estudo incluiu 157 doentes com PKU que receberam Sephience durante 14 dias. Considerou-se que os participantes com, pelo menos, 2 anos que apresentaram uma redução de 15 % ou mais nos níveis de fenilalanina no sangue (110 doentes) responderam ao tratamento e foram incluídos na segunda parte do estudo, na qual receberam Sephience ou um placebo (tratamento simulado) durante 6 semanas. O principal parâmetro de eficácia foi uma alteração acrescida dos níveis de fenilalanina no sangue nos doentes que já tinham apresentado uma diminuição de 30 % ou mais dos seus níveis de fenilalanina no sangue na primeira parte do estudo.

Nos doentes que receberam Sephience, a redução dos níveis de fenilalanina no sangue foi de cerca de 410 $\mu\text{mol/l}$ (redução de 63 % em relação ao nível inicial), em comparação com cerca de 16 $\mu\text{mol/l}$ (redução de 1,4 %) nos doentes que receberam o placebo. Além disso, o estudo demonstrou que os doentes que se sabia não responderem à sapropterina (outro medicamento para a hiperfenilalaninemia) obtiveram uma redução nos níveis de fenilalanina no sangue de 30 % ou mais com Sephience.

Os dados de um estudo em curso também indicaram que os benefícios do tratamento se mantêm no tempo e permitem que os doentes aumentem a ingestão de fenilalanina a partir da alimentação.

Dados suplementares indicaram que as reduções nos níveis de fenilalanina no sangue em doentes com menos de 2 anos eram semelhantes às observadas em crianças mais velhas.

Quais são os riscos associados a Sephience?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Sephience, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Sephience (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) incluem infeção das vias respiratórias superiores (infeção do nariz e da garganta), cefaleia, diarreia e dor abdominal (barriga). As fezes descoloradas e a hipofenilalaninemia (níveis baixos de fenilalanina) podem também afetar até 1 em cada 10 pessoas.

Porque está Sephience autorizado na UE?

O Sephience demonstrou diminuir significativamente os níveis sanguíneos de fenilalanina em doentes com PKU após 6 semanas de tratamento, em comparação com o placebo; espera-se que estas reduções ajudem a controlar a doença e proporcionem benefícios significativos para a saúde. Foi demonstrado que o efeito nos níveis de fenilalanina se mantém no tempo e que melhora a qualidade de vida dos doentes. Sephience representa também um tratamento alternativo para os doentes que não podem utilizar ou não respondem aos tratamentos existentes.

O perfil de segurança de Sephience é tranquilizador, não tendo sido notificados efeitos secundários graves.

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Sephience são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Sephience?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Sephience.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Sephience são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Sephience são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Sephience

Sephience recebeu uma Autorização de Introdução no Mercado, válida para toda a UE em

Estão disponíveis mais informações sobre Sephience no sítio Web da Agência:

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

Este resumo foi atualizado pela última vez em 05-2025.