



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapterin*)

Sephience pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir Sephience un kāpēc tās lieto?

Sephience ir zāles, ko lieto hiperfenilalaninēmijas (HFA jeb paaugstināta fenilalanīna līmeņa asinīs) ārstēšanai pieaugušajiem un bērniem ar fenilketonūriju (FKU). FKU ir iedzimta slimība, kad aminoskābe fenilalanīns (olbaltumvielu pamatelements) asinīs uzkrājas līdz patoloģiski augstam līmenim, izraisot nervu sistēmas traucējumus.

Hiperfenilalaninēmija ir reta slimība, un 2021. gada 20. maijā Sephience tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama EMA [tīmekļa vietnē](#).

Sephience satur aktīvo vielu sepiapterīnu.

Kā lieto Sephience?

Sephience var iegādāties tikai pret recepti, un ārstēšana ir jāsāk un jāuzrauga ārstam ar pieredzi FKU ārstēšanā.

Sephience ir pieejamas kā pulveris, kas jāizšķīdina ūdenī vai ābolu sulā, vai arī jāsajauc ar mīkstu ēdienu; to lieto vienreiz dienā kopā ar ēdienu.

Papildu informāciju par Sephience lietošanu skatiet zāļu lietošanas instrukcijā vai jautājiet ārstam vai farmaceitam.

Kā Sephience darbojas?

Pacienti ar FKU enzīms (olbaltumvielas veids), ko dēvē par fenilalanīna hidroksilāzi (FAH), kas fenilalanīnu pārvērš citā aminoskābē, nevar pienācīgi savīties, un tāpēc ir samazināta tā aktivitāte. Tā rezultātā asinīs uzkrājas fenilalanīns, izraisot slimības simptomus.

Sephience aktīvā viela sepiapterīns ir dabiskas vielas versija, kas vajadzīga, lai organisms varētu sintezēt tetrahidrobipterīnu (BH4). BH4 palīdz PAH pārveidot fenilalanīnu. Sepiapterīns pazemina fenilalanīna līmeni asinīs divos veidos: paaugstinot BH4 līmeni organismā un piesaistoties PHA un stabilizējot to, kā arī palielinot tās aktivitāti.

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



Kādi Sephience ieguvumi atklāti pētījumos?

Vienā pamatpētījumā pierādīts, ka Sephience pazemina fenilalanīna līmeni asinīs.

Pētījuma pirmajā daļā piedalījās 157 pacienti ar FKU, kuri saņēma Sephience 14 dienas. Tika uzskatīts, ka pacienti no vismaz 2 gadu vecuma, kuriem fenilalanīna līmenis asinīs pazeminājās par 15 % vai vairāk (110 pacienti), reaģē uz ārstēšanu, un viņi tika iesaistīti pētījuma otrajā daļā un 6 nedēļas saņēma vai nu Sephience, vai placebo (neīstu ārstēšanas līdzekli). Galvenais efektivitātes rādītājs bija turpmākas fenilalanīna līmeņa izmaiņas asinīs tiem pacientiem, kuriem pētījuma pirmajā daļā fenilalanīna līmenis asinīs jau bija pazeminājies par 30 % vai vairāk.

Pacientiem, kuri saņēma Sephience, fenilalanīna līmenis asinīs pazeminājās par aptuveni 410 mikromoliem litrā (pazeminājums par 63 % salīdzinājumā ar sākotnējo līmeni), salīdzinot ar aptuveni 16 mikromoliem litrā (pazeminājums par 1,4 %) pacientiem, kuri saņēma placebo. Turklāt pētījumā pierādīja, ka pacienti, par kuriem bija zināms, ka tie nereaģē uz sapropterīnu (citām hiperfenilalaninēmijas ārstēšanas zālēm), lietojot Sephience, panāca fenilalanīna līmeņa asinīs pazemināšanos par 30 % vai vairāk.

Vēl notiekoša pētījuma dati liecināja arī par to, ka ārstēšanas sniegtie ieguvumi laika gaitā saglabājas un dod iespēju pacientiem palielināt fenilalanīna uzņemšanu ar uzturu.

Papildu dati liecināja, ka fenilalanīna līmeņa pazemināšanās asinīs pacientiem līdz 2 gadu vecumam bija līdzīga tai, ko novēroja vecākiem bērniem.

Kāds risks pastāv, lietojot Sephience?

Pilnu visu blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot Sephience, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās Sephience blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir augšējo elpceļu infekcija (deguna un rīkles infekcija), galvassāpes, caureja un sāpes vēderā. Vēdera izejas krāsas izmaiņas un hipofenilalaninēmija (zems fenilalanīna līmenis) arī var rasties līdz 1 no 10 cilvēkiem.

Kāpēc Sephience ir reģistrētas ES?

Pierādīts, ka pēc 6 nedēļu terapijas Sephience pacientiem ar FKU nozīmīgi pazemina fenilalanīna līmeni asinīs, salīdzinot ar placebo; paredzams, ka šāds pazeminājums palīdzēs kontrolēt slimību un nodrošinās nozīmīgus ieguvumus veselībai. Pierādīts, ka ietekme uz fenilalanīna līmeni laika gaitā saglabājas un uzlabo pacientu dzīves kvalitāti. Sephience ir arī alternatīvs ārstēšanas līdzeklis pacientiem, kuri nevar lietot esošos terapijas līdzekļus vai nereaģē uz tiem.

Sephience drošuma profils ir pārliecinošs, un nav ziņots par nopietnām blakusparādībām.

Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot Sephience, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu Sephience lietošanu?

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par Sephience lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar Sephience lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai vajadzīgie pasākumi.

Cita informācija par Sephience

Sephience saņēma reģistrācijas apliecību, kas derīga visā ES.

Sīkāka informācija par Sephience ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sephience.

Šis kopsavilkums pēdējo reizi atjaunināts 2025. gada maijā.