



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10. října 2025
EMA/432931/2024
EMA/H/C/005954

Zamítnutí registrace přípravku Syfovre (*pegcetakoplan*)

Přezkoumání potvrdilo zamítnutí registrace

Společnost Apellis Europe B.V., která podala žádost o registraci, požádala o přezkoumání původního stanoviska agentury EMA ze dne 27. června 2024, které doporučilo zamítnutí registrace přípravku Syfovre určeného k léčbě geografické atrofie způsobené věkově podmíněnou makulární degenerací.

Po přezkoumání svého původního stanoviska vydala Evropská agentura pro léčivé přípravky dne 19. září 2024 své konečné stanovisko, v němž potvrdila své doporučení registraci přípravku Syfovre zamítnout.

Co je přípravek Syfovre a k čemu měl být používán?

Přípravek Syfovre byl vyvinut jako léčivý přípravek k léčbě dospělých s geografickou atrofií, což je pokročilá forma věkem podmíněné makulární degenerace. Věkem podmíněná makulární degenerace je onemocnění postihující centrální část sítnice (zvanou makula) na očním pozadí. U pacientů s geografickou atrofií v sítnici a makule vznikají léze (oblasti s odumírajícími buňkami), což vede ke ztrátě zraku. Přípravek Syfovre obsahuje léčivou látku pegcetakoplan a měl být dostupný ve formě roztoku k injekčnímu podání do oka.

Jak přípravek Syfovre působí?

Komplementový systém je soubor bílkovin, které jsou součástí imunitního systému (přirozeného obranného systému těla). U osob s geografickou atrofií je komplementový systém nadměrně aktivní, což způsobuje zánět a odumírání buněk. Léčivá látka v přípravku Syfovre, pegcetakoplan, se váže na bílkovinu C3 komplementového systému a blokuje ji. Blokováním bílkoviny C3 zabraňuje pegcetakoplan aktivaci komplementového systému. To zpomaluje růst lézí vzniklých v důsledku geografické atrofie.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila výsledky dvou hlavních studií, do kterých bylo zařazeno celkem 1 258 dospělých s geografickou atrofií způsobenou věkem podmíněnou makulární degenerací. Studie trvaly 24 měsíců a porovnávaly přípravek Syfovre injekčně podávaný do oka s předstíraným podáváním přípravku (ve

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



skutečnosti injekce nebyly podány). Hlavním měřítkem účinnosti byla změna velikosti lézí v oku vzniklých v důsledku geografické atrofie po 12 měsících.

Jaké byly hlavní důvody zamítnutí registrace?

V době počátečního hodnocení agentura usoudila, že ačkoli studie prokázaly, že přípravek Syfovre zpomaluje růst lézí vzniklých v důsledku geografické atrofie, nepředstavuje to klinicky významné přínosy pro pacienty. Bylo konstatováno, že přínosy léčby by měly mít vliv na každodenní fungování pacientů, což nebylo ve studiích prokázáno. Pokud jde o bezpečnost, pravidelně podávané injekce do oka s sebou nesou značné riziko nežádoucích účinků, včetně vzniku jiných forem věkem podmíněné makulární degenerace nebo zánětu oka, které by mohly zrak ještě zhoršit.

Po přezkoumání předložených údajů a zvážení informací poskytnutých pacienty a zdravotnickými organizacemi (v rámci tzv. intervence třetích stran) tyto obavy přetrvaly. Přestože si je agentura vědoma nenaplněné potřeby účinné léčby osob s geografickou atrofií způsobenou věkem podmíněnou makulární degenerací, nadále zastávala názor, že rozsah účinnosti přípravku Syfovre nepřevyšuje možná rizika. Agentura proto usoudila, že v rámci léčby geografické atrofie způsobené věkem podmíněnou makulární degenerací nelze dospět k závěru, že poměr přínosů a rizik léčivého přípravku je příznivý.

Jaké jsou důsledky zamítnutí registrace pro pacienty zařazené do klinických studií?

Společnost informovala agenturu, že zamítnutí registrace nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou zařazeni do klinických studií s přípravkem Syfovre.

Pokud jste zařazeni do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.