



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen für Syfovre (*Pegcetacoplan*)

Überprüfung bestätigt Versagung

Das Unternehmen, das die Genehmigung für das Inverkehrbringen beantragt hat, Apellis Europe B.V., hatte eine erneute Überprüfung des ursprünglichen Gutachtens der EMA vom 27. Juni 2024 beantragt, in dem empfohlen wurde, die Genehmigung für das Inverkehrbringen für Syfovre, ein Arzneimittel zur Behandlung geografischer Atrophie infolge altersbedingter Makuladegeneration (AMD), zu versagen.

Nach erneuter Prüfung ihres ursprünglichen Gutachtens gab die Europäische Arzneimittel-Agentur am 19. September 2024 ihr endgültiges Gutachten ab, in dem sie ihre Empfehlung bestätigte, die Genehmigung für das Inverkehrbringen für Syfovre zu versagen.

Was ist Syfovre und wofür sollte es angewendet werden?

Syfovre wurde als Arzneimittel zur Behandlung von Erwachsenen mit geografischer Atrophie, einer fortgeschrittenen Form von AMD, entwickelt. AMD ist eine Erkrankung, die den zentralen Teil der Netzhaut (als Makula bezeichnet) im hinteren Teil des Auges betrifft. Bei Patienten mit geografischer Atrophie entwickeln sich Läsionen (Bereiche des Zelltodes) in der Netzhaut und Makula, die zum Verlust des Sehvermögens führen. Syfovre enthält den Wirkstoff Pegcetacoplan und sollte als Lösung zur Injektion in das Auge erhältlich sein.

Wie wirkt Syfovre?

Beim Komplementsystem handelt es sich um eine Reihe von Proteinen, die Teil des Immunsystems (der natürlichen Abwehr des Körpers) sind. Bei Menschen mit geografischer Atrophie ist das Komplementsystem überaktiv, was zu Entzündungen und Zelltod führt. Der Wirkstoff in Syfovre, Pegcetacoplan, bindet an das C3-Protein des Komplementsystems und blockiert es. Durch die Blockierung von C3 verhindert Pegcetacoplan die Aktivierung des Komplementsystems. Dadurch wird das Wachstum der im Zusammenhang mit der geografischen Atrophie entwickelten Läsionen verlangsamt.

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



Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Das Unternehmen legte Ergebnisse aus zwei Hauptstudien vor, an denen insgesamt 1 258 Erwachsene mit durch AMD verursachter geografischer Atrophie teilnahmen. Die Studien dauerten 24 Monate und verglichen Syfovre-Injektionen ins Auge mit einem Scheinverfahren, bei dem keine tatsächliche Injektion vorgenommen wurde. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit war die Veränderung der Größe der im Zusammenhang mit der geografischen Atrophie entwickelten Läsionen im Auge nach 12 Monaten.

Was waren die Hauptgründe für die Versagung der Genehmigung für das Inverkehrbringen?

Obwohl die Studien zeigten, dass Syfovre das Wachstum der im Zusammenhang mit der geografischen Atrophie entwickelten Läsionen verlangsamte, war die Agentur zum Zeitpunkt der ersten Bewertung der Auffassung, dass dies nicht zu einem klinisch relevanten Nutzen für die Patienten führte. Es wurde festgestellt, dass der Nutzen einer Behandlung Auswirkungen auf das alltägliche Funktionieren der Patienten haben sollte, und dies wurde in den Studien nicht nachgewiesen. In Bezug auf die Sicherheit ist festzustellen, dass regelmäßige Injektionen ins Auge ein erhebliches Risiko für unerwünschte Ereignisse bergen, einschließlich der Entwicklung anderer Formen von AMD oder Entzündungen im Auge, die das Sehvermögen weiter verschlechtern könnten.

Diese Bedenken haben sich nach der erneuten Überprüfung der vorgelegten Daten und der Berücksichtigung der von Patienten und Berufsverbänden im Gesundheitswesen ausgetauschten Informationen (sogenannte Interventionen Dritter) nicht geändert. Obwohl die Agentur den ungedeckten medizinischen Bedarf an einer wirksamen Behandlung von Menschen mit durch AMD verursachter geografischer Atrophie einräumt, war sie nach wie vor der Ansicht, dass das Ausmaß der Wirksamkeit von Syfovre die potenziellen Risiken nicht überwog. Die Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass bei der Behandlung einer durch AMD verursachten geografischen Atrophie kein positives Verhältnis zwischen Nutzen und Risiken des Arzneimittels festgestellt werden konnte.

Hat die Versagung Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien teilnehmen?

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die derzeit an klinischen Studien mit Syfovre teilnehmen.

Sollten Sie an einer klinischen Studie teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren Prüfartz.