



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (σεπιαπερίνη)

Ανασκόπηση του Sephience και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Sephience και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Sephience είναι φάρμακο που χρησιμοποιείται για τη θεραπεία της υπερφαιнуλαλανιναιμίας (ΗΡΑ, υπερβολικά επίπεδα φαιнуλαλανίνης στο αίμα) σε ενήλικες και παιδιά με φαιнуλκετονουρία (ΡΚU). Η ΡΚU είναι μια κληρονομική πάθηση κατά την οποία το αμινοξύ φαιнуλαλανίνη (δομικό στοιχείο των πρωτεϊνών) συσσωρεύεται στο αίμα σε μη φυσιολογικά υψηλά επίπεδα, προκαλώντας προβλήματα στο νευρικό σύστημα.

Η υπερφαιнуλαλανιναιμία είναι «σπάνια» και το Sephience χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 20 Μαΐου 2021. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε [στον δικτυακό τόπο](#) του EMA.

Το Sephience περιέχει τη δραστική ουσία σεπιαπερίνη.

Πώς χρησιμοποιείται το Sephience;

Το Sephience χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή. Η έναρξη και η επίβλεψη της θεραπείας πρέπει να πραγματοποιούνται από γιατρό με εμπειρία στη θεραπεία της ΡΚU.

Το Sephience διατίθεται υπό μορφή σκόνης, η οποία διαλύεται σε νερό ή χυμό μήλου ή αναμειγνύεται με μαλακή τροφή. Λαμβάνεται μία φορά την ημέρα μαζί με τροφή.

Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Sephience, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Sephience;

Σε ασθενείς με ΡΚU, ένα ένζυμο (τύπος πρωτεΐνης) που ονομάζεται υδροξυλάση φαιнуλαλανίνης (ΡΑΗ) και μετατρέπει τη φαιнуλαλανίνη σε άλλο αμινοξύ δεν μπορεί να αναδιπλωθεί σωστά και, ως εκ τούτου, παρουσιάζει μειωμένη ενζυμική δραστηριότητα. Αυτό συνεπάγεται συσσώρευση φαιнуλαλανίνης στο αίμα, προκαλώντας συμπτώματα της νόσου.

Η δραστική ουσία του Sephience, η σεπιαπερίνη, είναι μια παραλλαγή της φυσιολογικής ουσίας που χρειάζεται ο οργανισμός για να παράγει τετραϋδροβιοπερίνη (ΒΗ4). Η ΒΗ4 βοηθά την ΡΑΗ στη μετατροπή της φαιнуλαλανίνης. Η σεπιαπερίνη μειώνει τα επίπεδα φαιнуλαλανίνης στο αίμα με δύο

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



τρόπους: αυξάνοντας τα επίπεδα της τετραϋδροβιοπτερίνης στον οργανισμό και μέσω της προσκόλλησης και σταθεροποίησης της PNA, αυξάνοντας τη δραστηριότητά της.

Ποια είναι τα οφέλη του Sephience σύμφωνα με τις μελέτες;

Σε μία κύρια μελέτη, έχει αποδειχθεί ότι το Sephience μειώνει τα επίπεδα φαινυλαλανίνης στο αίμα.

Στο πρώτο μέρος της μελέτης μετείχαν 157 ασθενείς με PKU που έλαβαν Sephience για 14 ημέρες. Τα άτομα ηλικίας τουλάχιστον 2 ετών που παρουσίασαν μείωση των επιπέδων φαινυλαλανίνης στο αίμα τους κατά 15 % ή περισσότερο (110 ασθενείς) θεωρήθηκαν ότι ανταποκρίνονταν στη θεραπεία και συμμετείχαν στο δεύτερο μέρος της μελέτης, όπου έλαβαν είτε Sephience είτε εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία) για 6 εβδομάδες. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η περαιτέρω μεταβολή των επιπέδων φαινυλαλανίνης στο αίμα των ασθενών που παρουσίασαν ήδη μείωση των επιπέδων φαινυλαλανίνης στο αίμα κατά 30 % ή περισσότερο στο πρώτο μέρος της μελέτης.

Στους ασθενείς που έλαβαν Sephience, η μείωση της φαινυλαλανίνης στο αίμα ήταν περίπου 410 μικρογραμμομόρια ανά λίτρο (μείωση κατά 63 % σε σχέση με τα αρχικά επίπεδα) σε σύγκριση με περίπου 16 μικρογραμμομόρια ανά λίτρο (μείωση κατά 1,4 %) στους ασθενείς που έλαβαν εικονικό φάρμακο. Επιπλέον, η μελέτη κατέδειξε ότι οι ασθενείς που ήταν γνωστό ότι δεν ανταποκρίνονταν στη σαπροπτερίνη (άλλο φάρμακο για την υπερφαινυλαλανιναιμία) πέτυχαν με το Sephience μείωση των επιπέδων φαινυλαλανίνης τους στο αίμα κατά 30% ή περισσότερο.

Τα δεδομένα από μια εν εξελίξει μελέτη κατέδειξαν επίσης ότι τα οφέλη της θεραπείας διατηρούνται με την πάροδο του χρόνου και επιτρέπουν στους ασθενείς να αυξήσουν την πρόσληψη φαινυλαλανίνης από τη διατροφή τους.

Πρόσθετα στοιχεία έδειξαν ότι οι μειώσεις στα επίπεδα φαινυλαλανίνης στο αίμα σε ασθενείς ηλικίας κάτω των 2 ετών ήταν παρόμοιες με εκείνες που παρατηρήθηκαν σε μεγαλύτερα παιδιά.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Sephience;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Sephience περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι πιο συχνές ανεπιθύμητες ενέργειες του Sephience (ενδέχεται να εμφανιστούν σε περισσότερα από 1 στα 10 άτομα) είναι λοιμώξεις της άνω αναπνευστικής οδού (λοιμώξη της μύτης και του φάρυγγα), κεφαλαλγία, διάρροια και κοιλιακό άλγος. Τα αποχρωματισμένα κόπρανα και η υποφαινυλαλανιναιμία (χαμηλά επίπεδα φαινυλαλανίνης) ενδέχεται επίσης να εμφανιστούν σε έως και 1 στα 10 άτομα.

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Sephience στην ΕΕ;

Το Sephience έχει αποδειχθεί ότι μειώνει σημαντικά τα επίπεδα φαινυλαλανίνης στο αίμα σε ασθενείς με PKU μετά από 6 εβδομάδες θεραπείας σε σύγκριση με το εικονικό φάρμακο· οι μειώσεις αυτές αναμένεται να συμβάλουν στον έλεγχο της νόσου και να αποφέρουν σημαντικά οφέλη για την υγεία. Η επίδραση στα επίπεδα φαινυλαλανίνης έχει αποδειχθεί ότι διατηρείται με την πάροδο του χρόνου και ότι βελτιώνει την ποιότητα ζωής των ασθενών. Το Sephience αποτελεί επίσης εναλλακτική θεραπεία για ασθενείς που δεν μπορούν να λάβουν ή δεν ανταποκρίνονται σε υφιστάμενες θεραπείες.

Η εικόνα ασφάλειας του Sephience είναι καθησυχαστική και δεν αναφέρθηκαν σοβαρές ανεπιθύμητες ενέργειες.

Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Sephience υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Sephience;

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Sephience.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Sephience τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Sephience θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Sephience

Το Sephience έλαβε άδεια κυκλοφορίας, η οποία ισχύει σε ολόκληρη την ΕΕ, στις

Περισσότερες πληροφορίες για το Sephience διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sephience.

Τελευταία ενημέρωση της ανασκόπησης: 05-2025.