



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Rücknahme des Antrags auf Genehmigung für das Inverkehrbringen für Fanskya (Mozafancogen autotemcel)

Rocket Pharmaceuticals B.V. hat seinen Antrag auf Genehmigung für das Inverkehrbringen von Fanskya zur Behandlung der Fanconi-Anämie Typ A zurückgenommen; bei dieser handelt es sich um eine Erbkrankheit, die das Knochenmark, das Schwammgewebe innerhalb der großen Knochen, in denen Blutzellen gebildet werden, betrifft.

Das Unternehmen nahm den Antrag am 11. August 2025 zurück.

Was ist Fanskya und wofür sollte es angewendet werden?

Fanskya wurde als Arzneimittel entwickelt, das bei Kindern im Alter von 1 bis 18 Jahren zur Behandlung der Fanconi-Anämie Typ A angewendet werden sollte.

Bei der Fanconi-Anämie Typ A verliert das Knochenmark allmählich seine Fähigkeit, genügend gesunde Blutkörperchen zu bilden, was zu Erkrankungen des Blutes wie Anämie (geringe Konzentrationen roter Blutkörperchen) und einem erhöhten Infektions- und Blutungsrisiko führt. Personen mit dieser Erkrankung haben außerdem ein höheres Risiko, bestimmte Krebsarten zu entwickeln, wie z. B. Leukämie (Krebserkrankung der weißen Blutkörperchen), und können Probleme entwickeln, die Organe wie Nieren und Herz betreffen. Es gibt verschiedene Subtypen der Fanconi-Anämie; Typ A ist der häufigste und wird durch Mutationen (Veränderungen) im *FANCA*-Gen verursacht.

Fanskya enthält den Wirkstoff Mozafancogen autotemcel und sollte als einzelne Infusion (Tropfinfusion) in eine Vene verabreicht werden.

Fanskya wurde am 17. Dezember 2010 als „Orphan-Arzneimittel“ (Arzneimittel für seltene Leiden) gegen die Fanconi-Anämie Typ A ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf der Website der Agentur: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822.

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



Wie wirkt Fanskya?

Die Fanconi-Anämie Typ A wird durch Mutationen im *FANCA*-Gen verursacht, das Anweisungen zur Bildung eines Proteins liefert, das an der Reparatur beschädigter DNA beteiligt ist, insbesondere in Zellen, die sich häufig teilen, wie z. B. im Knochenmark.

Der Wirkstoff in Fanskya, Mozafancogen autotemcel, sollte unter Verwendung der eigenen Blutstammzellen (Zellen, die sich zu verschiedenen Arten von Blutzellen entwickeln können) des Patienten hergestellt werden. Diese Blutzellen würden dann in einem Labor mit einem Virus modifiziert. Das Virus wird so verändert, dass es sich nicht im Körper ausbreiten, aber eine gesunde Kopie des *FANCA*-Gens in die Blutstammzellen liefern kann, damit diese beschädigte DNA reparieren können. Die modifizierten Blutstammzellen sollten dem Patienten über eine Infusion zurückgegeben werden, und es wurde erwartet, dass sie zum Knochenmark gelangen und gesunde Blutzellen bilden.

Welche Unterlagen hat das Unternehmen zur Stützung seines Antrags vorgelegt?

Das Unternehmen legte Daten aus drei Studien vor, an denen 14 Kinder im Alter von 1 bis 7 Jahren mit Fanconi-Anämie Typ A teilnahmen. In den Studien wurde Fanskya nicht mit einem anderen Arzneimittel oder Placebo (einer Scheinbehandlung) verglichen. Der Hauptindikator für die Wirksamkeit umfasste drei verschiedene Ergebnisse: die Wiederherstellung der Bildung gesunder Blutzellen im Knochenmark, die Korrektur genetischer Anomalien in zirkulierenden Blutzellen und die Erreichung normaler Werte verschiedener Blutzellen nach der Verabreichung von Fanskya.

In welchem Stadium der Beurteilung befand sich der Antrag zum Zeitpunkt der Rücknahme?

Der Antrag wurde zurückgenommen, nachdem die Europäische Arzneimittel-Agentur die von dem Unternehmen eingereichten Informationen ausgewertet und Fragen für das Unternehmen formuliert hatte. Das Unternehmen hatte zum Zeitpunkt der Rücknahme die zuletzt gestellten Fragen noch nicht beantwortet.

