



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Syfovre (*pegcetacoplan*)

Rifiuto confermato in sede di riesame

La ditta che ha presentato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio, Apellis Europe B.V., aveva chiesto il riesame del parere iniziale dell'EMA del 27 giugno 2024, in cui raccomandava il rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio per Syfovre, un medicinale destinato al trattamento dell'atrofia geografica causata dalla degenerazione maculare correlata all'età (AMD).

Dopo avere riesaminato il proprio parere iniziale, l'Agenzia europea per i medicinali ha emesso il proprio parere definitivo il 19 settembre 2024, in cui ha confermato la raccomandazione di rifiutare l'autorizzazione all'immissione in commercio per Syfovre.

Che cos'è Syfovre e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Syfovre è stato sviluppato come medicinale per il trattamento di adulti affetti da atrofia geografica, una forma avanzata di AMD. L'AMD è una malattia che colpisce la parte centrale della retina (detta macula) nella parte posteriore dell'occhio. Nei pazienti affetti da atrofia geografica si sviluppano lesioni (aree caratterizzate da morte cellulare) nella retina e nella macula, con conseguente perdita della vista. Syfovre contiene il principio attivo pegcetacoplan e avrebbe dovuto essere disponibile sotto forma di soluzione da iniettare nell'occhio.

Come agisce Syfovre?

Il sistema del complemento è un insieme di proteine che fa parte del sistema immunitario (le difese naturali dell'organismo). Nelle persone affette da atrofia geografica il sistema del complemento è iperattivo, con conseguente infiammazione e morte cellulare. Il principio attivo di Syfovre, pegcetacoplan, si lega alla proteina C3 del sistema del complemento e ne blocca l'azione. Bloccando la C3 pegcetacoplan impedisce l'attivazione del sistema del complemento. Tale azione rallenta la crescita delle lesioni da atrofia geografica.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i risultati di due studi principali condotti su un totale di 1 258 adulti affetti da atrofia geografica causata da AMD. Negli studi, durati 24 mesi, sono state confrontate iniezioni di

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



Syfovre nell'occhio con una procedura fittizia in cui non sono state somministrate vere iniezioni. La principale misura dell'efficacia è stata la variazione delle dimensioni delle lesioni da atrofia geografica nell'occhio dopo 12 mesi.

Quali sono stati i motivi principali del rifiuto dell'autorizzazione all'immissione in commercio?

Al momento della valutazione iniziale, sebbene gli studi avessero dimostrato che Syfovre rallenta la crescita delle lesioni da atrofia geografica, l'Agenzia ha ritenuto che ciò non comportasse benefici clinicamente significativi per i pazienti. È stato osservato che i benefici di un trattamento dovrebbero influire sul funzionamento quotidiano dei pazienti, ma questo non è stato dimostrato negli studi. In termini di sicurezza, le iniezioni periodiche nell'occhio comportano un rischio significativo di eventi avversi, tra cui lo sviluppo di altre forme di AMD o di infiammazione oculare, che potrebbero peggiorare ulteriormente la vista.

Tali dubbi sono rimasti invariati anche dopo il riesame dei dati forniti e l'analisi delle informazioni condivise dai pazienti e dalle organizzazioni degli operatori sanitari (i cosiddetti interventi di terzi). Pur riconoscendo la necessità medica insoddisfatta di un trattamento efficace nei soggetti affetti da atrofia geografica causata dall'AMD, l'Agenzia era del parere che la portata dell'efficacia di Syfovre non fosse superiore ai rischi potenziali. Pertanto, l'Agenzia ha concluso che non è stato possibile stabilire un bilancio positivo dei benefici e dei rischi del medicinale nel trattamento dell'atrofia geografica causata dall'AMD.

Quali sono le conseguenze del rifiuto per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici con Syfovre.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul proprio trattamento possono consultare il medico dello studio clinico.