



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Afslag på ansøgningen om markedsføringstilladelse for Syfovre (*pegcetacoplan*)

Bekræftelse- af afslag efter revurdering

Den virksomhed, der ansøgte om markedsføringstilladelse, Apellis Europe B.V., havde anmodet om en fornyet gennemgang af EMA's oprindelige udtalelse af 27. juni 2024, hvori det anbefalede afslag på markedsføringstilladelsen for Syfovre, et lægemiddel til behandling af geografisk atrofi forårsaget af aldersrelateret makulær degeneration (AMD).

Efter at have taget sin oprindelige udtalelse op til fornyet overvejelse afgav Det Europæiske Lægemiddelagentur den 19. september 2024 sin endelige udtalelse, hvori det bekræftede sin anbefaling om afslag på markedsføringstilladelse for Syfovre.

Hvad er Syfovre, og hvad forventedes det anvendt til?

Syfovre blev udviklet som et lægemiddel til behandling af voksne med geografisk atrofi, en avanceret form for AMD. AMD er en sygdom, der angriber den centrale del af nethinden (makula) bagest i øjet. Hos patienter med geografisk atrofi udvikler der sig læsioner (områder med celledød) i nethinden og makula, hvilket fører til synstab. Syfovre indeholder det aktive stof pegcetacoplan og skulle have været markedsført som en opløsning til injektion i øjet.

Hvordan virker Syfovre?

Komplementsystemet er en række proteiner, der indgår i immunforsvaret. Hos personer med geografisk atrofi er komplementsystemet overaktivt, hvilket forårsager betændelse og celledød. Det aktive stof i Syfovre, pegcetacoplan, binder til og blokerer komplementsystemets C3-protein. Ved at blokere C3 forhindrer pegcetacoplan aktivering af komplementsystemet. Derved bremses væksten af læsioner forårsaget af geografisk atrofi.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde resultater fra to hovedstudier blandt i alt 1 258 voksne med geografisk atrofi forårsaget af AMD. I studierne, der varede 24 måneder, sammenlignede man Syfovre givet som injektion i øjet med en skinprocedure, hvor der ikke blev givet nogen faktisk injektion. Virkningen blev

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



hovedsagelig bedømt på ændringen i størrelsen af læsioner i øjet forårsaget af geografisk atrofi efter 12 måneder.

Hvad var hovedårsagerne til afslaget på ansøgningen om markedsføringstilladelse?

På tidspunktet for den indledende vurdering fandt agenturet, at selv om studierne viste, at Syfovre bremsede væksten af læsioner forårsaget af geografisk atrofi, gav dette ikke klinisk meningsfulde fordele for patienterne. Det blev bemærket, at fordelene ved en behandling burde have en indvirkning på patienternes daglige funktion, og dette blev ikke påvist i studierne. Hvad sikkerheden angår, indebærer regelmæssige injektioner i øjet en betydelig risiko for bivirkninger, herunder udvikling af andre former for AMD eller betændelse i øjet, hvilket kan forværre synet yderligere.

Disse betænkeligheder ændrede sig ikke efter revurdering af de leverede data og vurdering af information modtaget fra patienter og sundhedsfaglige organisationer (såkaldte tredjepartsinterventioner). Selv om agenturet anerkender det uopfyldte medicinske behov for effektiv behandling hos personer med geografisk atrofi forårsaget af AMD, var det fortsat af den opfattelse, at effektiviteten af Syfovre ikke opvejede de potentielle risici. Agenturet konkluderede derfor, at der ikke kunne fastlægges en positiv balance mellem lægemidlets fordele og risici ved behandling af geografisk atrofi forårsaget af AMD.

Har dette afslag betydning for patienter, der deltager i kliniske forsøg?

Virksomheden informerede agenturet om, at det ikke har konsekvenser for patienter, der deltager i kliniske forsøg med Syfovre.

Hvis du deltager i et klinisk forsøg og har behov for yderligere information om din behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig.