



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10 października 2025 r.
EMA/432931/2024
EMA/H/C/005954

Odmowa wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla leku Syfovre (*pegcetakoplan*)

W ponownej procedurze sprawdzającej potwierdzono odmowę

Firma Apellis Europe B.V., która złożyła wniosek o udzielenie pozwolenia na dopuszczenie do obrotu, zwróciła się z prośbą o ponowne zweryfikowanie wstępnej opinii EMA z 27 czerwca 2024 r., w której zalecono odmowę wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla leku Syfovre przeznaczonego do leczenia zaniku geograficznego wywołanego przez zwyrodnienie plamki żółtej związane z wiekiem (AMD).

Po ponownym rozpatrzeniu wstępnej opinii Europejska Agencja Leków wydała 19 września 2024 r. ostateczną opinię, w której potwierdziła zalecenie odmowy wydania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu dla leku Syfovre.

Co to jest produkt Syfovre i w jakim celu miał być stosowany?

Lek Syfovre opracowano jako lek stosowany w leczeniu osób dorosłych z zanikiem geograficznym — zaawansowaną postacią AMD. AMD jest chorobą zajmującą środkową część siatkówki (zwaną plamką żółtą) w tylnej części oka. U pacjentów z zanikiem geograficznym w obrębie siatkówki i plamki żółtej powstają zmiany (obszary martwych komórek), które prowadzą do utraty wzroku. Lek Syfovre zawiera substancję czynną pegcetakoplan i miał być dostępny w postaci roztworu do wstrzykiwań do oka.

Jak działa produkt Syfovre?

Układ dopełniacza jest zespołem białek stanowiących część układu odpornościowego (naturalnego systemu obronnego organizmu). U osób z zanikiem geograficznym układ dopełniacza wykazuje nadmierną aktywność i w konsekwencji powoduje stan zapalny oraz obumieranie komórek. Substancja czynna leku Syfovre, pegcetakoplan, przyłącza się do białka C3 układu dopełniacza i blokuje je, dzięki czemu pegcetakoplan zapobiega aktywacji układu dopełniacza. Spowalnia to rozwój zaniku geograficznego.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła wyniki pochodzące z dwóch badań głównych z udziałem łącznie 1258 osób dorosłych z zanikiem geograficznym wywołanym przez AMD. W trwających 24 miesiące badaniach

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



porównywano lek Syfovre podawany we wstrzyknięciu do oka z procedurą pozorowaną, w ramach której nie podawano żadnego wstrzyknięcia. Głównym kryterium oceny skuteczności była zmiana wielkości obszaru zaniku geograficznego w oku po 12 miesiącach.

Jakie były główne powody odmowy przyznania pozwolenia na dopuszczenie do obrotu?

Chociaż w momencie wstępnej oceny badania wykazały, że produkt Syfovre spowolnił wzrost obszaru zaniku geograficznego, Agencja uznała, że nie doprowadziło to do powstania istotnych klinicznie korzyści dla pacjentów. Zauważono, że korzyści z leczenia powinny mieć wpływ na codzienne funkcjonowanie pacjentów, czego nie wykazano w badaniach. Jeśli chodzi o bezpieczeństwo stosowania, regularne wstrzyknięcia do oka niosą ze sobą znaczne ryzyko zdarzeń niepożądanych, w tym rozwoju innych postaci AMD lub stanu zapalnego w oku, które mogą dodatkowo pogorszyć widzenie.

Obawy te nie zmieniły się po ponownym przeanalizowaniu dostarczonych danych i rozważeniu informacji udostępnionych przez pacjentów i organizacje pracowników opieki zdrowotnej (tzw. wkład osób trzecich). Chociaż Agencja zauważyła, że skuteczne leczenie osób z zanikiem geograficznym spowodowanym przez AMD stanowi niezaspokojoną potrzebę medyczną, to podtrzymała opinię, że poziom skuteczności produktu Syfovre nie przewyższa potencjalnego ryzyka. Dlatego też Agencja uznała, że nie można ustalić pozytywnego stosunku korzyści do ryzyka w leczeniu zaniku geograficznego spowodowanego przez AMD.

Jakie są skutki odmowy dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów obecnie biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem leku Syfovre.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie kliniczne.