



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Müügiloa andmisest keeldumine: Syfovre (pegtsetakoplaan)

Taasläbivaatamisel kinnitati keeldumist

Müügiloa taotleja Apellis Europe B.V. palus uuesti läbi vaadata EMA 27. juuni 2024 esialgne arvamuse, milles soovitati keelduda müügiloa andmisest ravimile Syfovre, mida kavatseti kasutada makula ealise degeneratsiooni (AMD) põhjustatud geograafilise atroofia raviks.

Pärast algse arvamuse taasläbivaatamist esitas Euroopa Raviamet 19. septembril 2024 lõpliku arvamuse, milles kinnitas soovitus keelduda ravimile Syfovre müügiloa andmisest.

Mis on Syfovre ja milleks kavatseti seda kasutada?

Syfovre töötati välja ravimina AMD kaugelearenenud vormi geograafilise atroofiaga täiskasvanud patsientide raviks. AMD on haigus, mis kahjustab võrkkesta keskosa (kollastähni) silma tagaosas. Geograafilise atroofiaga patsientidel tekivad võrkkesta ja kollastähni kahjustused (rakkude hävimise piirkonnad), mis põhjustavad nägemiskaotust. Syfovre sisaldab toimeainet pegtsetakoplaani ja seda kavatseti turustada silma süstitava lahuseana.

Kuidas Syfovre toimib?

Komplementisüsteem on valkude kogum, mis on osa immuunsüsteemist (organismi looduslikust kaitsemehhanist). Geograafilise atroofiaga inimestel on komplementisüsteem üliaktiivne, mis põhjustab põletikku ja rakkude hävimist. Syfovre toimeaine pegtsetakoplaan seondub komplementisüsteemi C3-valguga ja blokeerib selle. C3-valku blokeerides takistab pegtsetakoplaan komplementisüsteemi aktiveerumist. See aeglustab geograafilise atroofia kahjustuste suurenemist.

Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas tulemused kahest põhiuuringust, milles osales kokku 1258 täiskasvanut, kellel oli AMD põhjustatud geograafiline atroofia. Uuringud kestsid 24 kuud ja nendes võrreldi Syfovre silmasiseseid süsteid ja näilist protseduuri, milles ei tehtud tegelikku süstet. Efektiivsuse põhinäitaja oli silma geograafilise atroofia kahjustuste suuruse muutus pärast 12 kuud.

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



Mis olid müügiloa andmisest keeldumise peamised põhjused?

Esialgse hindamise ajal leidis amet, et kuigi uuringud tõendasid, et Syfovre aeglustas geograafilise atroofia kahjustuste suurenemist, ei kaasnud sellega kliiniliselt olulist kasulikkust patsientidele. Märgiti, et ravi kasulikkus peaks mõjutama patsientide igapäevast toimimist, kuid uuringutes seda ei tõendatud. Ohutuse seisukohast on korrapärastel silmasisestel süstetel oluline kõrvalnähtude risk, sealhulgas võivad tekkida muud AMD vormid või silmapõletik, mis võivad nägemist veelgi halvendada.

Need probleemid ei muutunud pärast esitatud andmete taasläbivaatamist ning patsientidelt ja tervishoiutöötajate organisatsioonidelt saadud teabe kaalutlemist (kolmandate isikute sekkumist). Kuigi amet tunnistab, et AMD põhjustatud geograafilise atroofiaga inimeste ravivajadus on rahuldamata, on amet endiselt arvamusel, et Syfovre efektiivsus ei ole suurem kui selle võimalikud riskid riske. Seetõttu järeldas amet, et ei ole võimalik tõestada ravimi kasulikkuse ja riskide positiivset tasakaalu AMD põhjustatud geograafilise atroofia ravis.

Kas keeldumine mõjutab kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas ametile, et taotluse tagasivõtmine ei mõjuta Syfovre kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente.

Kui osalete ravimi kliinilises uuringus ja vajate ravi kohta lisateavet, rääkige kliinilise uuringu arstiga.