



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 de agosto de 2025
EMA/270385/2025
EMA/H/C/005537

Retirada de la solicitud de autorización de comercialización de Fanskya (mozafancogén autotemcel)

Rocket Pharmaceuticals B.V. retiró su solicitud de autorización de comercialización de Fanskya para el tratamiento de la anemia de Fanconi de tipo A, una enfermedad hereditaria que afecta a la médula ósea, el tejido esponjoso que se encuentra dentro de los huesos grandes y en el que se producen las células sanguíneas.

La empresa retiró la solicitud el 11 de agosto de 2025.

¿Qué es Fanskya y a qué uso estaba destinado?

Fanskya se desarrolló como medicamento para el tratamiento de niños de 1 a 18 años con anemia de Fanconi de tipo A.

En la anemia de Fanconi de tipo A, la médula ósea pierde gradualmente su capacidad de producir suficientes células sanguíneas sanas, lo que provoca trastornos sanguíneos como anemia (niveles bajos de glóbulos rojos) y un mayor riesgo de infecciones y hemorragias. Las personas con esta enfermedad también tienen un mayor riesgo de padecer ciertos tipos de cáncer, como leucemia (cáncer de los glóbulos blancos), y pueden presentar problemas que afectan a órganos como los riñones y el corazón. Existen varios subtipos diferentes de anemia de Fanconi; el tipo A es el más frecuente y está causado por mutaciones (cambios) en el gen *FANCA*.

Fanskya contiene el principio activo mozafancogén autotemcel e iba a administrarse en una sola perfusión (goteo en una vena).

Fanskya fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 17 de diciembre de 2010 para la anemia de Fanconi de tipo A. Puede encontrarse más información sobre la designación de medicamento huérfano en la página web de la Agencia: 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



¿Cómo actúa Fanskya?

La anemia de Fanconi de tipo A está causada por mutaciones en el gen *FANCA*, que proporciona instrucciones para fabricar una proteína que ayuda a reparar el ADN dañado, especialmente en células que se dividen a menudo, como las de la médula ósea.

El principio activo de Fanskya, el mozafancogén autotemcel, iba a prepararse con las propias células madre (células que pueden transformarse en diferentes tipos de células sanguíneas) del paciente. A continuación, estas células se modificarían en un laboratorio mediante un virus. El virus se modifica para que no pueda propagarse en el organismo, pero sí puede introducir una copia sana del gen *FANCA* en las células madre, lo que les permite reparar el ADN dañado. Las células madre modificadas debían introducirse de nuevo en el paciente mediante perfusión, y estaba previsto que viajaran hasta la médula ósea para producir células sanguíneas sanas.

¿Qué documentación presentó la empresa en apoyo de su solicitud?

La empresa presentó datos de 3 estudios en los que participaron 14 niños de 1 a 7 años con anemia de Fanconi de tipo A. En los estudios no se comparó Fanskya con otro medicamento ni con un placebo (un tratamiento ficticio). El criterio principal de valoración de la eficacia incluyó tres resultados diferentes: el restablecimiento de la producción de células sanguíneas sanas en la médula ósea, la corrección de las anomalías genéticas en las células sanguíneas circulantes y la consecución de unos niveles normales de diferentes células sanguíneas después de la administración de Fanskya.

¿En qué fase se encontraba la evaluación de la solicitud cuando fue retirada?

La solicitud fue retirada después de que la EMA hubiese evaluado la información facilitada por la empresa y formulado una lista de preguntas. La empresa no había respondido aún a la última serie de preguntas en el momento de la retirada.

¿Qué recomendaba la Agencia en ese momento?

Estudiada la documentación, en el momento de la retirada la Agencia tenía reservas y, provisionalmente, consideraba que Fanskya no hubiera podido aprobarse para el tratamiento de la anemia de Fanconi de tipo A.

A la Agencia le preocupaba la posible seguridad del medicamento, ya que los resultados que indican cuántas copias del gen *FANCA* entran en las células madre solo están disponibles después del tratamiento. Esto es importante porque la introducción de un elevado número de copias del gen en las células madre podría afectar a su funcionamiento. Dado que el posible riesgo de que el gen cambiase el funcionamiento normal de las células no pudo evaluarse plenamente antes de que el medicamento se hubiera administrado al paciente, la Agencia solicitó una evaluación exhaustiva del riesgo.

Aunque la empresa llevó a cabo varias pruebas para evaluar la calidad de Fanskya antes de su administración a los pacientes, la Agencia tenía reservas sobre si los datos disponibles eran suficientes para confirmar que las pruebas predecían de forma fiable la seguridad y la eficacia del medicamento. Una de las medidas clave utilizadas para comprobar la calidad de las células madre es el porcentaje de células que expresan un marcador llamado CD34. Sin embargo, la Agencia tenía reservas con respecto a los umbrales de células madre obtenidas con Fanskya que expresaban este marcador.

A pesar de la falta de datos de seguridad a largo plazo, Fanskya parecía tener un perfil de seguridad aceptable. Sin embargo, la Agencia concluyó que la empresa no había demostrado de forma

convinciente que los beneficios de Fanskya fueran mayores que sus riesgos. Esto se debió principalmente a que no se había establecido de forma clara el beneficio clínico del medicamento. Las incertidumbres del estudio principal, como la falta de un medicamento de comparación y la corta edad de los participantes, impidieron a la Agencia llegar a conclusiones sólidas en el momento de la retirada sobre si Fanskya podría haber evitado la insuficiencia de médula ósea a una edad posterior. La Agencia también tenía reservas sobre la viabilidad de las medidas propuestas para recopilar datos poscomercialización exhaustivos a fin de cumplir los criterios para una autorización condicional de comercialización.

Por consiguiente, en el momento de la retirada, la Agencia estimaba que la empresa no había respondido debidamente a sus reservas y que no habían quedado suficientemente demostrados los beneficios de Fanskya.

¿Cuáles fueron las razones aducidas por la empresa para retirar su solicitud?

En el [escrito](#) en el que notificaba a la Agencia la retirada de la solicitud, la empresa declaró que, aunque esperaba responder satisfactoriamente a las reservas planteadas por la Agencia, la solicitud se retiraba únicamente por motivos comerciales.

¿Qué consecuencias tiene esta retirada para los pacientes que participan en los ensayos clínicos?

La empresa informó a la Agencia de que no hay consecuencias para los pacientes que participan en ensayos clínicos con Fanskya.

Si usted o su hijo/a participan en un ensayo clínico y precisa información adicional acerca de su tratamiento, hable con su médico del ensayo clínico.