



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Tilbagetrækning af ansøgningen om markedsføringstilladelse for Fanskya (mozafancogene autotemcel)

Rocket Pharmaceuticals B.V. har tilbagetrukket sin ansøgning om markedsføringstilladelse for Fanskya til behandling af Fanconis anæmi type A, som er en arvelig sygdom, der påvirker knoglemarven, svampeagtigt væv inde i de store knogler, hvor der produceres blodceller.

Virksomheden trak ansøgningen tilbage den 11. august 2025.

Hvad er Fanskya, og hvad forventedes det anvendt til?

Fanskya blev udviklet som et lægemiddel til børn i alderen 1-18 år til behandling af Fanconis anæmi type A.

Ved Fanconi anæmi type A mister knoglemarven gradvist sin evne til at producere tilstrækkeligt med sunde blodceller, hvilket fører til blodsygdomme såsom anæmi (lavt indhold af røde blodlegemer) og en øget risiko for infektioner og blødning. Personer med sygdommen har også en højere risiko for at udvikle visse typer kræft, såsom leukæmi (kræft i de hvide blodlegemer). De kan også få problemer med organer som nyrer og hjerte. Der findes flere forskellige undertyper af Fanconis anæmi. Type A er den mest almindelige og skyldes mutationer (ændringer) i FANCA-genet.

Fanskya indeholder det aktive stof mozafancogene autotemcel og skulle gives som en enkelt infusion (drop) i en vene.

Fanskya blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 17. december 2010 til behandling af Fanconis anæmi type A. Yderligere oplysninger om udpegelsen til lægemiddel til sjældne sygdomme findes på agenturets websted: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822.

Hvordan virker Fanskya?

Fanconis anæmi type A skyldes mutationer i FANCA -genet, der indeholder instruktioner om at danne et protein, der hjælper med at reparere beskadiget DNA, især i celler, der ofte deler sig, f.eks. i knoglemarven.

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



Det aktive stof i Fanskya, mozafancogene autotemcel, skulle fremstilles med patientens egne blodstamceller (celler, der kan udvikle sig til forskellige typer blodceller). Disse ville senere blive modificeret i et laboratorium ved hjælp af en virus. I den proces ændres viruset, så det ikke kan sprede sig i kroppen, men kan levere en sund kopi af *FANCA* -genet til blodstamcellerne, så de får deres evne tilbage til at reparere beskadiget DNA. De modificerede blodstamceller skulle føres tilbage til patienten gennem infusion og forventedes derefter at bevæge sig til knoglemarven og danne sunde blodceller.

Hvilken dokumentation fremlagde virksomheden i forbindelse med ansøgningen?

Virksomheden fremlagde data fra 3 studier med 14 børn i alderen 1-7 år med Fanconis anæmi type A. Studierne sammenlignede ikke Fanskya med et andet lægemiddel eller med placebo (en uvirksom behandling). Virkningen blev hovedsageligt bedømt på tre forskellige udfald: genoprettelse af en normal produktion af blodceller i knoglemarven, korrektion af genetiske abnormiteter i cirkulerende blodceller og opnåelse af normale niveauer af forskellige blodceller efter behandling med Fanskya.

Hvor langt var vurderingen af ansøgningen nået, da den blev trukket tilbage?

Ansøgningen blev trukket tilbage, efter at Det Europæiske Lægemiddelagentur havde vurderet den dokumentation, som virksomheden havde fremlagt, og udarbejdet spørgsmål til virksomheden. Virksomheden havde endnu ikke svaret på den sidste spørgsmålsrunde, da ansøgningen blev trukket tilbage.

Hvad anbefalede agenturet på daværende tidspunkt?

På baggrund af gennemgangen af dataene på tidspunktet for tilbagetrækningen af ansøgningen havde agenturet haft visse betænkeligheder og var af den foreløbige opfattelse, at Fanskya ikke kunne være blevet godkendt til behandling af Fanconis anæmi type A.

Agenturet var bekymret over lægemidlets potentielle sikkerhed, da resultater, der viser, hvor mange kopier af *FANCA*-genet der *kommer* ind i stamcellerne, først er tilgængelige efter behandling. Dette er vigtigt, fordi overførslen af et stort antal kopier af genet til stamcellerne kan påvirke den måde, de fungerer på. Da den mulige risiko for, at genet ændrer cellernes normale funktion, ikke kunne vurderes fuldt ud, før lægemidlet var blevet givet til patienten, anmodede agenturet om en omfattende risikovurdering.

Selv om virksomheden gennemførte flere test for at vurdere kvaliteten af Fanskya, inden det gives til patienterne, havde agenturet betænkeligheder med hensyn til, om de tilgængelige data var tilstrækkelige til at bekræfte, at testene på pålidelig vist estimerede lægemidlets sikkerhed og virkning. Et af de vigtigste mål, der anvendes til at kontrollere kvaliteten af stamcellerne, er procentdelen af celler, som bærer markøren CD34. Agenturet havde imidlertid betænkeligheder med hensyn til tærsklerne for de stamceller i Fanskya, der havde denne markør.

På trods af manglen på langsigtede sikkerhedsdata syntes Fanskya at have en acceptabel sikkerhedsprofil. Agenturet konkluderede imidlertid, at virksomheden ikke på overbevisende måde havde påvist, at fordelene ved Fanskya opvejede risiciene. Dette skyldtes hovedsagelig, at den kliniske fordel ved lægemidlet ikke var klart påvist. Usikkerhedsfaktorerne i hovedstudiet, som f.eks. manglen på sammenligningspræparat og deltagernes unge alder, gjorde, at agenturet på tilbagetrækningstidspunktet ikke kunne drage holdbare konklusioner om, hvorvidt Fanskya kunne have

forhindret knoglemarvssvigt i en senere alder. Agenturet havde også betænkeligheder vedrørende gennemførligheden af de foreslåede tiltag med henblik på at indsamle omfattende data efter markedsføringen for at opfylde kriterierne for en markedsføringstilladelse på særlige vilkår.

Derfor var agenturet på tidspunktet for tilbagetrækningen af den opfattelse, at virksomheden ikke fuldt ud havde afhjulpet agenturets betænkeligheder, og at fordelene ved Fanskya ikke var blevet påvist.

Hvilke begrundelser gav virksomheden for tilbagetrækningen af ansøgningen?

I sit [brev](#) til agenturet om tilbagetrækningen af ansøgningen anførte virksomheden, at selv om den forventede på tilfredsstillende vis at imødekomme de betænkeligheder, som agenturet havde givet udtryk for, blev ansøgningen trukket tilbage udelukkende af forretningsmæssige årsager.

Hvilke konsekvenser har tilbagetrækningen for patienter, der deltager i kliniske forsøg?

Virksomheden har til agenturet oplyst, at der ingen konsekvenser er for patienter, der deltager i kliniske forsøg med Fanskya.

Hvis du eller dit barn deltager i et klinisk forsøg og har behov for yderligere oplysninger om dig eller dit barns behandling, kan du kontakte den læge, der behandler dig eller dit barn.