



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Avslag på ansökan om godkännande för försäljning av Syfovre (*pegcetakoplan*)

Förnyad prövning bekräftar avslaget

Företaget som ansökte om godkännande för försäljning, Apellis Europe B.V., hade begärt förnyad prövning av EMA:s ursprungliga yttrande av den 27 juni 2024 med en rekommendation om avslag på ansökan om godkännande för försäljning av Syfovre, ett läkemedel avsett för behandling av geografisk atrofi orsakad av åldersrelaterad makuladegeneration (AMD).

Efter förnyad prövning av sitt ursprungliga yttrande utfärdade Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) sitt slutliga yttrande den 19 september 2024, där den bekräftade sin rekommendation att avslå ansökan om godkännande för försäljning av Syfovre.

Vad är Syfovre och vad skulle det användas för?

Syfovre utvecklades som ett läkemedel för att behandla vuxna med geografisk atrofi, en avancerad form av AMD. AMD är en sjukdom som drabbar den centrala delen av näthinnan (den s.k. gula fläcken eller makulan) i ögats bakre del. Hos patienter med geografisk atrofi utvecklas lesioner (områden där cellerna dör) i näthinnan och makulan, vilket orsakar synförlust. Syfovre innehåller den aktiva substansen pegcetakoplan och skulle finnas som en lösning som skulle injiceras i ögat.

Hur verkar Syfovre?

Komplementsystemet är en uppsättning proteiner som ingår i kroppens immunförsvar. Hos personer med geografisk atrofi är komplementsystemet överaktivt, vilket orsakar inflammation och celledöd. Den aktiva substansen i Syfovre, pegcetakoplan, binder till och blockerar komplementsystemets C3-protein. Genom att blockera C3 förhindrar pegcetakoplan att komplementsystemet aktiveras. Detta bromsar tillväxten av geografiska atrofilesioner.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lade fram resultat från två huvudstudier på sammanlagt 1 258 vuxna med geografisk atrofi orsakad av AMD. Studierna pågick i 24 månader och innebar att injektioner med Syfovre i ögat jämfördes med ett simulerat förfarande där ingen faktisk injektion gavs. Huvudeffektmåttet var förändringen av storleken på geografiska atrofilesioner i ögat efter 12 månader.

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



Vilka var de främsta skälen till att avslå ansökan om godkännande för försäljning?

Även om studierna visade att Syfovre fördröjde tillväxten av geografiska atrofilesioner vid tiden för den ursprungliga utvärderingen, ansåg myndigheten att detta inte ledde till kliniskt betydelsefulla fördelar för patienterna. Det noterades att fördelarna med en behandling bör påverka patienternas funktionsförmåga i vardagen och att detta inte påvisades i studierna. När det gäller säkerheten medför regelbundna injektioner i ögat en betydande risk för biverkningar, däribland utveckling av andra former av AMD eller inflammation i ögat, vilket skulle kunna försämra synen ytterligare.

Dessa betänkligheter ändrades inte efter förnyad prövning av de tillhandahållna uppgifterna och med beaktande av information som lämnats av patienter och hälso- och sjukvårdsorganisationer (så kallade tredjepartsinterventioner).. Även om myndigheten erkänner att det finns ett icke tillgodosett medicinskt behov av effektiv behandling för personer med geografisk atrofi orsakad av AMD, ansåg den fortfarande att Syfovres effektivitet inte uppvägde de potentiella riskerna. EMA fann därför att det inte gick att påvisa ett positivt nytta-riskförhållande för läkemedlet vid behandling av geografisk atrofi orsakad av AMD.

Påverkar detta avslag patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade myndigheten om att beslutet inte får några följder för patienter i kliniska prövningar med Syfovre.

Om du deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din behandling kan du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.