



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10 Οκτωβρίου 2025
EMA/432931/2024
EMA/H/C/005954

Απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Syfonre (πεγκσετακοπλάνη)

Επιβεβαίωση της απόρριψης μετά από επανεξέταση

Η εταιρεία που υπέβαλε αίτηση για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας, η Apellis Europe B.V., είχε ζητήσει επανεξέταση της αρχικής γνώμης του EMA, της 27ης Ιουνίου 2024, σχετικά με την απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Syfonre, φάρμακο που προορίζεται για τη θεραπεία της γεωγραφικής ατροφίας που προκαλείται από την ηλικιακή εκφύλιση της ωχράς κηλίδας (ΗΕΩ).

Μετά από επανεξέταση της αρχικής του γνώμης, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων εξέδωσε την οριστική του γνώμη στις 19 Σεπτεμβρίου 2024, με την οποία επιβεβαίωσε την εισήγησή του για απόρριψη της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Syfonre.

Τι είναι το Syfonre και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;

Το Syfonre αναπτύχθηκε ως φάρμακο για τη θεραπεία ενηλίκων με γεωγραφική ατροφία, μια προχωρημένη μορφή ΗΕΩ. Η ΗΕΩ είναι μια νόσος που προσβάλλει το κεντρικό τμήμα του αμφιβληστροειδούς χιτώνα (που ονομάζεται ωχρά κηλίδα), το οποίο βρίσκεται στο πίσω μέρος του οφθαλμού. Σε ασθενείς με γεωγραφική ατροφία, αναπτύσσονται στον αμφιβληστροειδή και την ωχρά κηλίδα βλάβες (περιοχές κυτταρικού θανάτου), με αποτέλεσμα την απώλεια της όρασης. Το Syfonre περιέχει τη δραστική ουσία πεγκσετακοπλάνη και επρόκειτο να διατεθεί υπό μορφή διαλύματος για έγχυση εντός του οφθαλμού.

Πώς δρα το Syfonre;

Το σύστημα του συμπληρώματος είναι ένα σύνολο πρωτεϊνών που αποτελούν τμήμα του ανοσοποιητικού συστήματος (της φυσικής άμυνας του οργανισμού). Σε άτομα με γεωγραφική ατροφία, το σύστημα του συμπληρώματος είναι υπερδραστήριο, προκαλώντας φλεγμονή και κυτταρικό θάνατο. Η δραστική ουσία του Syfonre, η πεγκσετακοπλάνη, προσκολλάται και αναστέλλει τη δράση της πρωτεΐνης C3 του συστήματος του συμπληρώματος. Αναστέλλοντας τη δράση της C3, η πεγκσετακοπλάνη εμποδίζει την ενεργοποίηση του συστήματος του συμπληρώματος. Κατ' αυτόν τον τρόπο επιβραδύνεται η ανάπτυξη των βλαβών της γεωγραφικής ατροφίας.

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



Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Η εταιρεία παρουσίασε τα αποτελέσματα δύο κύριων μελετών στις οποίες μετείχαν συνολικά 1 258 ενήλικες με γεωγραφική ατροφία που προκαλείται από την ΗΕΩ. Οι μελέτες διήρκεσαν 24 μήνες και συνέκριναν τις ενέσεις Syfovre στον οφθαλμό με εικονική διαδικασία κατά την οποία δεν χορηγήθηκε πραγματική ένεση. Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας ήταν η μεταβολή του μεγέθους των βλαβών γεωγραφικής ατροφίας στους οφθαλμούς μετά από 12 μήνες.

Ποιοι ήταν οι βασικοί λόγοι απόρριψης της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας;

Κατά τον χρόνο της αρχικής αξιολόγησης, παρότι οι μελέτες κατέδειξαν ότι το Syfovre επιβράδυνε την ανάπτυξη βλαβών γεωγραφικής ατροφίας, ο Οργανισμός έκρινε ότι το γεγονός αυτό δεν οδήγησε σε κλινικά σημαντικά οφέλη για τους ασθενείς. Επισημάνθηκε ότι τα οφέλη της θεραπείας θα έπρεπε να έχουν αντίκτυπο στην καθημερινή λειτουργία των ασθενών, κάτι που δεν αποδείχθηκε στις μελέτες. Σε ό, τι αφορά την ασφάλεια, οι τακτικές ενέσεις εντός του οφθαλμού ενέχουν σημαντικό κίνδυνο εμφάνισης ανεπιθύμητων ενεργειών, περιλαμβανομένης της ανάπτυξης άλλων μορφών ΗΕΩ ή φλεγμονής στον οφθαλμό, οι οποίες θα μπορούσαν να επιδεινώσουν περαιτέρω την όραση.

Οι ανησυχίες αυτές δεν άλλαξαν μετά την επανεξέταση των δεδομένων που παρασχέθηκαν και την εξέταση των πληροφοριών που κοινοποίησαν οι ασθενείς και οι οργανώσεις επαγγελματιών του τομέα της υγείας (οι λεγόμενες παρεμβάσεις τρίτων). Μολονότι ο Οργανισμός αναγνωρίζει την μη ικανοποιούμενη ιατρική ανάγκη για αποτελεσματική θεραπεία των ατόμων με γεωγραφική ατροφία που προκαλείται από την ΗΕΩ, εξακολουθεί να θεωρεί ότι η έκταση της αποτελεσματικότητας του Syfovre δεν υπερτερούσε των δυνητικών κινδύνων. Ως εκ τούτου, ο Οργανισμός κατέληξε στο συμπέρασμα ότι δεν ήταν δυνατόν να τεκμηριωθεί θετική σχέση οφέλους-κινδύνου του φαρμάκου για τη θεραπεία της γεωγραφικής ατροφίας που προκαλείται από την ΗΕΩ.

Επηρεάζει η απόρριψη της αίτησης τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές;

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν συνέπειες για τους ασθενείς που συμμετέχουν επί του παρόντος σε κλινικές δοκιμές με το Syfovre.

Εάν συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που σας παρακολουθεί στο πλαίσιο της δοκιμής.