



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sépiaptérine*)

Aperçu de Sephience et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Sephience et dans quel cas est-il utilisé?

Sephience est un médicament utilisé pour traiter l'hyperphénylalaninémie (HPA, taux sanguin excessif de phénylalanine) chez les adultes et les enfants atteints de phénylcétonurie (PCU). La PCU est une maladie héréditaire dans laquelle l'acide aminé phénylalanine (un élément constitutif des protéines) s'accumule dans le sang à des niveaux anormalement élevés, provoquant des problèmes dans le système nerveux.

L'hyperphénylalaninémie est rare et Sephience a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 20 mai 2021. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web](#) de l'EMA.

Sephience contient la substance active sépiaptérine.

Comment Sephience est-il utilisé?

Sephience n'est délivré que sur ordonnance et le traitement doit être instauré et surveillé par un médecin expérimenté dans le traitement de la PCU.

Sephience est disponible sous la forme d'une poudre à disperser dans de l'eau ou du jus de pomme, ou à mélanger avec des aliments mous; il est pris une fois par jour avec des aliments.

Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Sephience, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Sephience agit-il?

Chez les patients atteints de PCU, une enzyme (un type de protéine) appelée phénylalanine hydroxylase (PAH), qui transforme la phénylalanine en un autre acide aminé, ne peut pas se plier correctement et a donc une activité réduite. Cela entraîne une accumulation de phénylalanine dans le sang, ce qui provoque les symptômes de la maladie.

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



La substance active de Sephience, la sépiaptérine, est une version d'une substance naturelle nécessaire à la production de tétrahydrobioptérine par l'organisme (BH4). La BH4 aide la PAH à convertir la phénylalanine. La sépiaptérine réduit le taux de phénylalanine dans le sang de deux manières: en augmentant les niveaux de BH4 dans l'organisme et en se liant à la PAH et en la stabilisant, ce qui augmente son activité.

Quels sont les bénéfices de Sephience démontrés au cours des études?

Une étude principale a montré que Sephience réduisait les niveaux de phénylalanine dans le sang.

La première partie de l'étude portait sur 157 patients atteints de PCU ayant reçu Sephience pendant 14 jours. Les patients âgés d'au moins deux ans ayant présenté une réduction de 15% ou plus de leur taux de phénylalanine dans le sang (110 patients) ont été considérés comme répondant au traitement et ont participé à la deuxième partie de l'étude, au cours de laquelle ils ont reçu soit Sephience, soit un placebo (un traitement factice) pendant 6 semaines. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était une nouvelle modification des taux sanguins de phénylalanine chez les patients qui présentaient déjà une diminution de 30% ou plus de leurs taux sanguins de phénylalanine au cours de la première partie de l'étude.

Chez les patients ayant reçu Sephience, la réduction des taux sanguins de phénylalanine était d'environ 410 micromoles par litre (réduction de 63% par rapport au taux initial), contre environ 16 micromoles par litre (réduction de 1,4%) chez les patients ayant reçu le placebo. En outre, l'étude a montré que les patients dont on savait qu'ils ne répondaient pas à la saproptérine (un autre médicament contre l'hyperphénylalaninémie) ont obtenu une réduction de leur taux de phénylalanine dans le sang d'au moins 30% avec Sephience.

Les données d'une étude en cours indiquent également que les bénéfices du traitement se maintiennent dans le temps et permettent aux patients d'augmenter l'apport de phénylalanine dans leur alimentation.

Des données supplémentaires ont indiqué que les réductions des taux sanguins de phénylalanine chez les patients âgés de moins de 2 ans étaient similaires à celles observées chez les enfants plus âgés.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Sephience?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Sephience, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés sous Sephience (qui peuvent toucher plus d'une personne sur 10) sont notamment les suivants: infection des voies respiratoires supérieures (infection du nez et de la gorge), maux de tête, diarrhée et douleurs abdominales. Une décoloration des selles et une hypophénylalaninémie (faible taux de phénylalanine) peuvent également affecter jusqu'à une personne sur 10.

Pourquoi Sephience est-il autorisé dans l'UE?

Il a été démontré que Sephience réduit de manière significative les taux sanguins de phénylalanine chez les patients atteints de PCU après 6 semaines de traitement par rapport au placebo; ces réductions devraient aider à contrôler la maladie et apporter des bénéfices significatifs pour la santé. Il a été démontré que l'effet sur les taux de phénylalanine se maintenait au fil du temps et qu'il améliorerait la qualité de vie des patients. Sephience constitue également un traitement alternatif pour les patients qui ne peuvent pas utiliser les traitements existants ou qui n'y répondent pas.

Le profil de sécurité de Sephience est rassurant, aucun effet secondaire grave n'ayant été signalé.

L'Agence européenne des médicaments a dès lors estimé que les bénéfices de Sephience sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Sephience?

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Sephience ont été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Sephience sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Sephience sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Sephience:

Une autorisation de mise sur le marché valide dans toute l'UE a été délivrée pour Sephience le

De plus amples informations sur Sephience sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sephience.

Dernière mise à jour du présent aperçu: 05-2025.