



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025 m. spalio 10 d.
EMA/432931/2024
EMA/H/C/005954

Atsisakymas suteikti Syfovre (*pegcetakoplano*) registracijos pažymėjimą

Pakartotinai išnagrinėjus patvirtinta nepalanki nuomonė

Bendrovė „Apellis Europe B.V.“ paprašė pakartotinai išnagrinėti Europos vaistų agentūros (EMA) 2024 m. birželio 27 d. pirminę nuomonę, kurioje rekomenduojama nesuteikti vaisto Syfovre, skirto senatvinės geltonosios dėmės degeneracijos (SGDD) sukeltos geografinės atrofijos gydymui, registracijos pažymėjimo.

Pakartotinai išnagrinėjusi savo pirminę nuomonę, Europos vaistų agentūra 2024 m. rugsėjo 19 d. paskelbė galutinę nuomonę, kurioje patvirtino rekomendaciją nesuteikti Syfovre registracijos pažymėjimo.

Kas yra Syfovre ir kokiais atvejais jį buvo numatyta vartoti?

Syfovre buvo sukurtas kaip vaistas, skirtas suaugusiems, sergantiems geografine atrofija (pažengusios formos SGDD), gydyti. SGDD yra liga, kuri pažeidžia akies dugne esančią centrinę tinklainės dalį (vadinamą geltonąja dėme). Geografine atrofija sergančių pacientų tinklainėje ir geltonojoje dėmėje atsiranda pažeidimų (žuvusių ląstelių), ir dėl to prarandamas regėjimas. Syfovre sudėtyje yra veikliosios medžiagos pegcetakoplano; vaistą buvo numatyta tiekti į akį švirkščiamo tirpalo forma.

Kaip veikia Syfovre?

Komplemento sistema – tai baltymų grupė, kuri yra imuninės (organizmo natūralios apsaugos) sistemos dalis. Komplemento sistema geografine atrofija sergančių žmonių organizme yra pernelyg aktyvi, todėl sukelia uždegimą ir ląstelių žūtį. Syfovre veiklioji medžiaga pegcetakoplanas jungiasi prie komplemento sistemos C3 baltymo ir jį slopina. Slopindamas C3, pegcetakoplanas neleidžia aktyvintis komplemento sistemai. Dėl to sulėtėja geografinės atrofijos pažeidimų augimas.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė dviejų pagrindinių tyrimų, kuriuose dalyvavo 1 258 suaugusieji, sergantys SGDD sukelta geografine atrofija, rezultatus. Tyrimai truko 24 mėnesius, ir juose buvo lyginamas Syfovre

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



injekcijų į akį ir imituojamos procedūros, kai injekcija iš tikrųjų neatliekama, poveikis. Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo akies geografinės atrofijos pažeidimų dydžio pokytis po 12 mėnesių.

Kokios buvo pagrindinės priežastys, dėl kurių rekomenduota nesuteikti registracijos pažymėjimo?

Nors atliekant pirminį vertinimą nustatyta, kad Syfovre sulėtina geografinės atrofijos pažeidimų augimą, Agentūra laikėsi nuomonės, kad tai nedavė kliniškai reikšmingos naudos pacientams. Buvo pažymėta, kad gydymo nauda turi pasireikšti kasdienėms paciento organizmo funkcijoms; tyrimuose tai nebuvo įrodyta. Kalbant apie saugą, reguliarios injekcijos į akį kelia didelę nepageidaujamų reiškinių riziką, įskaitant kitų formų SGDD išsivystymą ar akies uždegimą, dėl ko regėjimas gali dar labiau pablogėti.

Pakartotinai išnagrinėjus pateiktus duomenis ir apsvarsčius pacientų ir sveikatos priežiūros specialistų organizacijų pateiktą informaciją (vadinamasis trečiųjų šalių įsikišimas), šie susirūpinimą keliantys klausimai išliko. Nors Agentūra pripažįsta, kad yra nepatenkintas medicininis veiksmingo žmonių, sergančių SGDD sukelia geografinė atrofiija, gydymo poreikis, ji ir toliau laikėsi nuomonės, kad Syfovre veiksmingumas nėra didesnis už galimą riziką. Todėl Agentūra priėjo prie išvados, kad negalima nustatyti teigiamo vaistinio preparato, skiriamo SGDD sukeliamos geografinės atrofijos gydymui, naudos ir rizikos santykio.

Ar šis atsisakymas turės įtakos pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, šiuo metu dalyvaujantiems Syfovre klinikiniuose tyrimuose.

Jei dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums taikomą gydymą, kreipkitės į Jus gydantį gydytoją.