



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapteriin*)

Ülevaade ravimist Sephience ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Sephience ja milleks seda kasutatakse?

Sephience on ravim, mida kasutatakse hüperfenüülalanineemia (HPA, vere liigne fenüülalaniinisaldus) raviks fenüülketonuuriaga (PKU) täiskasvanutel ja lastel. PKU on pärilik seisund, mille korral tekib veres aminohappe fenüülalaniini (valkude komponent) ebanormaalselt suur sisaldus, mis põhjustab närvisüsteemi probleeme.

Hüperfenüülalanineemia esineb harva ja Sephience nimetati 20. mail 2021 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on EMA [veebilehel](#).

Sephience sisaldab toimeainet sepiapteriini.

Kuidas Sephientet kasutatakse?

Sephience on retseptiravim. Ravi peab alustama ja jälgima fenüülketonuuria ravis kogenud arst.

Sephientet turustatakse pulbrina, mis lahustatakse vees või õunamahlas või segatakse pehme toiduga; ravimit võetakse üks kord ööpäevas koos toiduga.

Lisateavet Sephience kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Sephience toimib?

Fenüülketonuuriaga patsientidel ei voida õigesti fenüülalaniini muuks aminohappeks muundavat ensüümi (teatud valk) fenüülalaniini hüdroksülaasi (PAH), mis vähendab selle ensüümi aktiivsust. Selle tulemusena koguneb verre fenüülalaniini, mis põhjustab haiguse sümptomeid.

Sephience toimeaine sepiapteriin on organismis tetrahüdrobiopterini (BH4) tootmiseks vajaliku loodusliku aine analoog. BH4 aitab fenüülalaniini hüdroksülaasil muundada fenüülalaniini. Sepiapteriin vähendab vere fenüülalaniinisaldust kahel viisil: suurendades BH4 sisaldust organismis ning seondudes fenüülalaniini hüdroksülaasiga ja stabiliseerides seda, suurendades selle aktiivsust.

Mis on uuringute põhjal Sephience kasulikkus?

Ühes põhiuuringus tõendati, et Sephience vähendab vere fenüülalaniinisaldust.

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



Uuringu esimeses osas osales 157 fenüülketonuuriaga patsienti, kes kasutasid Sephientet 14 päeva. Vähemalt 2-aastasi patsiente, kelle vere fenüülalaniinisaldus vähenes vähemalt 15% (110 patsienti), peeti ravile reageerivaks ja nad osalesid uuringu teises osas, kus nad said 6 nädala jooksul kas Sephientet või platseebot (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitaja oli vere fenüülalaniinisalduse edasine muutus patsientidel, kelle fenüülalaniinisaldus oli uuringu esimeses osas juba vähenenud 30% või rohkem.

Sephientet saanud patsientidel vähenes vere fenüülalaniinisaldus ligikaudu 410 mikromooli liitri kohta (63% vähenemine algtasemest) ja platseebot saanud patsientidel ligikaudu 16 mikromooli liitri kohta (1,4% vähenemine). Lisaks tõendas uuring, et patsientidel, kes teadaolevalt ei reageerinud sapropteriinile (samuti hüperfenüülalanineemia ravim), saavutati Sephiencega vere fenüülalaniinisalduse vähenemine 30% või rohkem.

Praegu toimuvast uuringust saadud andmed näitasid ka, et ravi kasulikkus püsib aja jooksul ja võimaldab patsientidel suurendada fenüülalaniini kogust toiduvalikus.

Täiendavad andmed tõendasid, et vere fenüülalaniinisalduse vähenemine alla 2-aastastel patsientidel oli sarnane vanematel lastel täheldatuga.

Mis on Sephience riskid?

Sephience kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Sephience kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on näiteks ülemiste hingamisteede infektsioon (nina- ja kurguinfektsioon), peavalu, kõhulahtisus ja kõhuvalu. Ebatavalist värvi roe ja hüpofenüülalanineemia (vere väike fenüülalaniinisaldus) võivad esineda kuni 1 patsiendil 10st.

Miks Sephience ELis heaks kiideti?

On tõendatud, et Sephience vähendab fenüülketonuuriaga patsientidel 6 ravinädala järel vere fenüülalaniinisaldust oluliselt võrreldes platseeboga; eeldatavasti aitab selline vähendamine ohjata haigust ja on tervisele kasulik. On tõendatud, et toime fenüülalaniinisaldusele püsib aja jooksul ja parendab patsientide elukvaliteeti. Sephience on ka alternatiivne ravim patsientidele, kes ei saa kasutada olemasolevat ravi või ei reageeri sellele.

Sephience ohutusprofiil on lootustandev ja raskeid kõrvalnähte ei ole teatatud.

Euroopa Ravimiamet otsustas, et Sephience kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Sephience ohutu ja efektiivne kasutamine?

Sephience ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Sephience kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Sephience oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Sephience kohta

Sephience on saanud müügiloa, mis kehtib kogu ELis,

Lisateave Sephience kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sephience.

Kokkuvõtte viimane uuendus: 05-2025.