



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*Sepiapterin*)

Übersicht über Sephience und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Sephience und wofür wird es angewendet?

Sephience ist ein Arzneimittel, das zur Behandlung von Hyperphenylalaninämie (HPA, übermäßige Phenylalaninspiegel im Blut) bei Erwachsenen und Kindern mit Phenylketonurie (PKU) angewendet wird. PKU ist eine Erbkrankheit, bei der sich die Aminosäure Phenylalanin (ein Baustein für Proteine) im Blut zu ungewöhnlich hohen Konzentrationen anreichert, was zu Problemen im Nervensystem führt.

Hyperphenylalaninämie ist selten, und Sephience wurde am 20. Mai 2021 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den [Internetseiten](#) der EMA.

Sephience enthält den Wirkstoff Sepiapterin.

Wie wird Sephience angewendet?

Sephience ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und die Behandlung muss von einem in der Behandlung von PKU erfahrenen Arzt eingeleitet und überwacht werden.

Sephience ist als Pulver erhältlich, das in Wasser oder Apfelsaft aufgelöst oder mit weicher Nahrung vermischt wird. Es wird einmal täglich zu einer Mahlzeit eingenommen.

Weitere Informationen zur Anwendung von Sephience entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Sephience?

Bei Patienten mit PKU kann sich ein Enzym (eine Art von Protein) namens Phenylalaninhydroxylase (PAH), das Phenylalanin in eine andere Aminosäure umwandelt, nicht richtig falten und hat daher eine reduzierte Aktivität. Dies führt zu einer Anhäufung von Phenylalanin im Blut, was Symptome der Erkrankung hervorruft.

Der Wirkstoff in Sephience, Sepiapterin, ist eine Version einer natürlichen Substanz, die der Körper zur Herstellung von Tetrahydrobiopterin (BH4) benötigt. BH4 hilft der PAH bei der Umwandlung von Phenylalanin. Sepiapterin senkt den Phenylalaninspiegel im Blut auf zweierlei Weise: durch Erhöhung der BH4-Konzentration im Körper und durch Bindung an und Stabilisierung von PHA, wodurch deren Aktivität gesteigert wird.

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



Welchen Nutzen hat Sephience in den Studien gezeigt?

In einer Hauptstudie wurde nachgewiesen, dass Sephience den Phenylalaninspiegel im Blut senkt.

Der erste Teil der Studie umfasste 157 Patienten mit PKU, die Sephience 14 Tage lang erhielten. Personen im Alter von mindestens 2 Jahren, die einen Rückgang ihres Phenylalaninspiegels im Blut von 15 % oder mehr aufwiesen (110 Patienten), wurden als auf die Behandlung ansprechend (sogenannte „Responder“) angesehen und nahmen am zweiten Teil der Studie teil, in dem sie 6 Wochen lang entweder Sephience oder Placebo (eine Scheinbehandlung) erhielten. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war eine weitere Veränderung des Phenylalaninspiegels im Blut bei Patienten, deren Phenylalaninspiegel im Blut im ersten Teil der Studie bereits um 30 % oder mehr gesunken war.

Bei Patienten, die Sephience erhielten, betrug die Senkung des Phenylalaninspiegels im Blut etwa 410 Mikromol pro Liter (Senkung um 63 % gegenüber dem Ausgangswert) im Vergleich zu etwa 16 Mikromol pro Liter (Senkung um 1,4 %) bei den Patienten, die Placebo erhielten. Darüber hinaus zeigte die Studie, dass Patienten, die bekanntermaßen auf Sapropterin (ein anderes Arzneimittel zur Behandlung von Hyperphenylalaninämie) nicht ansprachen, mit Sephience eine Senkung ihres Phenylalaninspiegels im Blut um 30 % oder mehr erreichten.

Daten aus einer laufenden Studie deuteten auch darauf hin, dass der Nutzen der Behandlung im Laufe der Zeit erhalten bleibt und es den Patienten ermöglicht, die Aufnahme von Phenylalanin aus ihrer Ernährung zu erhöhen.

Zusätzliche Daten wiesen darauf hin, dass die Senkungen des Phenylalaninspiegels im Blut bei Patienten unter einem Alter von 2 Jahren den bei älteren Kindern beobachteten Senkungen ähnlich waren.

Welche Risiken sind mit Sephience verbunden?

Die vollständige Auflistung der Nebenwirkungen und Einschränkungen im Zusammenhang mit Sephience ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen von Sephience (die mehr als 1 von 10 Behandelten betreffen können) sind Infektionen der oberen Atemwege (Infektionen der Nase und des Rachens), Kopfschmerzen, Durchfall und Bauchschmerzen. Darüber hinaus kann bis zu 1 von 10 Behandelten von verfärbtem Stuhl und Hypophenylalaninämie (niedriger Phenylalaninspiegel) betroffen sein.

Warum wurde Sephience in der EU zugelassen?

Es wurde nachgewiesen, dass Sephience den Phenylalaninspiegel im Blut nach 6-wöchiger Behandlung im Vergleich zu Placebo bei Patienten mit PKU signifikant senkt. Diese Reduktionen dürften dazu beitragen, die Krankheit zu beherrschen, und einen bedeutsamen gesundheitlichen Nutzen bieten. Es wurde nachgewiesen, dass die Wirkung auf den Phenylalaninspiegel im Laufe der Zeit erhalten bleibt und die Lebensqualität der Patienten verbessert. Sephience stellt außerdem eine alternative Behandlung für Patienten dar, die die aktuell vorhandenen Behandlungen nicht anwenden können oder nicht darauf ansprechen.

Sephience weist ein Sicherheitsprofil auf, das keinen Anlass zu Bedenken gibt, und es wurden keine schwerwiegenden Nebenwirkungen berichtet.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Sephience gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Sephience ergriffen?

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Sephience, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Sephience kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Sephience werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Sephience

Sephience erhielt am eine Genehmigung für das Inverkehrbringen in der gesamten EU.

Weitere Informationen zu Sephience finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:

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

Diese Übersicht wurde zuletzt im 05-2025 aktualisiert.