



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Sephience (*sepiapterine*)

Een overzicht van Sephience en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Sephience en wanneer wordt het voorgeschreven?

Sephience is een geneesmiddel dat wordt gebruikt voor de behandeling van hyperfenylalaninemie (HPA, overmatige hoeveelheden fenylalanine in het bloed) bij volwassenen en kinderen met fenylketonurie (PKU). PKU is een erfelijke aandoening waarbij het aminozuur fenylalanine (een bouwsteen voor eiwitten) zich tot een abnormaal hoog niveau in het bloed ophoopt, waardoor problemen in het zenuwstelsel ontstaan.

Hyperfenylalaninemie is zeldzaam, en Sephience werd op 20 mei 2021 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Sephience bevat de werkzame stof sepiapterine.

Hoe wordt Sephience gebruikt?

Sephience is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en de behandeling moet worden gestart door en plaatsvinden onder toezicht van een arts met ervaring in de behandeling van PKU.

Sephience is verkrijgbaar in de vorm van een poeder dat moet worden opgelost in water of appelsap, of gemengd met zacht voedsel; het wordt eenmaal daags met voedsel ingenomen.

Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Sephience.

Hoe werkt Sephience?

Bij patiënten met PKU kan het enzym (een bepaald eiwit) fenylalaninehydroxylase (PAH) dat fenylalanine omzet in een ander aminozuur, zich niet goed vouwen en daardoor een verminderde activiteit heeft. Dit leidt tot een ophoping van fenylalanine in het bloed, wat symptomen van de ziekte veroorzaakt.

De werkzame stof in Sephience, sepiapterine, is een versie van een natuurlijke stof die het lichaam nodig heeft om tetrahydrobiopterine (BH4) te produceren. BH4 helpt PAH om fenylalanine om te zetten. Sepiapterine verlaagt het gehalte aan fenylalanine in het bloed op twee manieren: door het BH4-

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



gehalte in het lichaam te verhogen en door zich aan PAH te hechten en dit te stabiliseren, waardoor de activiteit ervan toeneemt.

Welke voordelen bleek Sephience tijdens de studies te hebben?

In één hoofdstudie is aangetoond dat Sephience het fenylalaninegehalte in het bloed verlaagt.

Bij het eerste deel van de studie waren 157 patiënten met PKU betrokken die gedurende 14 dagen Sephience toegediend kregen. Patiënten van 2 jaar en ouder bij wie het fenylalaninegehalte in het bloed met 15 % of meer was gedaald (110 patiënten), werden beschouwd als gevoelig voor de behandeling en waren betrokken bij het tweede deel van het onderzoek. Zij kregen gedurende 6 weken Sephience of placebo (een schijnbehandeling) toegediend. De voornaamste graadmeter voor de werkzaamheid was een verdere verandering in het fenylalaninegehalte in het bloed van de patiënten bij wie het fenylalaninegehalte in het eerste deel van het onderzoek al met 30 % of meer was gedaald.

Bij patiënten die Sephience kregen, bedroeg de daling van het fenylalaninegehalte in het bloed ongeveer 410 micromol per liter (63 % daling ten opzichte van het oorspronkelijke gehalte), tegenover ongeveer 16 micromol per liter (1,4 % daling) bij degenen die placebo kregen. Daarnaast bleek uit de studie dat patiënten van wie bekend was dat ze niet reageerden op sapropterine (een ander geneesmiddel tegen hyperfenylalaninemie) een daling van hun fenylalaninebloedspiegel van 30 % of meer bereikten met Sephience.

Uit gegevens van een lopend onderzoek bleek ook dat de voordelen van de behandeling in de loop van de tijd behouden blijven en patiënten in staat stellen de inname van fenylalanine uit hun voeding te verhogen.

Uit aanvullende gegevens bleek dat de daling van het fenylalaninegehalte in het bloed bij patiënten jonger dan 2 jaar vergelijkbaar was met die bij oudere kinderen.

Welke risico's houdt het gebruik van Sephience in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Sephience.

De meest voorkomende bijwerkingen van Sephience (die bij meer dan 1 op de 10 personen kunnen optreden) zijn infectie van de bovenste luchtwegen (neus- en keelinfectie), hoofdpijn, diarree en buikpijn. Verkleurde ontlasting en hypofenylalaninemie (lage fenylalaninespiegel) kunnen ook voorkomen bij maximaal 1 op de 10 personen.

Waarom is Sephience geregistreerd in de EU?

Er is aangetoond dat Sephience de bloedspiegels van fenylalanine significant verlaagt bij patiënten met PKU na 6 weken behandeling in vergelijking met placebo; dergelijke verlagingen zullen naar verwachting helpen de ziekte onder controle te krijgen en zinvolle voordelen voor de gezondheid opleveren. Aangetoond is dat het effect op het fenylalaninegehalte in de loop van de tijd aanhoudt en de levenskwaliteit van de patiënten verbetert. Sephience is ook een alternatieve behandeling voor patiënten die geen gebruik kunnen maken van of niet reageren op bestaande behandelingen.

Het veiligheidsprofiel van Sephience is geruststellend en er zijn geen ernstige bijwerkingen gemeld.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Sephience groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Sephience te waarborgen?

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Sephience, zijn opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Sephience continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Sephience worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Sephience

Op <datum van afgifte van de handelsvergunning> is een in de hele EU geldige vergunning voor het in de handel brengen van Sephience verleend.

Meer informatie over Sephience is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/sephience.

Dit overzicht is voor het laatst bijgewerkt in 05-2025.