

Kurzbericht Arzneimittelzulassung vom 23.12.2025

Sephience® (Wirkstoff: Sepiapterin)

Zulassung in der Schweiz: 05.08.2025

Pulver zum Einnehmen im Beutel zur Behandlung von Hyperphenylalaninämie bei Patienten mit Phenylketonurie (PKU)

Über das Arzneimittel

Sephience enthält den Wirkstoff Sepiapterin.

Sephience wird zur Behandlung von Hyperphenylalaninämie¹ bei Patienten aller Altersstufen mit Phenylketonurie (PKU) angewendet, die auf diese Behandlung ansprechen.

PKU ist eine erbliche Stoffwechselkrankheit, bei der Betroffene das Phenylalanin² nicht

richtig abbauen können, was zu schädlichen Anhäufungen im Blut und Gehirn führen kann. Sepiapterin hilft, diese Überschüsse zu verringern, wodurch der schädliche Phenylalanin-Gehalt im Blut gesenkt werden kann.

Wirkung

Sephience enthält den Wirkstoff Sepiapterin, der dem natürlichen Stoff im Körper ähnelt, welcher hilft, die Aminosäure Phenylalanin abzubauen. Bei der Erkrankung Phenylketonurie (PKU) funktioniert dieser Abbauprozess nicht richtig, und zu viel Phenylalanin kann sich im Blut und Gehirn an-

sammeln, was schädlich sein kann. Sepiapterin wird im Körper zu einem Stoff namens Tetrahydrobiopterin (BH4) umgewandelt. Dies hilft dabei, die Mengen an Phenylalanin im Blut zu senken, indem es die Aktivität eines speziellen Enzyms³ unterstützt, das für den Abbau von Phenylalanin verantwortlich ist.

¹ Hyperphenylalaninämie ist ein Zustand, bei dem der Phenylalanin-Wert im Blut erhöht ist.

² Phenylalanin: Essentielle Aminosäure, die über die Nahrung aufgenommen wird und als Baustein für wichtige Körperstoffe dient.

³ Enzyme: spezielle Proteine, die chemische Vorgänge im Körper schneller ablaufen lassen.

Anwendung

Sephience ist rezeptpflichtig.

Sephience ist als Pulver zum Einnehmen in Beuteln in den Dosierungen 250 mg und 1000 mg erhältlich.

Die empfohlene Dosis von Sephience richtet sich nach Alter und Körpergewicht der Patientinnen und Patienten. Für Personen ab 2

Jahren beträgt die empfohlene Dosis 60 mg/kg/Tag. Jüngere Kinder erhalten geringere Dosen, die je nach Alter angepasst werden. Das Pulver wird einmal täglich eingenommen und kann in Flüssigkeit wie Wasser oder Apfelsaft aufgelöst werden.

Wirksamkeit

Die Wirksamkeit von Sephience wurde in einer 2-teiligen Studie (PTC923-MD-003-PKU) untersucht.

Zur Bewertung der Wirksamkeit von Sephience bei der Behandlung von Phenylketonurie (PKU) wurden Patienten in zwei Abschnitten geprüft. Im ersten Abschnitt erhielten die Teilnehmer Sephience für 14 Tage, um festzustellen, welche Personen darauf ansprechen. Nach einer mindestens 14-

tägigen Pause ohne Medikamenteneinnahme wurden die Teilnehmer, die im ersten Abschnitt angesprochen hatten, im zweiten Abschnitt nach dem Zufallsprinzip entweder mit Sephience in schrittweise steigenden Dosierungen oder mit einem Placebo (Scheinmedikament) über sechs Wochen behandelt. Die Ergebnisse zeigten eine deutliche Senkung der Phenylalaninwerte im Blut, was die Wirksamkeit von Sephience bei Patienten, die auf das Arzneimittel ansprechen, bestätigte.

Vorsichtsmassnahmen, unerwünschte Wirkungen & Risiken

Sephience darf bei einer Überempfindlichkeit gegenüber dem Wirkstoff oder einem der Hilfsstoffe nicht angewendet werden.

Die häufigsten unerwünschten Wirkungen (betrifft mehr als einen von 10 Behandelten) sind Durchfall, Bauchschmerzen, Infektion der oberen Atemwege (Erkältung) und Kopfschmerzen.

Während der Behandlung mit Sephience sind regelmässige ärztliche Kontrollen erforderlich, um die Phenylalanin Werte im Blut zu messen.

Alle Vorsichtsmassnahmen, Risiken und weitere mögliche unerwünschte Wirkungen sind in der Patientinnen- und Patienteninformation (Packungsbeilage) sowie in der Fachinformation aufgeführt.

Begründung des Zulassungsentscheids

In der Behandlung von Phenylketonurie (PKU) ist eine lebenslange Diät mit wenig Phenylalanin erforderlich, was besonders für Jugendliche und Erwachsene schwierig einzuhalten ist. Sepiapterin bietet eine neue Behandlungsoption, die zusätzlich zur diätetischen Therapie genutzt werden kann, um die Phenylalaninspiegel im Blut langfristig

tiefer zu halten und die Lebensqualität zu verbessern.

Die relevante Zulassungsstudie zeigte, dass bei Patientinnen und Patienten, die Sephience erhielten und auf das Arzneimittel ansprachen, eine deutliche Senkung der Phenylalaninwerte im Blut erreicht werden konnte.

Unter Berücksichtigung aller Risiken und Vorsichtsmassnahmen und aufgrund der vorliegenden Daten überwiegen die Vorteile von Sephience die Risiken. Swissmedic

hat daher das Arzneimittel Sephience mit dem Wirkstoff Sepiapterin für die Schweiz zugelassen.

Weitere Informationen zum Arzneimittel

Information für medizinisches Fachpersonal:
[Fachinformation Sephience ®](#)

Weitere Fragen beantworten Gesundheitsfachpersonen.

Information für Patientinnen und Patienten (Packungsbeilage): [Patientinnen- und Patienteninformation Sephience ®](#)

Der Stand dieser Information entspricht demjenigen des SwissPAR. Neue Erkenntnisse über das zugelassene Arzneimittel fliessen nicht in den Kurzbericht Arzneimittelzulassung ein.

In der Schweiz zugelassene Arzneimittel werden von Swissmedic überwacht. Bei neu festgestellten unerwünschten Arzneimittelwirkungen oder anderen sicherheitsrelevanten Signalen leitet Swissmedic die notwendigen Massnahmen ein. Neue Erkenntnisse, welche die Qualität, die Wirksamkeit oder die Sicherheit dieses Arzneimittels beeinträchtigen könnten, werden von Swissmedic erfasst und publiziert. Bei Bedarf wird die Arzneimittelinformation angepasst.