



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 август 2025 г.
EMA/270385/2025
EMA/H/C/005537

Оттегляне на заявлението за разрешаване за употреба на Fanskya (mozafancogene autotemcel)

Rocket Pharmaceuticals B.V. оттегли заявлението си за разрешаване за употреба на Fanskya за лечение на анемия на Фанкони тип А — наследствено заболяване, което засяга костния мозък — гъбестата тъкан в големите кости, където се произвеждат кръвни клетки.

Фирмата оттегли заявлението си на 11 август 2025 г.

Какво представлява Fanskya и за какво е предназначен да се използва?

Fanskya е разработен като лекарство, което се използва при деца на възраст от 1 до 18 години за лечение на анемия на Фанкони тип А.

При анемия на Фанкони тип А костният мозък постепенно губи способността си да произвежда достатъчно здрави кръвни клетки, което води до нарушения на кръвта като анемия (ниски нива на червените кръвни клетки) и повишен риск от инфекции и кървене. Хората със заболяването също така са изложени на по-висок риск от развитие на определени видове рак, като например левкемия (рак на белите кръвни клетки), и може да изпитат проблеми, засягащи органи като бъбреците и сърцето. Има няколко различни подтипа анемия на Фанкони; тип А е най-често срещаният и се причинява от мутации (промени) в гена *FANCA*.

Fanskya съдържа активното вещество мозафанкоген автотемцел (mozafancogene autotemcel) и е трябвало да се прилага като еднократна инфузия (капково вливане) във вена.

Fanskya е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) на 17 декември 2010 г. за анемия на Фанкони тип А. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите на уебсайта на Агенцията:
ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822.

Как действа Fanskya?

Анемията на Фанкони от тип А се причинява от мутации в гена *FANCA*, който предоставя инструкции за изграждане на белтък, който помага за възстановяване на повредената ДНК, особено в клетки, които често се делят, като тези в костния мозък.



Активното вещество във Fanskya, мозафанкоген автотемцел, е трябвало да се приготвя, като се използват собствени кръвни стволови клетки на пациента (клетки, които могат да се развият в различни видове кръвни клетки). След това е трябвало те да бъдат модифицирани в лаборатория, като се използва вирус. Вирусът се променя така, че да не може да се разпространи в организма, но може да осигури здраво копие на гена *FANCA* в кръвните стволови клетки, което да им позволи да възстановят увредената ДНК. Модифицираните кръвни стволови клетки е трябвало да се върнат на пациента чрез инфузия и се е очаквало да достигнат костния мозък и да образуват здрави кръвни клетки.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата е представила данни от 3 проучвания, обхващащи 14 деца на възраст от 1 до 7 години с анемия на Фанкони тип А. В проучванията Fanskya не се сравнява с друго лекарство или плацебо (сляпо лечение). Основната мярка за ефективност включва три различни резултата: възстановяване на производството на здрави кръвни клетки в костния мозък, коригиране на генетични аномалии в циркулиращите кръвни клетки и постигане на нормални нива на различни кръвни клетки след прилагането на Fanskya.

На какъв етап от оценката е заявлението към момента на оттеглянето?

Заявлението е оттеглено, след като Европейската агенция по лекарствата е оценила информацията от фирмата и е подготвила въпроси към фирмата. Към момента на оттеглянето фирмата все още не е отговорила на последната група въпроси.

Какви са препоръките на Агенцията към момента на оттеглянето?

Въз основа на прегледа на данните, към момента на оттеглянето Агенцията има известни забележки и изразява предварителното становище, че Fanskya не може да бъде одобрен за лечение на анемия на Фанкони тип А.

Агенцията има опасения относно потенциалната безопасност на лекарството, тъй като резултатите, които показват колко копия от гена *FANCA* постъпват в стволовите клетки, са налични едва след лечението. Това е важно, тъй като въвеждането на голям брой генни копия в стволовите клетки може да повлияе на начина им на функциониране. Тъй като преди лекарството да бъде приложено на пациента не може напълно да се оцени възможният риск от това генът да промени нормалното функциониране на клетките, Агенцията поиска цялостна оценка на риска.

Въпреки че фирмата е извършила няколко изследвания, за да оцени качеството на Fanskya, преди да бъде приложен на пациентите, Агенцията има опасения дали наличните данни са достатъчни, за да се потвърди, че изследванията надеждно предвиждат безопасността и ефективността на лекарството. Едно от основните измервания, използвани за проверка на качеството на стволовите клетки, е процентът на клетките, които носят маркер, наречен CD34. Въпреки това Агенцията има опасения относно праговите нива на стволови клетки с този маркер във Fanskya.

Въпреки липсата на дългосрочни данни за безопасността Fanskya изглежда има приемлив профил на безопасност. Агенцията обаче стигна до заключението, че дружеството не е доказало убедително, че ползите от Fanskya превишават рисковете. Това се дължи главно на факта, че клиничната полза от лекарството не е ясно установена. Неопределености в основното проучване, като липсата на база за сравнение и ниската възраст на участниците, пречи на Агенцията да достигне до сериозни заключения към момента на оттеглянето относно това дали Fanskya може да

предотврати костномозъчна недостатъчност на по-късна възраст. Агенцията също така изрази опасения относно осъществимостта на предложените мерки за събиране на изчерпателни данни след пускането на пазара, за да се отговори на критериите за разрешение за търговия при определени условия.

Поради това към момента на оттеглянето становището на Агенцията е, че фирмата не е отговорила изчерпателно на забележките и ползите от Fanskya не могат да бъдат доказани.

Какви причини посочва фирмата за оттегляне на заявлението?

В [писмото](#) си, с което уведомява Агенцията за оттеглянето на заявлението, дружеството заяви, че въпреки че очаква да отговори задоволително на опасенията, изразени от Агенцията, заявлението е оттеглено единствено по причини, свързани със стопанската дейност.

Какви са последствията от оттеглянето за пациентите, участващи в клинични изпитвания?

Фирмата е уведомила Агенцията, че няма последствия за пациентите, включени понастоящем в клинични изпитвания с Fanskya.

Ако вие или вашето дете участвате в клинично изпитване и се нуждаете от повече информация за вашето лечение или лечението на вашето дете, свържете се с лекаря по клиничното изпитване.