



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapterin*)

Přehled pro přípravek Sephience a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Sephience a k čemu se používá?

Sephience je léčivý přípravek používaný k léčbě hyperfenylalaninemie (nadměrné hladiny fenylalaninu v krvi) u dospělých a dětí s fenylketonurií. Fenylketonurie je dědičné onemocnění, při kterém se v krvi v abnormálně vysokých hladinách hromadí aminokyselina fenylalanin (jeden ze stavebních prvků bílkovin), což způsobuje problémy v nervovém systému.

Hyperfenylalaninemie je vzácné onemocnění a přípravek Sephience byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 20. května 2021. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Sephience obsahuje léčivou látku sepiapterin.

Jak se přípravek Sephience používá?

Výdej přípravku Sephience je vázán na lékařský předpis. Léčbu musí zahájit a kontrolovat lékař se zkušenostmi s léčbou fenylketonurie.

Přípravek Sephience je k dispozici ve formě prášku, který se rozpustí ve vodě nebo v jablečné šťávě nebo se smíchá s měkkými potravinami. Užívá se jednou denně s jídlem.

Více informací o používání přípravku Sephience naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Sephience působí?

U pacientů s fenylketonurií se enzym (druh bílkoviny) zvaný fenylalaninhydroxyláza, který přeměňuje fenylalanin na jinou aminokyselinu, nemůže správně poskládat, a jeho aktivita je proto snížena. To vede k hromadění fenylalaninu v krvi, což způsobuje příznaky onemocnění.

Léčivá látka v přípravku Sephience, sepiapterin, je formou přírodní látky, kterou tělo potřebuje k produkci tetrahydrobiopterinu (BH₄). BH₄ pomáhá fenylalaninhydroxyláze přeměňovat fenylalanin. Sepiapterin snižuje hladinu fenylalaninu v krvi dvěma způsoby: 1.) zvýšením hladiny BH₄ v těle a 2.) navázáním se na fenylalaninhydroxylázu a její stabilizací, čímž zvyšuje její aktivitu.

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



Jaké přínosy přípravku Sephience byly prokázány v průběhu studií?

V jedné hlavní studii bylo prokázáno, že přípravek Sephience snižuje hladinu fenylalaninu v krvi.

Do první části studie bylo zařazeno 157 pacientů s fenylketonurií, kterým byl podáván přípravek Sephience po dobu 14 dnů. Pacienti ve věku nejméně 2 let, u nichž došlo ke snížení hladiny fenylalaninu v krvi o 15 % nebo více (110 pacientů), byli považováni za pacienty reagující na léčbu a byli zařazeni do druhé části studie, v níž jim byl po dobu 6 týdnů podáván buď přípravek Sephience, nebo placebo (neúčinný přípravek). Hlavním měřítkem účinnosti byla další změna hladiny fenylalaninu v krvi u pacientů, u nichž došlo k poklesu hladiny fenylalaninu v krvi o 30 % nebo více již v první části studie.

U pacientů léčených přípravkem Sephience došlo ke snížení hladiny fenylalaninu v krvi o přibližně 410 mikromolů na litr (63% snížení oproti původní hladině) ve srovnání s přibližně 16 mikromoly na litr (1,4% snížení) u pacientů, kterým bylo podáváno placebo. Ze studie navíc vyplynulo, že u pacientů, kteří nereagovali na sapropterin (jiné léčivo na hyperfenylalaninemii), bylo při léčbě přípravkem Sephience dosaženo snížení hladiny fenylalaninu v krvi o 30 % nebo více.

Z údajů z probíhající studie rovněž vyplynulo, že přínosy léčby jsou v průběhu času zachovány a umožňují pacientům zvýšit příjem fenylalaninu ze stravy.

Další údaje prokázaly, že u pacientů mladších 2 let je snížení hladin fenylalaninu v krvi podobné jako u starších dětí.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Sephience?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Sephience je uveden v příbalové informaci.

Nejčastějšími nežádoucími účinky přípravku Sephience (které mohou postihnout více než 1 osobu z 10) jsou infekce horních cest dýchacích (infekce nosu a hrdla), bolest hlavy, průjem a bolest břicha. Až 1 osobu z 10 může postihnout také neobvykle zbarvená stolice a hypofenylalaninemie (nízká hladina fenylalaninu).

Na základě čeho byl přípravek Sephience registrován v EU?

Bylo prokázáno, že u pacientů s fenylketonurií přípravek Sephience po 6 týdnech léčby ve srovnání s placebem významně snížil hladinu fenylalaninu v krvi. Očekává se, že toto snížení pomůže kontrolovat onemocnění a přinese významné zdravotní přínosy. Bylo prokázáno, že účinek na hladinu fenylalaninu je v průběhu času zachován a zlepšuje kvalitu života pacientů. Přípravek Sephience také představuje alternativní léčbu pro pacienty, kteří nemohou užívat stávající léčbu nebo na ni nereagují.

Bezpečnostní profil přípravku Sephience je povzbudivý, nebyly hlášeny žádné závažné nežádoucí účinky.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Sephience převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Sephience?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Sephience, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Sephience průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Sephience jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Sephience

Přípravku Sephience bylo uděleno rozhodnutí o registraci platné v celé EU dne

Další informace o přípravku Sephience jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sephience.

Tento přehled byl naposledy aktualizován v 05-2025.