

Rapport succinct d'autorisation du 23.12.2025

Sephience® (principe actif : sépiaptérine)

Autorisation en Suisse : 05.08.2025

Poudre orale en sachet indiquée dans le traitement de l'hyperphénylalaninémie chez les patients atteints de phénylcétonurie (PCU)

À propos du médicament

Sephience a pour principe actif la sépiaptérine.

Sephience est indiqué dans le traitement de l'hyperphénylalaninémie¹ chez les patients de tous âges atteints de phénylcétonurie (PCU) qui répondent à ce traitement.

La PCU est une maladie métabolique héréditaire qui empêche les personnes qui en sont

atteintes de dégrader correctement la phénylalanine², ce qui peut entraîner des accumulations nocives dans le sang et le cerveau. La sépiaptérine aide à réduire ces accumulations, ce qui permet de réduire l'excès nocif de phénylalanine dans le sang.

Action

Sephience a pour principe actif la sépiaptérine, qui est une version artificielle de la substance naturellement présente dans l'organisme qui aide à dégrader la phénylalanine, un acide aminé. La phénylcétonurie (PCU) est une maladie qui se caractérise par une altération de ce processus de dégradation qui peut provoquer une accumulation

potentiellement nocive de phénylalanine dans le sang et le cerveau. La sépiaptérine est transformée dans l'organisme en une substance appelée tétrahydrobioptérine (BH4). Ce processus contribue à diminuer les quantités de phénylalanine présentes dans le sang en améliorant l'activité d'une enzyme³ spécifique responsable de la dégradation de la phénylalanine.

¹ L'hyperphénylalaninémie est une affection caractérisée par une concentration sanguine élevée en phénylalanine.

² Phénylalanine : Acide aminé essentiel apporté par l'alimentation, qui est un constituant de différentes substances importantes de l'organisme.

³ Enzymes : Protéines spécifiques qui permettent aux réactions chimiques de se dérouler plus rapidement dans l'organisme.

Administration

Sephience est soumis à ordonnance.

Sephience est disponible sous forme de poudre orale en sachets, aux dosages de 250 mg et 1000 mg.

La dose recommandée de Sephience est basée sur l'âge et le poids corporel des patientes et patients. La dose recommandée de

Sephience à partir de l'âge de 2 ans est de 60 mg/kg/jour. Les enfants plus jeunes reçoivent des doses inférieures, qui doivent être adaptées en fonction de l'âge. La poudre peut être mélangée avec un liquide tel que de l'eau ou du jus de pomme et est prise une fois par jour.

Efficacité

L'efficacité de Sephience a été évaluée lors d'une étude en deux parties (PTC923-MD-003-PKU).

Pour évaluer l'efficacité de ce médicament dans le traitement de la phénylcétonurie (PCU), les patients ont été inclus dans une étude qui s'est déroulée en deux parties. Pendant la première partie, Sephience a été administré pendant 14 jours aux participants afin d'évaluer leur réponse à la sépiaptérine. Après une période de sevrage thérapeutique

d'au moins 14 jours, les patients qui avaient répondu au traitement lors de la première partie ont été répartis aléatoirement (randomisés), dans la deuxième partie, pour recevoir pendant 6 semaines soit de la sépiaptérine (Sephience) à des doses progressivement croissantes, soit un placebo (médicament factice). Les résultats ont montré une baisse significative des concentrations sanguines de phénylalanine, confirmant l'efficacité de Sephience chez les patients qui répondent au médicament.

Précautions, effets indésirables et risques

La préparation Sephience ne doit pas être utilisée en cas d'hypersensibilité au principe actif ou à l'un de ses excipients.

Les effets indésirables les plus fréquents (observés chez plus de 1 patient traité sur 10) sont les suivants : diarrhée, douleurs abdominales, infection des voies aériennes supérieures (refroidissement) et céphalées.

Les patients traités par Sephience doivent faire l'objet d'examens médicaux réguliers afin de contrôler les taux sanguins de phénylalanine.

Toutes les précautions applicables ainsi que les risques et les autres effets indésirables possibles sont énumérés dans l'information destinée aux patients (notice d'emballage) ainsi que dans l'information professionnelle.

Justification de la décision d'autorisation

Le traitement de la phénylcétonurie (PCU) inclut un régime pauvre en phénylalanine qui doit être suivi à vie, ce qui est particulièrement difficile à respecter pour les adolescents et les adultes. La sépiaptérine offre une nouvelle option thérapeutique qui peut être utilisée en complément du régime alimentaire pour diminuer durablement le

taux sanguin de phénylalanine et améliorer ainsi la qualité de vie.

L'étude menée en vue de l'autorisation a montré une baisse significative des taux sanguins de phénylalanine chez les patientes et patients ayant reçu Sephience et répondu au médicament.

Au vu des données disponibles, et lorsque tous les risques et l'ensemble des mesures de précaution à respecter sont pris en considération, les bénéfices offerts par Sephience

sont supérieurs aux risques. Swissmedic a donc autorisé en Suisse le médicament Sephience, dont le principe actif est la sépiaptérine.

Informations complémentaires sur le médicament

Information pour les personnes exerçant une profession médicale : [Information professionnelle de la préparation Sephience ®](#)

Information destinée aux patients (notice d'emballage) : [Information destinée aux patients de Sephience ®](#)

Les professionnels de santé sont là pour répondre à toute autre question.

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le rapport succinct d'autorisation.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'affecter la qualité, l'efficacité ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.