



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

A Syfovre-ra (*pegcetacoplan*) vonatkozó forgalombahozatali engedély elutasítása

A felülvizsgálat megerősíti az elutasítást

A forgalombahozatali engedély iránti kérelmet benyújtó Apellis Europe B.V. az Európai Gyógyszerügynökség eredeti, az időskori makuladegeneráció (AMD) által okozott geográfiai atrófia kezelésére szánt Syfovre-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély elutasítását javasoló, 2024. június 27-i véleményének felülvizsgálatát kérte.

Az Európai Gyógyszerügynökség eredeti véleményének felülvizsgálatát követően 2024. szeptember 19-én kiadta végleges véleményét, amelyben megerősítette a Syfovre forgalombahozatali engedélyének elutasítására vonatkozó ajánlását.

Milyen típusú gyógyszer a Syfovre és milyen alkalmazásra szánták?

A Syfovre-t geográfiai atrófiában szenvedő felnőttek kezelésére fejlesztették ki, amely az AMD fejlett formája. Az AMD egy olyan betegség, amely a szem hátsó részében található retina központi részét (a makulát) érinti. A geográfiai atrófiában szenvedő betegeknél a retinában és a makulában léziók (sejtpusztulási területek) alakulnak ki, ami látásvesztéshez vezet. A Syfovre hatóanyaga a pegcetacoplan, és szembe adandó oldatos injekcióként kívánták forgalomba hozni.

Hogyan fejti ki hatását a Syfovre?

A komplementrendszer az immunrendszer (a szervezet természetes védekezőrendszere) részét képező fehérjék csoportja. A geográfiai atrófiában szenvedő személyeknél a komplementrendszer túlműködik, ami gyulladást és sejthalált okoz. A Syfovre hatóanyaga, a pegcetacoplan a komplementrendszer C3 fehérjéhez kötődik, és gátolja azt. A C3 gátlása révén a pegcetacoplan megakadályozza a komplementrendszer aktiválását. Ez lassítja a geográfiai atrófiás léziók növekedését.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat két fő vizsgálat eredményeit mutatta be, amelyekben összesen 1258, az AMD által okozott geográfiai atrófiában szenvedő felnőtt vett részt. A vizsgálatok 24 hónapig tartottak és a szembe adott Syfovre-injekciókat álkezeléssel hasonlították össze, amelynek során nem adtak be tényleges injekciót.

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



A fő hatékonysági mutató a szemén lévő geográfiai atrófiás léziók méretének 12 hónap elteltével bekövetkezett változása volt.

Melyek voltak a forgalombahozatali engedély elutasításának fő okai?

Bár az eredeti értékelés idején a vizsgálatok azt mutatták, hogy a Syfovre lelassította a geográfiai atrófiás léziók növekedését, az Ügynökség úgy vélte, hogy ez nem jár klinikailag jelentős előnyökkel a betegek számára. Megjegyezték, hogy a kezelés előnyeinek hatással kell lenniük a betegek mindennapi életére, és ezt a vizsgálatok nem igazolták. Ami a biztonságosságot illeti, a rendszeres szeminjekciók a nemkívánatos események jelentős kockázatát hordozzák magukban, beleértve az AMD vagy a szemgyulladás egyéb formáinak kialakulását, ami tovább ronthatja a látást.

Ezek az aggályok nem változtak a benyújtott adatok felülvizsgálatát, valamint a betegek és az egészségügyi szakmai szervezetek által megosztott információk (úgynevezett harmadik fél általi beavatkozások) figyelembevételét követően. Bár az Ügynökség elismeri az AMD által okozott geográfiai atrófiában szenvedő betegek hatásos kezelése iránti kielégítetlen gyógyszerigényt, továbbra is azon a véleményen volt, hogy a Syfovre hatásosságának mértéke nem haladta meg a lehetséges kockázatokat. Az Ügynökség ezért arra a következtetésre jutott, hogy a gyógyszer előnyeinek és kockázatainak pozitív egyensúlya az AMD által okozott geográfiai atrófia kezelése során nem állapítható meg.

Milyen következményekkel jár az elutasítás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy az elutasításnak a Syfovre-ral végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön ilyen klinikai vizsgálatban vesz részt, és kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot kezelőorvosával.