



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refus de l'autorisation de mise sur le marché pour Syfovre (*pegcétacoplan*)

Le réexamen confirme le refus

La société ayant demandé l'autorisation de mise sur le marché, Apellis Europe B.V., avait demandé un réexamen de l'avis initial de l'Agence européenne des médicaments du 27 juin 2024 recommandant le refus de l'autorisation de mise sur le marché pour Syfovre, un médicament destiné au traitement de l'atrophie géographique causée par la dégénérescence maculaire liée à l'âge (DMLA).

Après avoir réexaminé son avis initial, l'Agence européenne des médicaments a rendu son avis final le 19 septembre 2024, dans lequel elle a confirmé sa recommandation de refuser l'autorisation de mise sur le marché pour Syfovre.

Qu'est-ce que Syfovre et dans quel cas devait-il être utilisé?

Syfovre a été développé en tant que médicament pour traiter les adultes atteints d'atrophie géographique, une forme avancée de DMLA. La DMLA est une maladie qui touche la partie centrale de la rétine (appelée la macula) située à l'arrière de l'œil. Chez les patients atteints d'atrophie géographique, des lésions (zones de mort cellulaire) se développent dans la rétine et la macula, ce qui entraîne une perte de vision. Syfovre contient la substance active pegcétacoplan et devait être disponible sous forme de solution à injecter dans l'œil.

Comment Syfovre agit-il?

Le système du complément est un ensemble de protéines qui fait partie intégrante du système immunitaire (les défenses naturelles de l'organisme). Chez les personnes atteintes d'atrophie géographique, le système du complément est suractif, ce qui entraîne une inflammation et la mort des cellules. La substance active de Syfovre, le pegcétacoplan, se fixe à la protéine C3 du système du complément et la bloque. En bloquant la protéine C3, le pegcétacoplan empêche l'activation du système du complément, ce qui ralentit la croissance des lésions atrophiques géographiques.

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



Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

La société a présenté les résultats de deux études principales portant sur un total de 1 258 adultes atteints d'atrophie géographique causée par la DMLA. Les études ont duré 24 mois et ont comparé les injections de Syfovre dans l'œil à une procédure placebo au cours de laquelle aucune injection réelle n'a été administrée. Le principal critère d'évaluation de l'efficacité était la modification de la taille des lésions atrophiques géographiques dans l'œil après 12 mois.

Quels étaient les principaux motifs ayant conduit au refus de l'autorisation de mise sur le marché?

Au moment de l'évaluation initiale, bien que les études aient montré que Syfovre ralentissait la croissance des lésions atrophiques géographiques, l'Agence a estimé que cela n'avait pas entraîné de bénéfices cliniquement significatifs pour les patients. Il a été noté que les bénéfices d'un traitement devraient avoir une incidence sur les activités de la vie quotidienne des patients, ce qui n'a pas été démontré par les études. Du point de vue de la sécurité, les injections régulières dans l'œil comportent un risque important d'événements indésirables, y compris le développement d'autres formes de DMLA ou d'inflammations oculaires, qui pourraient aggraver la perte de vision.

Ces préoccupations sont restées inchangées après le réexamen des données fournies et la prise en considération des informations partagées par les patients et les organisations professionnelles de santé (par le biais de ce qu'on appelle des «interventions de tiers»). Bien que l'Agence reconnaisse que le traitement efficace des personnes atteintes d'atrophie géographique causée par la DMLA constitue un besoin médical insatisfait, elle reste d'avis que le degré d'efficacité de Syfovre ne l'emporte pas sur ses risques potentiels. Par conséquent, l'Agence a conclu que le rapport bénéfice/risque du médicament n'était pas favorable dans le traitement de l'atrophie géographique causée par la DMLA.

Ce refus a-t-il des conséquences pour les patients participant aux essais cliniques?

La société a informé l'Agence qu'il n'y avait aucune conséquence pour les patients inclus dans des essais cliniques utilisant Syfovre.

Si vous participez à un essai clinique et que vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement, contactez le médecin qui dirige l'essai clinique.