



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Sephience (*sepiapterín*)

Prehľad o lieku Sephience a prečo bol povolený v EÚ

### Čo je liek Sephience a na čo sa používa?

Sephience je liek, ktorý sa používa na liečbu hyperfenylalaninémie (HPA, nadmernej hladiny fenylalanínu v krvi) u dospelých a detí s fenylketonúriou (PKU). PKU je dedičné ochorenie, pri ktorom sa v krvi v abnormálne vysokých hladinách hromadí aminokyselina fenylalanín (stavebný prvok proteínov), čo spôsobuje problémy v nervovom systéme.

Hyperfenylalaninémia je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Sephience 20. mája 2021 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke](#) agentúry EMA.

Liek Sephience obsahuje liečivo sepiapterín.

### Ako sa liek Sephience používa?

Výdaj lieku Sephience je viazaný na lekársky predpis a liečbu musí začať a sledovať lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou PKU.

Liek Sephience je dostupný vo forme prášku, ktorý sa rozpustí vo vode alebo jablkovej šťave alebo sa zmieša s mäkkým jedlom. Užíva sa jedenkrát denne s jedlom.

Viac informácií o používaní lieku Sephience si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárnika.

### Akým spôsobom liek Sephience účinkuje?

U pacientov s PKU sa enzým (druh proteínu) nazývaný fenylalanínhydroxyláza (PAH), ktorý premieňa fenylalanín na inú aminokyselinu, nemôže správne zložiť, a preto má zníženú aktivitu. To vedie k hromadeniu fenylalanínu v krvi, čo spôsobuje príznaky ochorenia.

Liečivo v lieku Sephience, sepiapterín, je verzia prírodnej látky, ktorú telo potrebuje na produkciu tetrahydrobiopterínu (BH4). BH4 pomáha PAH konvertovať fenylalanín. Sepiapterín znižuje hladinu fenylalanínu v krvi dvoma spôsobmi: zvýšením hladiny BH4 v tele a naviazaním na PHA a jej stabilizáciou, čím sa zvýši jeho aktivita.

**Official address** Domenico Scarlatilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

**Address for visits and deliveries** Refer to [www.ema.europa.eu/how-to-find-us](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## **Aké prínosy lieku Sephience boli preukázané v štúdiách?**

V jednej hlavnej štúdii sa preukázalo, že liek Sephience znižuje hladinu fenylalanínu v krvi.

Na prvej časti štúdie sa zúčastnilo 157 pacientov s PKU, ktorí dostávali liek Sephience 14 dní. Pacienti vo veku minimálne 2 roky, u ktorých sa hladina fenylalanínu v krvi znížila o 15 % alebo viac (110 pacientov), sa považovali za pacientov, ktorí odpovedajú na liečbu a zúčastnili sa na druhej časti štúdie, v ktorej počas 6 týždňov dostávali buď liek Sephience alebo placebo (zdanlivý liek). Hlavným meradlom účinnosti bola ďalšia zmena hladiny fenylalanínu v krvi u pacientov, u ktorých už v prvej časti štúdie došlo k zníženiu hladiny fenylalanínu v krvi o 30 % alebo viac.

U pacientov, ktorí dostávali liek Sephience, došlo k zníženiu hladiny fenylalanínu v krvi približne 410 mikromólov na liter (zníženie o 63 % oproti pôvodnej hladine) v porovnaní s približne 16 mikromólmi na liter (1,4 % zníženie) u pacientov, ktorí dostávali placebo. Okrem toho sa v štúdii preukázalo, že u pacientov, o ktorých bolo známe, že neodpovedajú na sapropterín (ďalší liek na hyperfenylalaninémiiu), sa pri používaní lieku Sephience dosiahlo zníženie hladiny fenylalanínu v krvi o 30 % alebo viac.

Z údajov z prebiehajúcej štúdie tiež vyplynulo, že prínosy liečby sa v priebehu času zachovávajú a umožňujú pacientom zvýšiť príjem fenylalanínu z potravy.

Z ďalších údajov vyplýva, že zníženie hladiny fenylalanínu v krvi u pacientov mladších ako 2 roky bolo podobné tým, ktoré sa pozorovali u starších detí.

## **Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Sephience?**

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Sephience a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Sephience (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú infekcia horných dýchacích ciest (infekcia nosa a hrdla), bolesť hlavy, hnačka a abdominálna bolesť (bolesť brucha). Až u 1 osoby z 10 sa môže vyskytnúť zmena sfarbenia stolice a hypofenylalaninémia (nízke hladiny fenylalanínu).

## **Prečo bol liek Sephience povolený v EÚ?**

Preukázalo sa, že u pacientov s PKU liek Sephience po 6 týždňoch liečby výrazne znížil hladinu fenylalanínu v krvi v porovnaní s placebo. Očakáva sa, že takéto zníženie pomôže kontrolovať ochorenie a povedie k významným zdravotným prínosom. Preukázalo sa, že účinok na hladinu fenylalanínu sa v priebehu času zachoval a kvalita života pacientov sa zlepšila. Liek Sephience predstavuje aj alternatívnu liečbu pre pacientov, ktorí nemôžu používať existujúcu liečbu alebo na ňu neodpovedajú.

Bezpečnostný profil lieku Sephience je upokojujúci a neboli hlásené žiadne závažné vedľajšie účinky.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Sephience sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

## **Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné užívanie lieku Sephience?**

Na bezpečné a účinné užívanie lieku Sephience boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Sephience sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Sephience sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

## **Ďalšie informácie o lieku Sephience**

Lieku Sephience bolo udelené povolenie na uvedenie na trh platné v celej EÚ dňa .

Ďalšie informácie o lieku Sephience sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

[ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sephience](https://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sephience).

Posledná aktualizácia tohto súhrnu: 05-2025