



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Syfovren (*pegsetakoplaani*) myyntiluvan epääminen

Epääminen vahvistettu uudelleenarvioinnissa

Myyntilupaa hakenut yhtiö Apellis Europe B.V. oli pyytänyt Euroopan lääkevirastoa tarkastelemaan uudelleen 27. kesäkuuta 2024 antamaansa alkuperäistä lausuntoa. Lausunnossa suositeltiin myyntiluvan epäämistä Syfovre-lääkkeeltä, joka on tarkoitettu silmänpohjan ikärappeumasta johtuvan geografisen atrofian hoitoon.

Tarkasteltuaan uudelleen alkuperäistä lausuntoaan lääkevirasto antoi 19. syyskuuta 2024 lopullisen lausuntonsa, jossa se edelleen suosittelee Syfovren myyntiluvan epäämistä.

Mitä Syfovre on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Syfovre kehitettiin lääkkeeksi, jolla hoidetaan aikuisten geografista atrofiaa, joka on silmänpohjan ikärappeuman pitkälle edennyt muoto. Silmänpohjan ikärappeuma on sairaus, joka vaikuttaa verkkokalvon keskiosaan (makulaan) silmän takaosassa. Geografisesta atrofiasta kärsivillä potilailla vaurioita (alueita, joilla solut kuolevat) kehittyvät verkkokalvolla ja sen makulassa, mikä johtaa näön menetykseen. Syfovren vaikuttava aine on pegsetakoplaani. Lääkevalmistetta oli määrä olla saatavana silmään injektoitavana liuoksena.

Miten Syfovre vaikuttaa?

Komplementtijärjestelmään kuuluu joukko proteiineja, jotka ovat osa immuunijärjestelmää (kehon luonnollista puolustusmekanismia). Henkilöillä, joilla on geografinen atrofia, komplementtijärjestelmä on yliaktiivinen, mikä aiheuttaa tulehdusta ja solukuolemaa. Syfovren vaikuttava aine pegsetakoplaani kiinnittyy komplementtijärjestelmän C3-proteiiniin ja estää sen toiminnan. Estämällä C3:n toimintaa pegsetakoplaani estää komplementtijärjestelmän aktivoitumisen. Tämä hidastaa geografisten atrofiavaurioiden kasvua.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tulokset kahdesta päätutkimuksesta, joihin osallistui yhteensä 1 258 silmänpohjan ikärappeumasta johtuvaa geografista atrofiaa sairastavaa aikuista. Tutkimukset kestivät 24 kuukautta, ja niissä verrattiin silmään annettavia Syfovre-injektioita näennäisinjektioihin, joissa varsinaista

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



injektiota ei annettu. Tehon pääasiallisena mittana oli muutos silmän geografisten atrofiavaurioiden koossa 12 kuukauden jälkeen.

Mitkä olivat tärkeimmät syyt myyntiluvan epäämiseen?

Ensimmäisen arvioinnin aikaan lääkevirasto katsoi, että vaikka tutkimukset osoittivat Syfovren hidastaneen geografisen atrofian aiheuttamien vaurioiden kasvua, sen kliininen hyöty potilaille ei ollut merkittävä. Lääkevirasto totesi, että hoidon hyödyillä pitäisi olla vaikutusta potilaiden jokapäiväiseen toimintaan, eikä tätä ollut osoitettu tutkimuksissa. Turvallisuuden osalta silmään säännöllisesti annettaviin injektioihin liittyy merkittävä haittavaikutusten riski, mukaan lukien muiden silmänpohjan ikärappeuman muotojen tai tulehduksen kehittyminen silmässä, mikä voi heikentää näkökykyä entisestään.

Nämä huolenaiheet eivät olleet muuttuneet toimitettujen tietojen uudelleentarkastelun sekä potilaiden ja terveydenhuollon ammatillisten järjestöjen toimittamien tietojen tarkastelun jälkeen (ns. kolmannen osapuolen toimet). Vaikka lääkevirasto myöntää, ettei silmänpohjan ikärappeumasta johtuvaa geografista atrofiaa sairastaville potilaille ole tehokasta hoitoa, se katsoi edelleen, että Syfovren teho ei ole sen mahdollisia riskejä suurempi. Näin ollen lääkeviraston päätelmänä oli, ettei lääkkeen hyöty-riski-tasapainoa voitu vahvistaa silmänpohjan ikärappeumasta johtuvan geografisen atrofian hoidossa.

Vaikuttaako epääminen kliinisiin tutkimuksiin osallistuviin potilaisiin?

Yhtiö ilmoitti lääkevirastolle, että epäämisestä ei ole mitään seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Syfovre-valmistetta koskeviin kliinisiin tutkimuksiin.

Jos olet mukana kliinisessä tutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa hoidostasi, keskustele asiasta kliinisestä tutkimuksesta vastaavan lääkärin kanssa.