



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22. srpna 2025
EMA/270385/2025
EMA/H/C/005537

Stažení žádosti o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Fanskya (mozafankogen autotemcel)

Společnost Rocket Pharmaceuticals B.V. stáhla svou žádost o vydání rozhodnutí o registraci přípravku Fanskya určeného k léčbě Fanconiho anémie typu A, což je dědičné onemocnění postihující kostní dřeň, houbovité tkáně uvnitř velkých kostí, kde se tvoří krevní buňky.

Společnost svou žádost stáhla dne 11. srpna 2025.

Co je přípravek Fanskya a k čemu měl být používán?

Přípravek Fanskya byl vyvinut jako léčivý přípravek k použití u dětí ve věku od 1 roku do 18 let k léčbě Fanconiho anémie typu A.

V případě Fanconiho anémie typu A kostní dřeň postupně ztrácí schopnost produkovat dostatek zdravých krvinek, což vede k poruchám krve, například anémii (nízké hladině červených krvinek) a zvýšenému riziku infekcí a krvácení. U osob s tímto onemocněním rovněž existuje vyšší riziko vzniku určitých typů nádorových onemocnění, například leukemie (rakoviny bílých krvinek), a mohou se u nich vyskytnout problémy postihující některé orgány, například ledviny a srdce. Existuje několik různých podtypů Fanconiho anémie. Typ A je nejběžnější a je způsoben mutacemi (změnami) genu *FANCA*.

Přípravek Fanskya obsahuje léčivou látku mozafankogen autotemcel a měl být podáván formou jednorázové infuze (kapačky) do žíly.

Přípravek Fanskya byl označen jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“ dne 17. prosince 2010 pro léčbu Fanconiho anémie typu A. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822.

Jak přípravek Fanskya působí?

Fanconiho anémie typu A je způsobena mutacemi v genu *FANCA*, který obsahuje pokyny pro tvorbu bílkoviny, která pomáhá opravit poškozenou DNA, a to zejména v buňkách, které se často dělí, například v kostní dřeni.



Léčivá látka v přípravku Fanskya, mozařankogen autotemcel, měla být připravena z vlastních krevních kmenových buněk pacienta (buněk, ze kterých se mohou vyvinout různé typy krevních buněk). Tyto látky by pak byly v laboratoři za použití viru modifikovány. Virus se mění tak, aby se nemohl šířit v těle, ale mohl dodat zdravou kopii genu *FANCA* do krevních kmenových buněk, což jim umožní poškozenou DNA opravit. Modifikované krevní kmenové buňky měly být podány zpět pacientovi ve formě infuze a měly putovat do kostní dřeně a vytvářet zdravé krevní buňky.

Jakou dokumentaci předložila společnost na podporu své žádosti?

Společnost předložila údaje ze tří studií, do kterých bylo zařazeno 14 dětí ve věku od 1 roku do 7 let s Fanconiho anémií typu A. Tyto studie neporovnávaly přípravek Fanskya s jiným léčivým přípravkem ani s placebem (neúčinným přípravkem). Hlavní měřítko účinnosti zahrnovalo tři různé výsledky: obnovení tvorby zdravých krevních buněk v kostní dřeně, opravu genetických abnormalit v cirkulujících krevních buňkách a dosažení normálních hladin různých krevních buněk po podání přípravku Fanskya.

V jaké fázi bylo posuzování žádosti v době, kdy byla stažena?

Žádost byla stažena poté, co Evropská agentura pro léčivé přípravky posoudila informace předložené společností a vypracovala otázky pro společnost. V době stažení žádosti nebyla poslední sada otázek společností ještě zodpovězena.

Jaké bylo doporučení agentury v dané době?

Na základě vyhodnocení dostupných údajů měla agentura v době stažení žádosti určité pochybnosti a její prozatímní stanovisko bylo, že přípravek Fanskya nemůže být schválen k léčbě Fanconiho anémie typu A.

Agentura měla pochybnosti týkající se potenciální bezpečnosti léčivého přípravku, neboť výsledky ukazující, kolik kopií genu *FANCA* se dostalo do kmenových buněk, jsou k dispozici až po léčbě. To je důležité, protože zavedení vysokého počtu kopií genů do kmenových buněk může ovlivnit jejich fungování. Vzhledem k tomu, že možné riziko změny normálního fungování buněk nebylo možné plně vyhodnotit před podáním léčivého přípravku pacientovi, požádala agentura o komplexní posouzení rizik.

Ačkoli společnost provedla několik testů za účelem posouzení kvality přípravku Fanskya před jeho podáním pacientům, měla agentura pochybnosti, zda jsou dostupné údaje dostatečné k potvrzení toho, že testy spolehlivě předpověděly bezpečnost a účinnost tohoto léčivého přípravku. Jedním z klíčových ukazatelů používaných ke kontrole kvality kmenových buněk je procento buněk, které obsahují marker zvaný CD34. Agentura však měla pochybnosti týkající se prahových hodnot kmenových buněk v přípravku Fanskya, které tento marker obsahovaly.

I přes nedostatek údajů o dlouhodobé bezpečnosti se zdá, že přípravek Fanskya má přijatelný bezpečnostní profil. Agentura však dospěla k závěru, že společnost přesvědčivě neprokázala, že přínosy přípravku Fanskya převyšují jeho rizika. Důvodem bylo zejména to, že klinický přínos léčivého přípravku nebyl jasně stanoven. Nejistoty v hlavní studii, například absence srovnávacího přípravku a nízký věk účastníků, zabránily agentuře v tom, aby v době stažení žádosti dospěla ke spolehlivým závěrům ohledně toho, zda přípravek Fanskya mohl zabránit selhání kostní dřeně ve vyšším věku. Agentura měla rovněž pochybnosti týkající se proveditelnosti navrhovaných opatření ke shromažďování komplexních údajů po uvedení přípravku na trh za účelem splnění kritérií pro podmíněčnou registraci.

Agentura proto v době stažení žádosti zastávala názor, že společnost dostatečně nevyvrátila její pochybnosti a že přínosy přípravku Fanskya nebylo možné prokázat.

Jaké důvody stažení žádosti uvedla společnost?

Společnost ve svém [dopise](#), v němž uvědomuje agenturu o stažení žádosti, uvedla, že ačkoli předpokládá, že uspokojivě vyřeší pochybnosti, které agentura vyjádřila, žádost byla stažena výhradně z obchodních důvodů.

Jaké jsou důsledky stažení žádosti pro pacienty zařazené do klinických studií?

Společnost informovala agenturu, že stažení žádosti nemá žádné důsledky pro pacienty, kteří jsou v současné době zařazení do klinických studií s přípravkem Fanskya.

Pokud jste Vy nebo Vaše dítě zařazení do klinické studie a potřebujete získat více informací o své léčbě nebo léčbě Vašeho dítěte, obraťte se na svého lékaře v rámci klinické studie.