



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

10. októbra 2025
EMA/432931/2024
EMA/H/C/005954

Zamietnutie povolenia na uvedenie na trh pre liek Syfovre (pegcetakoplan)

Opätovným preskúmaním sa potvrdzuje zamietnutie

Spoločnosť, ktorá požiadala o povolenie na uvedenie na trh, Apellis Europe B.V., požiadala o opätovné preskúmanie pôvodného stanoviska agentúry EMA z 27. júna 2024, v ktorom sa odporúča zamietnuť povolenie na uvedenie na trh pre liek Syfovre, ktorý je určený na liečbu geografickej atrofie zapríčinennej vekom podmienenou degeneráciou makuly (AMD).

Európska agentúra pre lieky po opätovnom preskúmaní svojho pôvodného stanoviska vydala 19. septembra 2024 konečné stanovisko, v ktorom potvrdila svoje odporúčanie zamietnuť povolenie na uvedenie lieku Syfovre na trh.

Čo je liek Syfovre a na čo sa mal používať?

Liek Syfovre bol vyvinutý ako liek na liečbu dospelých s geografickou atrofiou, pokročilou formou AMD. AMD je ochorenie, ktoré postihuje centrálnu časť sietnice (nazývanú makula) na očnom pozadí. U pacientov s geografickou atrofiou vznikajú lézie (oblasti bunkovej smrti) v sietnici a makule, čo vedie k strate zraku. Liek Syfovre obsahuje liečivo pegcetakoplan a mal byť dostupný vo forme roztoku, ktorý sa podáva injekčne do oka.

Akým spôsobom liek Syfovre účinkuje?

Komplementový systém je súbor proteínov, ktoré sú súčasťou imunitného systému (prirodzenej obrany tela). U osôb s geografickou atrofiou je komplementový systém nadmerne aktívny, čo spôsobuje zápal a bunkovú smrť. Liečivo lieku Syfovre, pegcetakoplan, sa viaže na proteín C3 komplementového systému a blokuje ho. Zablokovaním C3 pegcetakoplan bráni aktivácii komplementového systému. To spomaľuje rast lézií geografickej atrofie.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila výsledky z dvoch hlavných štúdií, na ktorých sa zúčastnilo celkovo 1 258 dospelých s geografickou atrofiou spôsobenou AMD. Štúdie trvali 24 mesiacov a porovnávali sa v nich injekcie lieku Syfovre do oka so simulovaným postupom, pri ktorom nebola podaná skutočná

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



injekcia. Hlavným meradlom účinnosti bola zmena veľkosti lézií geografickej atrofie v oku po 12 mesiacoch.

Aké boli hlavné dôvody zamietnutia povolenia na uvedenie na trh?

Hoci sa v štúdiách preukázalo, že liek Syfovre spomalil rast lézií geografickej atrofie, agentúra sa v čase pôvodného hodnotenia domnievala, že to neviedlo ku klinicky významným prínosom pre pacientov. Poukázalo sa na to, že prínosy liečby by mali mať vplyv na každodenné fungovanie pacientov, čo sa v štúdiách nepreukázalo. Pokiaľ ide o bezpečnosť, pravidelné injekcie do oka predstavujú významné riziko nežiaducich udalostí vrátane vývoja iných foriem AMD alebo zápalu v oku, ktoré by mohli ešte viac zhoršiť videnie.

Tieto výhrady sa po opätovnom preskúmaní predložených údajov a posúdení informácií, ktoré poskytli pacienti a organizácie zdravotníckych pracovníkov (tzv. zásahy tretích strán), nezmenili. Hoci agentúra uznáva nenaplnenú liečebnú potrebu účinnej liečby osôb s geografickou atrofiou spôsobenou AMD, naďalej zastáva názor, že rozsah účinnosti lieku Syfovre neprevažuje nad potenciálnymi rizikami. Agentúra preto dospela k záveru, že nie je možné stanoviť pozitívny pomer prínosu a rizík lieku pri liečbe geografickej atrofie zapríčinennej AMD.

Má zamietnutie žiadosti dôsledky pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach?

Spoločnosť agentúru informovala, že pre pacientov používajúcich liek Syfovre, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúšaniach, nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak ste však účastníkom klinického skúšania a potrebujete viac informácií o svojej liečbe, obráťte sa na svojho ošetrojúceho lekára.