10 oktober 2025
EMA/432931/2024
EMEA/H/C/005954

Weigering van de vergunning voor het in de handel brengen van Syfovre (*pegcetacoplan*)

Weigering bevestigd na heronderzoek

Het bedrijf Apellis Europe B.V., dat de aanvraag voor een handelsvergunning heeft ingediend, had verzocht om heronderzoek van het oorspronkelijke advies van het EMA van 27 juni 2024, waarin werd aanbevolen de vergunning voor het in de handel brengen van Syfovre, een geneesmiddel voor de behandeling van geografische atrofie veroorzaakt door leeftijdsgebonden maculadegeneratie (LMD), te weigeren.

Na heronderzoek van het oorspronkelijke advies heeft het Europees Geneesmiddelenbureau op 19 september 2024 een definitief advies uitgebracht, waarin het zijn aanbeveling om de vergunning voor het in de handel brengen van Syfovre te weigeren, bevestigde.

Wat is Syfovre en voor welke behandeling was het bedoeld?

Syfovre werd ontwikkeld als geneesmiddel voor de behandeling van volwassenen met geografische atrofie, een geavanceerde vorm van LMD. LMD is een ziekte die het centrale deel van het netvlies (de macula) achter in het oog aantast. Bij patiënten met geografische atrofie ontwikkelen zich laesies (gebieden met celdood) in het netvlies en de macula, wat leidt tot verlies van het gezichtsvermogen. Syfovre bevat de werkzame stof pegcetacoplan en zou verkrijgbaar zijn in de vorm van een oplossing voor injectie in het oog.

Hoe werkt Syfovre?

Het immuunsysteem (de natuurlijke afweer van het lichaam) bestaat onder meer uit een reeks eiwitten die het complementsysteem vormen. Bij personen met geografische atrofie is het complementsysteem overactief, wat ontsteking en celdood veroorzaakt. De werkzame stof in Syfovre, pegcetacoplan, hecht zich aan en blokkeert het C3-eiwit van het complementsysteem. Door C3 te blokkeren voorkomt pegcetacoplan de activering van het complementsysteem. Hierdoor wordt de groei van de geografische atrofie-laesies vertraagd.

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

© European Medicines Agency, 2025. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Welke documentatie heeft het bedrijf ingediend ter onderbouwing van de aanvraag?

Het bedrijf heeft de resultaten ingediend van twee hoofdstudies onder in totaal 1 258 volwassenen met geografische atrofie veroorzaakt door LMD. In deze studies, die 24 maanden duurden, werden Syfovre-injecties in het oog vergeleken met een schijningreep waarbij geen daadwerkelijke injectie werd toegediend. De belangrijkste graadmeter voor de werkzaamheid was de verandering in de omvang van geografische atrofie-laesies in het oog na 12 maanden.

Wat waren de voornaamste redenen om de handelsvergunning te weigeren?

Hoewel uit de studies bleek dat Syfovre de groei van geografische atrofie-laesies vertraagde, was het Geneesmiddelenbureau op het moment van de eerste beoordeling van mening dat dit niet tot klinisch betekenisvolle voordelen voor patiënten leidde. Opgemerkt werd dat de voordelen van een behandeling een impact zouden moeten hebben op het dagelijks functioneren van de patiënt, en dit werd in de onderzoeken niet aangetoond. Wat de veiligheid betreft, brengen regelmatige injecties in het oog een significant risico op bijwerkingen met zich mee, waaronder de ontwikkeling van andere vormen van LMD of ontsteking in het oog, waardoor het gezichtsvermogen verder zou kunnen verslechteren.

Deze bedenkingen zijn niet weggenomen na heronderzoek van de verstrekte gegevens en bestudering van informatie die werd gedeeld door patiënten en professionele zorgverleners (zogenaamde interventies door derden). Hoewel het Bureau de onvervulde medische behoefte aan een doeltreffende behandeling van mensen met geografische atrofie veroorzaakt door LMD erkent, bleef het van mening dat de mate van werkzaamheid van Syfovre niet opweegt tegen de potentiële risico's. Het Geneesmiddelenbureau concludeerde daarom dat geen positieve baten-risicoverhouding van het geneesmiddel kon worden geconstateerd bij de behandeling van geografische atrofie veroorzaakt door LMD.

Heeft deze weigering gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven?

Het bedrijf deelde het Geneesmiddelenbureau mee dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven met Syfovre.

Indien u deelneemt aan een klinische proef en meer informatie wenst over uw behandeling, neem dan contact op met uw onderzoeksarts.