



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapterin*)

Pregled zdravila Sephience in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Sephience in za kaj se uporablja?

Sephience je zdravilo, ki se uporablja za zdravljenje hiperfenilalaninemije (HPA, previsoke ravni fenilalanina v krvi) pri odraslih in otrocih s fenilketonurijo (PKU). Fenilketonurija je dedna bolezen, pri kateri se aminokislina fenilalanin (gradnik beljakovin) kopiči v krvi do nenormalno visokih ravni, kar povzroča težave v živčnem sistemu.

Hiperfenilalaninemija je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Sephience 20. maja 2021 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Nadaljnje informacije o zdravilih sirotah so na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Sephience vsebuje učinkovino sepiapterin.

Kako se zdravilo Sephience uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Sephience je le na recept, zdravljenje z njim pa mora uvesti in nadzorovati zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem fenilketonurije.

Zdravilo Sephience je na voljo v obliki praška, ki ga je treba raztopiti v vodi ali jabolčnem soku ali zmešati z mehko hrano; jemlje se enkrat na dan skupaj s hrano.

Za več informacij glede uporabe zdravila Sephience glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Sephience deluje?

Pri bolnikih s fenilketonurijo se encim (vrsta beljakovine), imenovan fenilalanin-hidroksilaza (PAH), ki pretvarja fenilalanin v drugo aminokislino, ne more pravilno prepogniti in ima zato zmanjšano aktivnost. To privede do kopičenja fenilalanina v krvi, kar povzroča simptome bolezni.

Učinkovina v zdravilu Sephience, sepiapterin, je različica naravne snovi, ki jo telo potrebuje za proizvodnjo tetrahidrobiopterina (BH4). BH4 pomaga PAH pri pretvorbi fenilalanina. Zdravilo Sepiapterin znižuje raven fenilalanina v krvi na dva načina: s povečanjem ravni BH4 v telesu ter z vezavo na in stabiliziranjem PHA, s čimer poveča njegovo aktivnost.

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



Kakšne koristi zdravila Saphience so se pokazale v študijah?

V eni glavni študiji je bilo dokazano, da zdravilo Saphience znižuje ravni fenilalanina v krvi.

V prvem delu študije je bilo vključenih 157 bolnikov s fenilketonurijo (PKU), ki so 14 dni prejeli zdravilo Saphience. Osebe, stare vsaj dve leti, pri katerih se je raven fenilalanina v krvi znižala za 15 % ali več (110 bolnikov), so ocenili kot odzivne na zdravljenje in so bile vključene v drugi del študije, v katerem so šest tednov prejemale bodisi zdravilo Saphience bodisi placebo (zdravilo brez učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bila nadaljnja sprememba ravni fenilalanina v krvi pri tistih bolnikih, pri katerih se je raven fenilalanina v krvi v prvem delu študije že znižala za 30 % ali več.

Pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Saphience, se je raven fenilalanina v krvi znižala za približno 410 mikromolov na liter (63-odstotno zmanjšanje glede na začetno raven), pri bolnikih, ki so prejeli placebo, pa za približno 16 mikromolov na liter (1,4-odstotno zmanjšanje). Poleg tega je študija pokazala, da se je pri bolnikih, za katere je znano, da se ne odzivajo na sapropterin (drugo zdravilo za hiperfenilalaninemijo), raven fenilalanina v krvi znižala za 30 % ali več po jemanju zdravila Saphience.

Podatki iz potekajoče študije so pokazali tudi, da se koristi zdravljenja ohranjajo skozi čas in omogočajo bolnikom, da povečajo vnos fenilalanina s prehrano.

Dodatni podatki so pokazali, da je bilo znižanje ravni fenilalanina v krvi pri bolnikih, mlajših od dveh let, podobno kot pri starejših otrocih.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Saphience?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Saphience glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Saphience (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so okužba zgornjih dihal (okužba nosu in grla), glavobol, driska in bolečine v trebuhu. Obarvano blato in hipofenilalaninemija (nizke ravni fenilalanina) se lahko pojavita tudi pri največ 1 od 10 oseb.

Zakaj je bilo zdravilo Saphience odobreno v EU?

Izkazalo se je, da zdravilo Saphience po šestih tednih zdravljenja v primerjavi s placebom znatno zniža raven fenilalanina v krvi pri bolnikih s PKU; pričakuje se, da takšno znižanje pomagalo pri obvladovanju bolezni in prineslo pomembne koristi za zdravje. Izkazalo se je, da se učinek na ravni fenilalanina ohranja skozi čas in izboljšuje kakovost življenja bolnikov. Zdravilo Saphience je tudi alternativno zdravljenje za bolnike, ki ne morejo prejemati obstoječih zdravljenj ali se nanje ne odzivajo.

Varnostni profil zdravila Saphience je spodbuden, brez poročil o resnih neželenih učinkih.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Saphience večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Saphience?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Saphience upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Sephience stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Sephience, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Sephience

Za zdravilo Sephience je bilo XX.XX.XXXX izdano dovoljenje za promet, veljavno po vsej EU.

Nadaljnje informacije za zdravilo Sephience so na voljo na spletni strani agencije:

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

Povzetek je bil nazadnje posodobljen 05-2025.