



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapterin*)

Sammanfattning av Sephience och varför det är godkänt inom EU

Vad är Sephience och vad används det för?

Sephience är ett läkemedel som används för att behandla hyperfenylalaninemi (HPA, överskott av fenylalanin i blodet) hos vuxna och barn med fenylketonuri (PKU). Fenylketonuri är ett ärftligt tillstånd där aminosyran fenylalanin (en byggsten för proteiner) ansamlas i blodet till onormalt höga nivåer, vilket orsakar problem i nervsystemet.

Hyperfenylalaninemi är sällsynt och Sephience klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 20 maj 2021. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på Europeiska läkemedelsmyndighetens (EMA) [webbplats](#).

Sephience innehåller den aktiva substansen sepiapterin.

Hur används Sephience?

Sephience är receptbelagt och behandlingen måste inledas och övervakas av en läkare med erfarenhet av att behandla fenylketonuri.

Sephience finns som ett pulver som löses upp i vatten eller äppeljuice, eller blandas med mjuk mat. Det tas en gång om dagen tillsammans med mat.

För mer information om hur du använder Sephience, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Sephience?

Hos patienter med fenylketonuri kan enzymet fenylalaninhydroxylas (PAH) (en typ av protein), som omvandlar fenylalanin till en annan aminosyra, inte veckla ihop sig på rätt sätt och får därför minskad aktivitet. Detta leder till att fenylalanin ansamlas i blodet, vilket orsakar sjukdomssymtomen.

Den aktiva substansen i Sephience, sepiapterin, är en version av en naturlig substans som kroppen behöver för att producera tetrahydrobiopterin (BH4). BH4 hjälper PAH att omvandla fenylalanin. Sepiapterin sänker halten av fenylalanin i blodet på två sätt: genom att öka BH4-halterna i kroppen och genom att binda till och stabilisera PAH, vilket ökar dess aktivitet.

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



Vilka fördelar med Sephience har visats i studierna?

I en huvudstudie har Sephience visat sig sänka nivåerna av fenylalanin i blodet.

I den första delen av studien deltog 157 patienter med fenylketonuri som fick Sephience i 14 dagar. De patienter som var minst 2 år gamla och hade en sänkning på 15 procent eller mer av sina nivåer av fenylalanin i blodet (110 patienter) ansågs svara på behandlingen och fick delta i den andra delen av studien, där de fick antingen Sephience eller placebo (overksam behandling) i 6 veckor. Huvudeffektmåttet var en ytterligare förändring av nivåerna av fenylalanin i blodet hos de patienter som redan hade en sänkning på 30 procent eller mer av nivåerna av fenylalanin i blodet i den första delen av studien.

Hos patienter som fick Sephience sänktes nivåerna av fenylalanin i blodet med omkring 410 mikromol per liter (63 procents sänkning från den ursprungliga nivån) jämfört med omkring 16 mikromol per liter (1,4 procents sänkning) hos dem som fick placebo. Dessutom visade studien att patienter som var kända för att inte reagera på sapropterin (ett annat läkemedel mot hyperfenylalaninemi) uppnådde en sänkning av sina fenylalaninnivåer i blodet på 30 procent eller mer med Sephience.

Data från en pågående studie visade också att fördelarna med behandlingen kvarstår över tid och gör det möjligt för patienterna att öka intaget av fenylalanin från sin kost.

Ytterligare data visade att sänkningen av nivån av fenylalanin i blodet hos patienter under 2 år var jämförbar med den som ses hos äldre barn.

Vilka är riskerna med Sephience?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Sephience finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Sephience (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är övre luftvägsinfektion (infektion i näsa och svalg), huvudvärk, diarré och buksmärta (magont). Missfärgad avföring och hypofenylalaninemi (låga nivåer av fenylalanin) kan också förekomma hos upp till 1 av 10 användare.

Varför är Sephience godkänt i EU?

Sephience har visat sig signifikant sänka nivåerna av fenylalanin i blodet hos patienter med fenylketonuri efter 6 veckors behandling jämfört med placebo. Sådana sänkningar förväntas hjälpa till att kontrollera sjukdomen och ge meningsfull hälsonytta. Effekten på fenylalaninnivåerna har visat sig kvarstå över tid och förbättra patienternas livskvalitet. Sephience utgör också en alternativ behandling för patienter som inte kan använda eller inte svarar på befintliga behandlingar.

Säkerhetsprofilen för Sephience är betryggande och inga allvarliga biverkningar har rapporterats.

EMA fann därför att fördelarna med Sephience är större än riskerna och att Sephience kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Sephience?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Sephience har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Sephience kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Sephience utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Sephience

Den [datum] beviljades Sephience ett godkännande för försäljning som gäller i hela EU.

Mer information om Sephience finns på EMA:s webbplats:

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

Denna sammanfattning uppdaterades senast 05-2025.