



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapterinas*)

Sephience apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Sephience ir kam jis vartojamas?

Sephience – tai vaistas, kuriuo gydoma hiperfenilalaninemija (padidėjusi fenilalanino koncentracija kraujyje), diagnozuota fenilketonurija sergantiems suaugusiems ir vaikams. Fenilketonurija yra paveldima liga, kuria sergant kraujyje susikaupia pernelyg didelis aminorūgštis fenilalanino (baltymų sudedamosios dalies) kiekis, dėl kurio sutrinka nervų sistemos veikla.

Hiperfenilalaninemija laikoma reta liga, todėl 2021 m. gegužės 20 d. Sephience buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA [interneto svetainėje](#).

Sephience sudėtyje yra veikliosios medžiagos sepiapterino.

Kaip vartoti Sephience?

Sephience galima įsigyti tik pateikus receptą, o gydymą šiuo vaistu turi pradėti ir prižiūrėti gydytojas, turintis fenilketonurijos gydymo patirties.

Sephience tiekiamas miltelių, kuriuos reikia ištirpinti vandenyje ar obuolių sultyse arba sumaišyti su skystu maistu, forma; vaistas vartojamas kartą per parą su maistu.

Daugiau informacijos apie Sephience vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Sephience?

Fenilketonurija sergančių pacientų organizme fermentas (tam tikros rūšies baltymas), vadinamas fenilalanino hidroksilaze (FH), kuris fenilalaniną paverčia kita aminorūgštimi, negali tinkamai susilankstyti, todėl jo aktyvumas yra sumažėjęs. Dėl šios priežasties fenilalaninas kaupiasi šių pacientų kraujyje, o tai sukelia ligos simptomus.

Sephience veiklioji medžiaga sepiapterinas yra natūralios medžiagos, kurios reikia tam, kad organizme gamintųsi tetrahidrobiopterinas (BH4), versija. BH4 padeda FH transformuoti fenilalaniną. Sepiapterinas mažina fenilalanino kiekį kraujyje dviem būdais: didina BH4 kiekį organizme ir tuo pat metu prisijungia prie FH ir jį stabilizuoja, taip padidindamas jo aktyvumą.

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



Kokia Sephience nauda nustatyta tyrimų metu?

Atlikus vieną pagrindinį tyrimą, nustatyta, kad vartojant Sephience, mažėja fenilalanino kiekis kraujyje.

Pirmoje šio tyrimo dalyje dalyvavo 157 fenilketonurija sergantys pacientai, kurie 14 dienų vartojo Sephience. Ne jaunesni kaip 2 metų tiriamieji, kurių fenilalanino kiekis kraujyje sumažėjo ne mažiau 15 proc. (110 pacientų), buvo priskirti prie pacientų, kuriems pasireiškė atsakas į gydymą; jie buvo įtraukti į antrą tyrimo dalį, kurios metu 6 savaites buvo gydomi Sephience arba placebo (preparatu be veikliosios medžiagos). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo tolesnis fenilalanino kiekio pokytis pacientų, kurių fenilalanino kiekis kraujyje pirmoje tyrimo dalyje sumažėjo ne mažiau kaip 30 proc., kraujyje.

Fenilalanino kiekis Sephience vartojusių pacientų grupėje sumažėjo maždaug 410 mikromolių/l (63 proc., palyginti su pradiniu kiekiu), o vartojusiųjų placebo – maždaug 16 mikromolių/l (1,4 proc.). Be to, tyrimas parodė, kad vartojant Sephience pacientų, kuriems nepasireiškė atsakas į gydymą sapropterinu (kitu vaistu nuo hiperfenilalaninemijos), fenilalanino kiekis kraujyje sumažėjo ne mažiau kaip 30 proc.

Šiuo metu atliekamo tyrimo duomenys taip pat parodė, kad gydymo šiuo vaistu teigiamas poveikis išlieka ilgą laiką ir pacientams suteikia galimybę suvartoti daugiau maisto produktų, kuriuose yra fenilalanino.

Iš papildomų duomenų matyti, kad jaunesnių nei 2 metų pacientų kraujyje fenilalanino kiekis sumažėjo panašiai, kaip ir vyresnio amžiaus vaikų kraujyje.

Kokia rizika susijusi su Sephience vartojimu?

Išsamų visų Sephience šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Sephience šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra viršutinių kvėpavimo takų infekcija (nosies ir gerklės infekcija), galvos skausmas, viduriavimas ir juosmens srities (pilvo) skausmas. Taip pat ne daugiau kaip 1 žmogui iš 10 gali pakisti išmatų spalva ir išsivystyti hipofenilalaninemija (sumažėjęs fenilalanino kiekis).

Kodėl Sephience buvo patvirtintas ES?

Nustatyta, kad po 6 gydymo Sephience savaičių fenilalanino kiekis fenilketonurija sergančių pacientų kraujyje buvo reikšmingai labiau sumažėjęs, nei vartojusiųjų placebo; manoma, kad toks sumažėjimas turėtų padėti kontroliuoti ligą ir turėtų svarbų teigiamą poveikį pacientų sveikatai. Įrodyta, kad vaisto poveikis fenilalanino kiekiui kraujyje išlieka ilgą laiką ir dėl jo pagerėja pacientų gyvenimo kokybė. Be to, Sephience yra viena iš alternatyvų pacientams, kurie negali vartoti šiuo metu rinkoje esančių vaistų arba kurių gydymas tokiais vaistais neveiksmingas.

Sephience saugumo charakteristikos yra priimtinos; pranešimų apie rimtą šalutinį poveikį negauta.

Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Sephience nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Sephience vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Sephience vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Sephience vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamas Sephience šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Sephience

Sephience buvo registruotas visoje ES.

Daugiau informacijos apie Sephience rasite Agentūros tinklalapyje adresu:

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

Ši apžvalga paskutinį kartą atnaujinta 2025-05.