



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Syfovre (*pegcetakoplan*)

Zavrnitev po ponovnem pregledu potrjena

Podjetje Apellis Europe B.V., ki je vložilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom, je zaprosilo za ponovni pregled prvotnega mnenja agencije EMA z dne 27. junija 2024, v katerem je agencija priporočila zavrnitev dovoljenja za promet z zdravilom Syfovre, namenjenim zdravljenju geografske atrofije, ki jo povzroča starostna degeneracija makule.

Evropska agencija za zdravila je po ponovnem pregledu svojega prvotnega mnenja 19. septembra 2024 izdala končno mnenje, v katerem je potrdila priporočilo za zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Syfovre.

Kaj je zdravilo Syfovre in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Syfovre je bilo razvito za zdravljenje odraslih z geografsko atrofijo, tj. napredovalo obliko starostne degeneracije makule. Starostna degeneracija makule je bolezen, ki prizadene osrednji del mrežnice (imenovan makula) v zadnjem delu očesa. Pri bolnikih z geografsko atrofijo se v mrežnici in makuli razvijejo lezije (območja odmrlih celic), kar povzroči izgubo vida. Zdravilo Syfovre vsebuje učinkovino pegcetakoplan in naj bi bilo na voljo v obliki raztopine za injiciranje v oko.

Kako zdravilo Syfovre deluje?

Sistem komplementa je skupina beljakovin, ki so del imunskega sistema (naravnega obrambnega mehanizma telesa). Pri ljudeh z geografsko atrofijo je sistem komplementa preveč aktiven, kar povzroča vnetje in odmrtnje celic. Učinkovina v zdravilu Syfovre, pegcetakoplan, se veže na beljakovino C3 sistema komplementa in jo zavira. Pegcetakoplan z zaviranjem beljakovine C3 preprečuje aktivacijo sistema komplementa, kar upočasni rast lezij, povezanih z geografsko atrofijo.

Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predstavilo rezultate dveh glavnih študij, v kateri je bilo vključenih skupno 1 258 odraslih z geografsko atrofijo, ki jo povzroča starostna degeneracija makule. Študiji sta trajali 24 mesecev, v njih pa so zdravilo Syfovre v obliki injekcij v oko primerjali s postopkom navideznega injiciranja, pri

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



katerem ni bila dana nobena dejanska injekcija. Glavno merilo učinkovitosti je bila sprememba velikosti lezij, povezanih z geografsko atrofijo, v očesu po 12 mesecih.

Kateri so bili glavni razlogi za zavrnitev vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom?

Čeprav so študije v času prvotne ocene pokazale, da je zdravilo Syfovre upočasnilo rast lezij, povezanih z geografsko atrofijo, je agencija menila, da to za bolnike ni pomenilo klinično pomembnih koristi. Ugotovljeno je bilo, da bi koristi zdravljenja morale biti opazne v bolnikovem vsakdanjiku, kar v študijah ni bilo dokazano. Kar zadeva varnost, redne injekcije v oko pomenijo znatno tveganje za neželene dogodke, vključno z razvojem drugih oblik starostne degeneracije makule ali vnetij v očesu, kar bi lahko dodatno poslabšalo vid.

Ti pomisleki se po ponovnem pregledu predloženih podatkov in proučitvi informacij, ki so jih predložili bolniki in organizacije zdravstvenih delavcev (tako imenovani prispevki tretjih oseb), niso spremenili. Čeprav agencija priznava neizpolnjeno zdravstveno potrebo po učinkovitem zdravljenju ljudi z geografsko atrofijo, ki jo povzroča starostna degeneracija makule, je še vedno menila, da učinkovitost zdravila Syfovre ne odtehta morebitnih tveganj. Zato je zaključila, da pozitivnega razmerja med koristmi in tveganji pri zdravljenju geografske atrofije, ki jo povzroča starostna degeneracija makule, ni mogoče ugotoviti.

Ali ta zavrnitev vpliva na bolnike v kliničnih preskušanjih?

Podjetje je agencijo obvestilo, da zavrnitev nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih zdravila Syfovre.

Če ste vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o zdravljenju, se obrnite na zdravnika, ki sodeluje v kliničnem preskušanju.