



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapteriini*)

Yleistiedot Sephience-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Sephience on ja mihin sitä käytetään?

Sephience on lääke, jota käytetään hyperfenyylialaninemian (HPA, liian suuri fenyylylalaniinipitoisuus veressä) hoitoon aikuisilla ja lapsilla, joilla on fenyyliketonuria (PKU). PKU on perinnöllinen tila, jossa aminohappoihin kuuluva fenyylylalaniini (proteiinien rakennusosa) kertyy vereen epätavallisen suurina pitoisuuksina, mikä aiheuttaa ongelmia hermostossa.

Hyperfenyylialaninemia on harvinainen sairaus. Sephience nimettiin ns. harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 20. toukokuuta 2021. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Sephienceen vaikuttava aine on sepiapteriini.

Miten Sephience-valmistetta käytetään?

Sephience on reseptivalmiste. Hoidon aloittavalla ja sitä valvovalla lääkäriä on oltava kokemusta fenyyliketonurian hoitamisesta.

Sephience-valmistetta on saatavana jauheena, joka lisätään veteen tai omenamehuun tai sekoitetaan pehmeään ruokaan. Se otetaan kerran vuorokaudessa ravinnon kanssa.

Lisätietoja Sephienceen käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Sephience vaikuttaa?

PKU-potilailla fenyylylalaniini-hydroksylaasi (PAH) -niminen entsyymi (eräs proteiinityyppi), joka muuntaa fenyylylalaniinin toiseksi aminohapoksi, ei voi taittua kunnolla ja sen aktiivisuus on siten heikentynyt. Tämä johtaa fenyylylalaniinin kertymiseen vereen, mikä aiheuttaa taudin oireita.

Sephienceen vaikuttava aine sepiapteriini on versio luonnollisesta aineesta, jota elimistö tarvitsee valmistakseen tetrahydrobipteriiniä (BH4). Se auttaa PAH-yhdisteitä fenyylylalaniinin muuntamisessa. Sepiapteriini vähentää veren fenyylylalaniinipitoisuutta kahdella tavalla. Se kasvattaa BH4-pitoisuutta elimistössä sekä kiinnittymällä PHA:han ja stabiloimalla sitä, mikä lisää sen aktiivisuutta.

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



© European Medicines Agency, 2025. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Mitä hyötyä Sephience-valmisteesta on havaittu tutkimuksissa?

Sephienzen on osoitettu yhdessä päätutkimuksessa vähentävän veren fenyyylalaniinipitoisuutta.

Tutkimuksen ensimmäisessä osassa oli 157 PKU-potilasta, jotka saivat Sephience-valmistetta 14:n päivän ajan. Vähintään 2-vuotiaiden potilaiden, joiden veren fenyyylalaniinipitoisuus pieneni vähintään 15 prosenttia (110 potilasta), katsottiin reagoivan hoitoon, ja he osallistuivat tutkimuksen toiseen osaan, jossa he saivat joko Sephience-valmistetta tai lumelääkettä kuuden viikon ajan. Tehon pääasiallisena mittarina oli muutos veren fenyyylalaniinipitoisuuksissa potilailla, joiden veren fenyyylalaniinipitoisuus oli jo laskenut vähintään 30 prosenttia tutkimuksen ensimmäisessä osassa.

Sephience-valmistetta saaneilla potilailla fenyyylalaniinipitoisuus veressä pieneni noin 410 mikromoolia litrassa (63 prosentin lasku alkuperäisestä määrästä), kun lumelääkettä saaneilla se oli noin 16 mikromoolia litrassa (1,4 prosentin lasku). Lisäksi tutkimus osoitti, että potilailla, joista tiedettiin, etteivät he reagoi sapropteriiniin (toinen hyperfenyyylalaninemian hoitoon tarkoitettu lääke), veren fenyyylalaniinipitoisuus pieneni Sephience-valmisteella vähintään 30 prosenttia.

Meneillään olevasta tutkimuksesta saadut tiedot osoittivat myös, että hoidon hyödyt säilyvät ajan mittaan ja että potilaat voivat lisätä ruokavaliossaan fenyyylalaniinin saantia.

Lisätietojen mukaan fenyyylalaniinipitoisuus laski alle 2-vuotiailla potilailla samalla tavalla kuin vanhemmilla lapsilla.

Mitä riskejä Sephienceen liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Sephienzen haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Sephienzen yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat ylähengitysteiden infektiot (nenän ja kurkun infektiot), päänsärky, ripuli ja vatsakipu. Ulosteen värjäytymistä ja hypofenyyylalaninemiaa (alhainen fenyyylalaniinipitoisuus) voi esiintyä enintään yhdellä henkilöllä kymmenestä.

Miksi Sephience on hyväksytty EU:ssa?

Sephienzen on osoitettu vähentävän merkittävästi fenyyylalaniinin pitoisuuksia veressä PKU:ta sairastavilla potilailla kuuden viikon hoidon jälkeen lumelääkkeeseen verrattuna. Tämän vähenemisen odotetaan auttavan sairauden hallinnassa ja tuottavan merkittäviä terveyshyötyjä. Vaikutuksen fenyyylalaniinipitoisuuksiin on osoitettu säilyvän ajan mittaan ja parantavan potilaiden elämänlaatua. Sephience on myös vaihtoehtoinen hoito potilaille, jotka eivät voi käyttää olemassa olevia hoitoja tai jotka eivät reagoi niihin.

Sephienzen turvallisuusprofiili on vakuuttava, eikä vakavista haittavaikutuksista ole ilmoitettu.

Euroopan lääkevirasto katsoi näin ollen, että Sephienzen hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Sephienzen turvallinen ja tehokas käyttö?

Suosituksien ja varotoimien, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Sephienzen käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Sephienzen käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Sephience-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet potilaiden suojelemiseksi suoritetaan.

Muita tietoja Sephience-valmisteesta

Sephience sai koko EU:n alueella voimassa olevan myyntiluvan

Lisätietoja Sephience-valmisteesta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sephience.

Tämä yhteenveto on päivitetty viimeksi 05-2025.