



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Refuzul autorizației de punere pe piață pentru Syfovre (pegcetacoplan)

Reexaminarea confirmă refuzul

Compania care a solicitat autorizația de punere pe piață, Apellis Europe B.V., solicitase reexaminarea avizului inițial al EMA din 27 iunie 2024 prin care se recomanda refuzul autorizației de punere pe piață pentru Syfovre, un medicament destinat tratamentului atrofiei geografice cauzate de degenerescenta maculară legată de vârstă (DMLV).

După reexaminarea avizului său inițial, Agenția Europeană pentru Medicamente a emis un aviz final la 19 septembrie 2024, în care a confirmat recomandarea sa de a refuza autorizația de punere pe piață pentru Syfovre.

Ce este Syfovre și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Syfovre a fost elaborat ca medicament pentru tratamentul adulților cu atrofie geografică, o formă avansată de DMLV. DMLV este o boală care afectează partea centrală a retinei (numită maculă) din spatele ochiului. La pacienții cu atrofie geografică, în retină și maculă apar leziuni (zone de moarte celulară) care duc la pierderea vederii. Syfovre conține substanța activă pegcetacoplan și urma să fie disponibil sub formă de soluție injectabilă în ochi.

Cum acționează Syfovre?

Sistemul complement este un set de proteine care fac parte din sistemul imunitar (mecanismul natural de apărare al organismului). La persoanele cu atrofie geografică, sistemul complement este hiperactiv, cauzând inflamație și moartea celulelor. Substanța activă din Syfovre, pegcetacoplanul, se leagă de proteina C3 a sistemului complement și o blochează. Prin blocarea C3, pegcetacoplanul împiedică activarea sistemului complement, ceea ce încetinește progresia leziunilor de atrofie geografică.

Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?

Compania a prezentat rezultatele a două studii principale la care au participat în total 1 258 de adulți cu atrofie geografică cauzată de DMLV. Studiile au durat 24 de luni și au comparat injecțiile cu Syfovre administrate în ochi cu o procedură simulată, în care nu se administra nicio injecție propriu-zisă.

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



Principala măsură a eficacității a fost modificarea mărimii leziunilor de atrofie geografică a ochiului după 12 luni.

Care au fost principalele motive pentru refuzul autorizației de punere pe piață?

La momentul evaluării inițiale, deși studiile au arătat că Syfovre a încetinit progresia leziunilor de atrofie geografică, agenția a considerat că acest lucru nu a dus la beneficii semnificative clinic pentru pacienți. S-a observat că beneficiile unui tratament ar trebui să aibă un impact asupra activității zilnice a pacienților, iar acest lucru nu a fost demonstrat în studii. În ceea ce privește siguranța, injecțiile periodice în ochi comportă un risc semnificativ de evenimente adverse, de exemplu, dezvoltarea altor forme de DMLV sau inflamație la ochi, care ar putea înrăutăți și mai mult vederea.

Aceste motive de îngrijorare nu s-au schimbat după reexaminarea datelor furnizate și luarea în considerare a informațiilor partajate de pacienți și de organizațiile profesionale din domeniul sănătății (așa-numitele intervenții ale terților). Deși recunoaște nevoia medicală nesatisfăcută de tratamente eficiente pentru persoanele cu atrofie geografică cauzată de DMLV, agenția își păstrează avizul conform căruia amploarea eficacității Syfovre nu depășește riscurile potențiale. Prin urmare, agenția a concluzionat că nu s-a putut stabili un raport pozitiv între beneficiile și riscurile medicamentului în tratamentul atrofiei geografice cauzate de DMLV.

Refuzul afectează pacienții din studii clinice?

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții aflați în studii clinice cu Syfovre.

Dacă participați la un studiu clinic și aveți nevoie de informații suplimentare despre tratamentul dumneavoastră, adresați-vă medicului din cadrul studiului respectiv.