



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 Αυγούστου 2025
EMA/270385/2025
EMA/H/C/005537

Απόσυρση της αίτησης για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας στο Fanskya (mozafancogene autotemcel)

Η Rocket Pharmaceuticals B.V. απέσυρε την αίτησή της για χορήγηση άδειας κυκλοφορίας για το Fanskya για τη θεραπεία της αναιμίας Fanconi τύπου A, μιας κληρονομικής πάθησης που επηρεάζει τον μυελό των οστών, τον σπογγώδη ιστό εντός των μεγάλων οστών όπου παράγονται τα αιμοσφαίρια.

Η εταιρεία απέσυρε την αίτηση στις 11 Αυγούστου 2025.

Τι είναι το Fanskya και σε ποιες περιπτώσεις επρόκειτο να χρησιμοποιηθεί;

Το Fanskya αναπτύχθηκε ως φάρμακο για χρήση σε παιδιά ηλικίας 1 έως 18 ετών για τη θεραπεία της αναιμίας Fanconi τύπου A.

Στην αναιμία Fanconi τύπου A, ο μυελός των οστών χάνει σταδιακά την ικανότητά του να παράγει αρκετά υγιή αιμοσφαίρια, γεγονός που οδηγεί σε αιματολογικές διαταραχές, όπως αναιμία (χαμηλά επίπεδα ερυθρών αιμοσφαιρίων) και αυξημένο κίνδυνο λοιμώξεων και αιμορραγίας. Τα άτομα που πάσχουν από την πάθηση διατρέχουν επίσης υψηλότερο κίνδυνο ανάπτυξης ορισμένων τύπων καρκίνου, όπως η λευχαιμία (καρκίνος των λευκών αιμοσφαιρίων) και ενδέχεται να αντιμετωπίσουν προβλήματα που επηρεάζουν όργανα όπως οι νεφροί και η καρδιά. Υπάρχουν διάφοροι υποτύποι αναιμίας Fanconi. Ο τύπος A είναι ο συνηθέστερος και προκαλείται από μεταλλάξεις (αλλαγές) στο γονίδιο *FANCA*.

Το Fanskya περιέχει τη δραστική ουσία mozafancogene autotemcel και επρόκειτο να χορηγηθεί με εφάπαξ έγχυση (ενστάλαξη) σε φλέβα.

Το Fanskya χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χορηγείται σε σπάνιες ασθένειες) στις 17 Δεκεμβρίου 2010 για τη θεραπεία της αναιμίας Fanconi τύπου A. Περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τον χαρακτηρισμό των ορφανών φαρμάκων διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση: 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



Πώς δρα το Fanskya;

Η αναιμία Fanconi τύπου A προκαλείται από μεταλλάξεις στο γονίδιο *FANCA*, το οποίο παρέχει οδηγίες για την παραγωγή μιας πρωτεΐνης η οποία συμβάλλει στην αποκατάσταση του DNA που έχει υποστεί βλάβη, ιδίως σε κύτταρα που διαιρούνται συχνά, όπως σε κύτταρα στον μυελό των οστών.

Η δραστική ουσία του Fanskya, η *mozafancogene autotemcel*, επρόκειτο να παρασκευαστεί με τη χρήση των αιμοποιητικών βλαστοκυττάρων του ίδιου του ασθενούς (κύτταρα που μπορούν να αναπτυχθούν σε διαφορετικούς τύπους αιμοσφαιρίων). Στη συνέχεια, αυτά θα τροποποιούνταν σε ένα εργαστήριο με τη χρήση ενός ιού. Ο ιός τροποποιείται ώστε να μην μπορεί να εξαπλωθεί στον οργανισμό, αλλά μπορεί να μεταδώσει ένα υγιές αντίγραφο του γονιδίου *FANCA* στα αιμοποιητικά βλαστοκύτταρα, επιτρέποντάς τους να επιδιορθώσουν το DNA που έχει υποστεί βλάβη. Τα τροποποιημένα αιμοποιητικά βλαστοκύτταρα επρόκειτο να χορηγηθούν εκ νέου στον ασθενή μέσω έγχυσης και αναμενόταν να μεταβούν στον μυελό των οστών και να παρασκευάσουν υγιή αιμοσφαίρια.

Τι είδους τεκμηρίωση υπέβαλε η παρασκευάστρια εταιρεία προς στήριξη της αίτησής της;

Η εταιρεία παρουσίασε δεδομένα από 3 μελέτες στις οποίες μετείχαν 14 παιδιά ηλικίας 1 έως 7 ετών με αναιμία Fanconi τύπου A. Οι μελέτες δεν συνέκριναν το Fanskya με άλλο φάρμακο ή εικονικό φάρμακο (εικονική θεραπεία). Ο βασικός δείκτης μέτρησης της αποτελεσματικότητας περιλάμβανε τρία διαφορετικά αποτελέσματα: την αποκατάσταση της υγιούς παραγωγής αιμοσφαιρίων στον μυελό των οστών, τη διόρθωση των γενετικών ανωμαλιών στα κυκλοφορούντα αιμοσφαίρια και την επίτευξη φυσιολογικών επιπέδων διαφορετικών αιμοσφαιρίων μετά τη χορήγηση του Fanskya.

Σε ποιο στάδιο της αξιολόγησης βρισκόταν η αίτηση τη στιγμή της απόσυρσης;

Η αίτηση αποσύρθηκε αφού ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων είχε αξιολογήσει τα στοιχεία που είχαν υποβληθεί από την εταιρεία και είχε καταρτίσει κατάλογο ερωτήσεων. Κατά τη στιγμή της απόσυρσης της αίτησης, η εταιρεία δεν είχε ακόμη απαντήσει στον τελευταίο γύρο ερωτήσεων.

