



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Odbijanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Syfovre (pegcetakoplan)

Odbijanje se potvrđuje nakon preispitivanja

Tvrtka koja je podnijela zahtjev za odobrenje za stavljanje lijeka u promet, Apellis Europe B.V., zatražila je preispitivanje početnog mišljenja EMA-e od 27. lipnja 2024. u kojem se preporučuje odbijanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Syfovre, namijenjenog liječenju geografske atrofije uzrokovane makularnom degeneracijom povezanom s dobi (AMD).

Nakon preispitivanja svojeg prvotnog mišljenja Europska agencija za lijekove izdala je 19. rujna 2024. svoje konačno mišljenje u kojem je potvrdila svoju preporuku za odbijanje odobrenja za stavljanje u promet lijeka Syfovre.

Što je Syfovre i za što se trebao koristiti?

Syfovre je razvijen kao lijek za liječenje odraslih osoba s geografskom atrofijom, naprednim oblikom AMD-a. AMD je bolest koja zahvaća središnji dio mrežnice (koji se naziva makula) u stražnjem dijelu oka. U bolesnika s geografskom atrofijom razvijaju se lezije (područja odumiranja stanica) u mrežnici i makuli, što dovodi do gubitka vida. Syfovre sadrži djelatnu tvar pegcetakoplan i trebao je biti dostupan u obliku otopine za ubrizgavanje u oko.

Kako djeluje Syfovre?

Komplementni sustav je niz bjelančevina i čini dio imunskog sustava (prirodne obrane tijela). U osoba s geografskom atrofijom komplementni sustav prekomjerno je aktivan, što uzrokuje upalu i odumiranje stanica. Djelatna tvar lijeka Syfovre, pegcetakoplan, veže se uz bjelančevinu C3 i blokira je u komplementnom sustavu. Blokiranjem bjelančevine C3 pegcetakoplan sprječava aktivaciju komplementnog sustava. Time se usporava rast lezija geografske atrofije.

Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Tvrtka je predstavila rezultate dvaju glavnih ispitivanja koja su obuhvaćala ukupno 1258 odraslih osoba s geografskom atrofijom uzrokovanom AMD-om. Ispitivanja su trajala 24 mjeseca i u njima su injekcije lijeka Syfovre u oko uspoređivane s fiktivnim postupkom u kojem nije davana stvarna

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



injekcija. Glavno mjerilo učinkovitosti bila je promjena veličine lezija geografske atrofije u oku nakon 12 mjeseci.

Koji su bili glavni razlozi za odbijanje odobrenja za stavljanje lijeka u promet?

U trenutku početne ocjene, premda su ispitivanja pokazala da je lijek Syfovre usporio rast lezija geografske atrofije, Agencija je smatrala da to nije dovelo do klinički značajnih koristi za bolesnike. Primijećeno je da koristi od liječenja trebaju utjecati na svakodnevno funkcioniranje bolesnika, što nije dokazano u ispitivanjima. U pogledu sigurnosti, redovite injekcije u oko nose znatan rizik od štetnih događaja, uključujući razvoj drugih oblika AMD-a ili upale u oku, što bi moglo dodatno pogoršati vid.

Ovi razlozi za zabrinutost nisu se promijenili nakon preispitivanja dostavljenih podataka i razmatranja informacija koje su podijelili bolesnici i organizacije zdravstvenih radnika (takozvane intervencije trećih strana). Iako Agencija prepoznaje nezadovoljenu medicinsku potrebu za učinkovitim liječenjem osoba s geografskom atrofijom uzrokovanom AMD-om, i dalje je bila mišljenja da opseg učinkovitosti lijeka Syfovre ne nadmašuje moguće rizike. Stoga je Agencija zaključila da se ne može utvrditi pozitivan omjer koristi i rizika lijeka u liječenju geografske atrofije uzrokovane AMD-om.

Ima li ovo odbijanje posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima?

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema posljedica za bolesnike koji su uključeni u klinička ispitivanja u kojima se koristi lijek Syfovre.

Ako sudjelujete u kliničkom ispitivanju te vam je potrebno više informacija o liječenju, obratite se liječniku koji vodi vaše kliničko ispitivanje.