



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025. gada 10. oktobris
EMA/432931/2024
EMA/H/C/005954

Syfovre (*pegcetakoplāns*) reģistrācijas apliecības atteikums

Atteikums apstiprināts atkārtotā pārskatīšanā

Reģistrācijas apliecības pieteikumu iesniegušais uzņēmums Apellis Europe B.V. pieprasīja atkārtoti pārskatīt EMA 2024. gada 27. jūnija sākotnējo atzinumu, kurā bija ieteikts atteikt reģistrācijas apliecības izsniegšanu zālēm Syfovre, kas paredzētas ar vecumu saistītas makulas deģenerācijas (VMD) izraisītas ģeogrāfiskas atrofijas ārstēšanai.

Pēc atkārtotas sākotnējā atzinuma pārskatīšanas Eiropas Zāļu aģentūra 2024. gada 19. septembrī sniedza galīgo atzinumu, kurā tā apstiprināja savu ieteikumu atteikt Syfovre reģistrācijas apliecības izsniegšanu.

Kas ir Syfovre, un kādam nolūkam tās bija paredzēts lietot?

Syfovre tika izstrādāta kā zāles, lai ārstētu pieaugušos, kuriem ir progresējoša VMD forma — ģeogrāfiska atrofija. VMD ir slimība, kas skar tīklenes centrālo daļu (ko dēvē par makulu) acs aizmugurē. Pacientiem ar ģeogrāfisku atrofiju tīklenē un makulā veidojas bojājumi (šūnu atmiršanas apvidi), kas izraisa redzes zudumu. Syfovre satur aktīvo vielu pegcetakoplānu, un bija paredzēts, ka šīs zāles būs pieejamas kā šķīdums injicēšanai acī.

Kā darbojas Syfovre?

Komplementa sistēma ir olbaltumvielu kopums, kas ir daļa no imūnsistēmas (organisma dabiskās aizsargsistēmas). Cilvēkiem ar ģeogrāfisko atrofiju komplementa sistēma ir pārāk aktīva, izraisot iekaisumu un šūnu atmiršanu. Syfovre aktīvā viela pegcetakoplāns piesaistās olbaltumvielu sistēmas C3 proteīnam un bloķē to. Bloķējot C3, pegcetakoplāns novērš komplementa sistēmas aktivizēšanos. Tas palēnina ģeogrāfiskās atrofijas bojājumu attīstību.

Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza rezultātus no diviem pamatpētījumiem, kuros kopumā bija iesaistīti 1258 pieaugušie ar VMD izraisītu ģeogrāfisku atrofiju. Pētījumi ilga 24 mēnešus, un tajos Syfovre injekcijas acī salīdzināja ar simulētu procedūru, kurā faktiski netika veikta injekcija. Galvenais efektivitātes rādītājs bija acu ģeogrāfiskās atrofijas bojājumu izmēra izmaiņas pēc 12 mēnešiem.

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



Kādi bija galvenie iemesli reģistrācijas apliecības atteikumam?

Sākotnējās novērtēšanas laikā, lai gan pētījumos tika pierādīts, ka Syfovre palēnināja ģeogrāfiskās atrofijas bojājumu augšanu, aģentūra uzskatīja, ka zāles neizraisīja klīniski nozīmīgu ieguvumu pacientiem. Tika norādīts, ka ieguvumiem no ārstēšanas vajadzētu ietekmēt pacientu ikdienas funkcionēšanu, un tas netika pierādīts pētījumos. Attiecībā uz drošumu regulāras injekcijas acī rada nozīmīgu nevēlamu blakusparādību risku, tostarp citu VMD formu vai acs iekaisumu, kas var vēl vairāk pasliktināt redzi.

Šis bažas nemainījās pēc sniegto datu atkārtotas izvērtēšanas un pacientu un veselības aprūpes speciālistu organizāciju (tā sauktās trešās personas iejaukšanās) sniegtās informācijas izskatīšanas. Lai gan aģentūra atzīst neapmierināto medicīnisko vajadzību pēc efektīvas ārstēšanas cilvēkiem ar VMD izraisītu ģeogrāfisko atrofiju, tā joprojām uzskatīja, ka Syfovre efektivitātes apmērs neatsver iespējamos riskus. Tādēļ aģentūra secināja, ka VMD izraisītās ģeogrāfiskās atrofijas ārstēšanā nevar konstatēt pozitīvu zāļu ieguvumu un riska attiecību.

Vai šis atteikums ietekmē pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos?

Uzņēmums informēja aģentūru, ka tas neietekmēs pacientus, kuri pašlaik piedalās Syfovre klīniskajos pētījumos.

Ja jūs pašreiz piedalāties klīniskā pētījumā un vēlaties saņemt plašāku informāciju par ārstēšanu, konsultējieties ar savu klīniskā pētījuma ārstu.