Ποια ήταν η σύσταση του Οργανισμού τη στιγμή της απόσυρσης;

Βάσει της εξέτασης των υποβληθέντων στοιχείων τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός εξέφρασε ορισμένες ανησυχίες και διατύπωσε την προσωρινή γνώμη ότι το Fanskya δεν θα μπορούσε να έχει εγκριθεί για τη θεραπεία της αναιμίας Fanconi τύπου A.

Ο Οργανισμός εξέφρασε ανησυχίες σχετικά με την πιθανή ασφάλεια του φαρμάκου, καθώς τα αποτελέσματα που δείχνουν πόσα αντίγραφα του γονιδίου *FANCA* εισέρχονται στα βλαστοκύτταρα είναι διαθέσιμα μόνο μετά τη θεραπεία. Αυτό είναι σημαντικό διότι η εισαγωγή μεγάλου αριθμού γονιδιακών αντιγράφων στα βλαστοκύτταρα μπορεί να επηρεάσει τον τρόπο λειτουργίας τους. Καθώς ο πιθανός κίνδυνος μεταβολής της φυσιολογικής λειτουργίας των κυττάρων από το γονίδιο δεν μπορούσε να αξιολογηθεί πλήρως πριν από τη χορήγηση του φαρμάκου στον ασθενή, ο Οργανισμός ζήτησε μια ολοκληρωμένη αξιολόγηση κινδύνου.

Μολονότι η εταιρεία διενήργησε διάφορες δοκιμές για την αξιολόγηση της ποιότητας του Fanskya πριν από τη χορήγησή του σε ασθενείς, ο Οργανισμός εξέφρασε ανησυχίες σχετικά με το κατά πόσον τα διαθέσιμα δεδομένα ήταν επαρκή για να επιβεβαιωθεί ότι οι δοκιμές προέβλεπαν αξιόπιστα την ασφάλεια και την αποτελεσματικότητα του φαρμάκου. Ένα από τα βασικά μέτρα που χρησιμοποιούνται για τον έλεγχο της ποιότητας των βλαστοκυττάρων είναι το ποσοστό των κυττάρων που φέρουν έναν δείκτη

που ονομάζεται CD34. Ωστόσο, ο Οργανισμός εξέφρασε ανησυχίες σχετικά με τον ελάχιστο αριθμό βλαστοκυττάρων στο Fanskya που έφεραν αυτόν τον δείκτη.

Παρά την έλλειψη δεδομένων σχετικά με τη μακροχρόνια ασφάλεια, το Fanskya φαίνεται να έχει αποδεκτή εικόνα ασφάλειας. Ωστόσο, ο Οργανισμός κατέληξε στο συμπέρασμα ότι η εταιρεία δεν κατέδειξε με πειστικό τρόπο ότι τα οφέλη του Fanskya υπερτερούν των κινδύνων που συνδέονται με αυτό. Αυτό οφειλόταν κυρίως στο γεγονός ότι το κλινικό όφελος του φαρμάκου δεν είχε τεκμηριωθεί με σαφήνεια. Οι αβεβαιότητες της κύριας μελέτης, όπως η έλλειψη φαρμάκου σύγκρισης και η νεαρή ηλικία των συμμετεχόντων, δεν επέτρεψαν στον Οργανισμό να καταλήξει σε οριστικά συμπεράσματα κατά τη στιγμή της απόσυρσης σχετικά με το εάν το Fanskya θα μπορούσε να αποτρέψει την ανεπάρκεια του μυελού των οστών σε μεγαλύτερες ηλικίες. Ο Οργανισμός εξέφρασε επίσης ανησυχίες σχετικά με τη σκοπιμότητα των προτεινόμενων μέτρων για τη συλλογή ολοκληρωμένων δεδομένων μετά την κυκλοφορία στην αγορά, ώστε να πληρούνται τα κριτήρια για τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας υπό όρους.

Ως εκ τούτου, τη στιγμή της απόσυρσης, ο Οργανισμός διατύπωσε τη γνώμη ότι η εταιρεία δεν είχε διευθετήσει πλήρως τις ανησυχίες του και ότι το όφελος του Fanskya δεν έχει καταδειχθεί.

Ποιοι ήταν οι λόγοι απόσυρσης της αίτησης που παρέθεσε η εταιρεία;

Στην [επιστολή](#) της με την οποία κοινοποιεί στον Οργανισμό την απόσυρση της αίτησης, η εταιρεία δήλωσε ότι, παρόλο που αναμενόταν να διευθετήσει ικανοποιητικά τις ανησυχίες που εξέφρασε ο Οργανισμός, η αίτηση αποσύρθηκε αποκλειστικά για επιχειρηματικούς λόγους.

Ποιες είναι οι επιπτώσεις από την απόσυρση της αίτησης στους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές;

Η εταιρεία ενημέρωσε τον Οργανισμό ότι δεν υπάρχουν επιπτώσεις για τους ασθενείς που συμμετέχουν σε κλινικές δοκιμές με το Fanskya.

Εάν εσείς ή το παιδί σας συμμετέχετε σε κλινική δοκιμή και χρειάζεστε περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη θεραπεία σας ή τη θεραπεία του παιδιού σας, συμβουλευθείτε τον γιατρό που παρακολουθεί εσάς ή το παιδί σας στο πλαίσιο της κλινικής δοκιμής.