



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapterină*)

Prezentare generală a Sephience și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Sephience și pentru ce se utilizează?

Sephience este un medicament utilizat pentru tratamentul hiperfenilalaninemiei (HPA, concentrații excesive de fenilalanină în sânge) la adulți, adolescenți și copii cu fenilcetonurie (FCU). FCU este o boală moștenită, în care aminoacidul fenilalanină (un element necesar pentru proteine) se acumulează în sânge în concentrații anormal de mari, cauzând probleme la nivelul sistemului nervos.

Hiperfenilalaninemia este rară, iar Sephience a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 20 mai 2021. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul](#) EMA.

Sephience conține substanța activă sepiapterină.

Cum se utilizează Sephience?

Sephience se poate obține numai pe bază de prescripție medicală, iar tratamentul trebuie inițiat și supravegheat de un medic cu experiență în tratamentul FCU.

Sephience este disponibil sub formă de pulbere care se dizolvă în apă ori în suc de mere sau se amestecă cu alimente moi; se ia o dată pe zi, în timpul mesei.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Sephience, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Sephience?

La pacienții cu FCU, o enzimă (un tip de proteină) numită fenilalanin hidroxilază (FAH), care transformă fenilalanina în alt aminoacid, nu se poate plia în mod corespunzător și, prin urmare, are o activitate redusă. Acest lucru duce la acumularea de fenilalanină în sânge, cauzând simptome ale bolii.

Substanța activă din Sephience, sepiapterina, este o versiune a unei substanțe naturale de care organismul are nevoie pentru a produce tetrahidrobiopterină (BH4). BH4 ajută FAH să transforme fenilalanina. Sepiapterina reduce concentrația de fenilalanină din sânge în două moduri: prin creșterea nivelului de BH4 din organism și prin legarea de FAH și stabilizarea acesteia, crescându-i activitatea.

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



Ce beneficii a prezentat Sephience pe parcursul studiilor?

Într-un studiu principal s-a demonstrat că Sephience reduce concentrațiile de fenilalanină din sânge.

Prima parte a studiului a cuprins 157 de pacienți cu FCU care au primit Sephience timp de 14 zile. S-a considerat că pacienții în vârstă de cel puțin 2 de ani care au avut o reducere de cel puțin 15 % a concentrațiilor de fenilalanină din sânge (110 pacienți) au răspuns la tratament și au continuat în partea a doua a studiului, în care li s-a administrat fie Sephience, fie placebo (un preparat inactiv) timp de 6 săptămâni. Principala măsură a eficacității a fost modificarea suplimentară a valorilor concentrațiilor de fenilalanină din sânge la pacienții la care concentrația de fenilalanină din sânge scăzuse deja cu cel puțin 30 % în prima parte a studiului.

La pacienții cărora li s-a administrat Sephience, reducerea concentrației de fenilalanină din sânge a fost de aproximativ 410 micromoli pe litru (reducere de 63 % față de concentrația inițială), în comparație cu aproximativ 16 micromoli pe litru (reducere de 1,4 %) la cei cărora li s-a administrat placebo. În plus, studiul a arătat că, după administrarea Sephience, concentrația de fenilalanină din sânge a fost cu cel puțin 30 % mai mică la pacienții despre care se știa că nu răspund la sapropterină (alt medicament pentru hiperfenilalaninemie).

Datele dintr-un studiu în desfășurare au indicat, de asemenea, că beneficiile tratamentului se mențin în timp și permit pacienților să mărească aportul de fenilalanină din alimentație.

Date suplimentare au indicat că reducerea concentrației de fenilalanină din sânge la pacienții cu vârstă sub 2 ani este similară cu cea observată la copiii cu vârstă peste 2 ani.

Care sunt riscurile asociate cu Sephience?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Sephience, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Sephience (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt infecții ale căilor respiratorii superioare (infecții ale nasului și gâtului), dureri de cap, diaree și durere abdominală (de burtă). Scaunele decolorate și hipofenilalaninemia (valori scăzute de fenilalanină) pot afecta, de asemenea, până la 1 persoană din 10.

De ce a fost autorizat Sephience în UE?

S-a demonstrat că, față de placebo, Sephience reduce semnificativ concentrația de fenilalanină din sânge la pacienții cu FCU după 6 săptămâni de tratament; se preconizează că astfel de reduceri vor contribui la controlul bolii și vor oferi beneficii semnificative pentru sănătate. S-a demonstrat că efectul asupra concentrațiilor de fenilalanină se menține în timp și că îmbunătățește calitatea vieții pacienților. De asemenea, Sephience reprezintă un tratament alternativ pentru pacienții care nu pot urma tratamentele existente sau care nu răspund la acestea.

Profilul de siguranță al Sephience este încurajator, nefiind raportate reacții adverse grave.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Sephience sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Sephience?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Sephience, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Sephience sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Sephience sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Sephience

Sephience a primit autorizație de punere pe piață, valabilă pe întreg teritoriul UE, la

Mai multe informații despre Sephience se pot găsi pe site-ul agenției:

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

Această prezentare generală a fost actualizată ultima dată în 05-2025.