Wie lautete die Empfehlung der Agentur zu diesem Zeitpunkt?

Aufgrund der geprüften Daten bestanden seitens der Agentur zum Zeitpunkt der Rücknahme gewisse Bedenken. Die Agentur war der vorläufigen Ansicht, dass Fanskya für die Behandlung der Fanconi-Anämie Typ A nicht hätte zugelassen werden können.

Die Agentur hatte Bedenken hinsichtlich der potenziellen Sicherheit des Arzneimittels, da Ergebnisse, die zeigen, wie viele Kopien des *FANCA*-Gens in die Stammzellen gelangen, erst nach der Behandlung verfügbar sind. Dies ist wichtig, da die Aufnahme einer hohen Anzahl von Genkopien in die Stammzellen Auswirkungen auf ihre Funktion haben kann. Da das mögliche Risiko einer Veränderung der normalen Funktionsweise von Zellen durch das Gen nicht vollständig bewertet werden konnte, bevor das Arzneimittel dem Patienten verabreicht wurde, forderte die Agentur eine umfassende Risikobewertung an.

Obwohl das Unternehmen mehrere Tests zur Beurteilung der Qualität von Fanskya vor der Verabreichung an Patienten durchführte, hatte die Agentur Bedenken, ob die verfügbaren Daten ausreichten, um zu bestätigen, dass die Tests eine zuverlässige Prognose für die Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels darstellten. Einer der wichtigsten Indikatoren, die zur Überprüfung der Qualität der Stammzellen verwendet werden, ist der prozentuale Anteil der Zellen, die einen Marker

mit der Bezeichnung CD34 aufweisen. Die Agentur hatte jedoch Bedenken hinsichtlich der Schwellenwerte für Stammzellen in Fanskya, die diesen Marker aufwiesen.

Trotz des Mangels an Daten zur Langzeitsicherheit schien Fanskya ein akzeptables Sicherheitsprofil zu haben. Die Agentur gelangte jedoch zu dem Schluss, dass das Unternehmen nicht überzeugend nachgewiesen hatte, dass der Nutzen von Fanskya gegenüber den Risiken überwiegt. Der Hauptgrund dafür ist, dass der klinische Nutzen des Arzneimittels nicht eindeutig nachgewiesen worden war. Unsicherheiten in der Hauptstudie, wie z. B. das Fehlen eines Vergleichsarzneimittels und das junge Alter der Teilnehmer, hinderten die Agentur daran, zum Zeitpunkt der Rücknahme solide Schlussfolgerungen zu der Frage zu ziehen, ob Fanskya Knochenmarksversagen in einem späteren Alter hätte verhindern können. Die Agentur hatte auch Bedenken hinsichtlich der Durchführbarkeit der vorgeschlagenen Maßnahmen zur Erhebung umfassender Daten nach dem Inverkehrbringen, um die Kriterien für eine bedingte Zulassung zu erfüllen.

Zum Zeitpunkt der Rücknahme war die Agentur daher der Ansicht, dass das Unternehmen ihre Bedenken nicht vollständig ausgeräumt und den Nutzen von Fanskya nicht aufgezeigt hatte.

Aus welchen Gründen hat das Unternehmen den Antrag zurückgenommen?

In dem [Schreiben](#), in dem das Unternehmen die Agentur über die Rücknahme des Antrags informiert, erklärte es, dass es die von der Agentur geäußerten Bedenken zwar voraussichtlich zufriedenstellend ausgeräumt hätte, der Antrag jedoch ausschließlich aus geschäftlichen Gründen zurückgenommen wurde.

Hat die Rücknahme Konsequenzen für Patienten, die derzeit an klinischen Studien teilnehmen?

Das Unternehmen teilte der Agentur mit, dass sich keine Konsequenzen für Patienten ergeben, die derzeit an klinischen Studien mit Fanskya teilnehmen.

Sollten Sie oder Ihr Kind an einer klinischen Studie teilnehmen und weitere Informationen zu Ihrer Behandlung oder der Behandlung Ihres Kindes benötigen, wenden Sie sich bitte an Ihren Studienarzt.