



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Müügiloa taotluse tagasivõtmise teave: Fanskya (autotemtseelmotsafantsogeen)

Rocket Pharmaceuticals B.V. võttis tagasi ravimi Fanskya müügiloa taotluse. Ravim oli näidustatud Fanconi A-tüüpi aneemia raviks. See on pärilik haigus, mis kahjustab luuüdi ehk vere hüübimises osalevaid kudesid suurtes luudes.

Ettevõtte võttis taotluse tagasi 11. augustil 2025.

Mis on Fanskya ja milleks kavatseti seda kasutada?

Fanskya töötati välja ravimina, mida kasutatakse 1–18-aastastel lastel Fanconi A-tüüpi aneemia raviks.

Fanconi A-tüüpi aneemia korral kaotab luuüdi järk-järgult võime toota piisavalt terveid vererakke, mis põhjustab verehäireid, näiteks aneemiat (erütrotsüütide ehk vere punaliblede vähesust) ning infektsioonide ja verejooksu riski suurenemist. Haigusega inimestel on ka suurem risk teatud vähivormide tekkeks, näiteks leukeemia (vere valgeliblede vähk) ning neil võib esineda probleeme, mis mõjutavad elundeid, näiteks neere ja südant. Fanconi aneemial on mitu erinevat alatüüpi; A-tüüp on kõige levinum ja seda põhjustavad *FANCA*-geeni mutatsioonid (muutused).

Fanskya sisaldab toimeainet autotemtseelmotsafantsogeeni ja seda kavatseti manustada ühekordse veeniinfusioonina.

Fanskya nimetati 17. detsembril 2010 Fanconi A-tüüpi aneemia harvikravimiks (ravim, mida kasutatakse harvaesinevate haiguste korral). Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822.

Kuidas Fanskya toimib?

Fanconi A-tüüpi aneemiat põhjustavad mutatsioonid *FANCA*-geenis, mis annab juhiseid sellise valgum valmistamiseks, mis aitab parandada kahjustatud DNA-d, eelkõige rakkudes, mis sageli jagunevad, näiteks luuüdis.

Fanskya toimeainet autotemtseelmotsafantsogeeni kavatseti toota patsiendi enda tüvirakkudest (rakud, mis võivad areneda eri liiki vererakkudeks). Seejärel kavatseti neid laboris viirusega muuta.

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



Viirust muudetakse nii, et see ei saa organismis levida, kuid see suudab sisestada vere tüvirakkudesse *FANCA*-geeni terve koopia, mis võimaldab neil parandada kahjustatud DNA-d. Modifitseeritud vere tüvirakud kavatseti patsiendile infusioonina tagasi anda ning need pidid eeldatavasti liikuma luuüdisse ja tekitama terveid vererakke.

Mis dokumendid esitas ettevõtte oma taotluse toetuseks?

Ettevõtte esitas andmed kolmest uuringust, milles osales 14 Fanconi A-tüüpi aneemiaga last vanuses 1–7 aastat. Uuringutes ei võrreldud Fanskyat teise ravimi ega platseeboga (näiv ravim). Efektiivsuse põhinäitaja sisaldas kolme erinevat tulemust: tervete vererakkude tekke taastamine luuüdis, vereringes esinevate geneetiliste kõrvalekallete korrigeerimine ja eri vererakkude normaalse sisalduse saavutamine pärast Fanskya manustamist.

Mis järgus oli müügiloa taotluse hindamine, kui see tagasi võeti?

Taotlus võeti tagasi pärast seda, kui Euroopa Ravimiamet oli hinnanud ettevõtte esitatud teavet ja koostanud ettevõttele vastamiseks küsimused. Ettevõtte ei olnud taotluse tagasivõtmise ajaks viimastele küsimustele veel vastanud.

Mis oli sel ajal Euroopa Ravimiameti soovitus?

Tuginedes esitatud andmete analüüsile, nägi amet taotluse tagasivõtmise ajal põhjust ettevaatlikkuseks ja oli esialgsel seisukohal, et Fanskya kasutamist Fanconi A-tüüpi aneemia raviks ei ole võimalik heaks kiita.

Amet tundis muret ravimi võimaliku ohutuse pärast, sest tulemused, mis näitavad, kui palju *FANCA*-geeni koopiaid sisestatakse tüvirakkudesse, on kättesaadavad alles pärast ravi. See on oluline, sest suure hulga geenikoopiate lisamine tüvirakkudesse võib mõjutada nende toimimist. Et rakkude normaalset talitlust muutva geeni võimalikku riski ei olnud võimalik enne patsiendile ravimi manustamist täielikult hinnata, nõudis amet põhjalikku riskihindamist.

Kuigi ettevõtte viis enne patsientidele manustamist Fanskya kvaliteedi hindamiseks läbi mitu uuringut, kahtles amet, kas olemasolevad andmed olid piisavad kinnitamaks, et testid prognoosisid usaldusväärselt ravimi ohutust ja efektiivsust. Üks põhimeetmeid, mida kasutatakse tüvirakkude kvaliteedi kontrollimiseks, on CD34-nimelist markerit kandvate rakkude protsent. Amet tundis siiski muret selle markeriga Fanskya tüvirakkude künniste pärast.

Vaatamata pikaajaliste ohutusandmete puudumisele näis Fanskya ohutusprofiil olevat vastuvõetav. Amet jõudis siiski järeldusele, et ettevõtte ei ole veenvalt tõendanud, et Fanskya kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid. Seda peamiselt seetõttu, et ravimi kliiniline kasulikkus ei olnud selgelt tõendatud. Põhiuuringu määramatused, näiteks võrdlusravimi puudumine ja osalejate noor vanus, ei võimaldanud ametil taotluse tagasivõtmise ajal teha usaldusväärseid järeldusi, kas Fanskya oleks võinud ennetada luuüdi puudulikkust hilisemas eas. Amet tundis muret ka kavandatud meetmete teostatavuse pärast, et koguda põhjalikke turustamisjärgseid andmeid, et vastata tingimusliku müügiloa kriteeriumidele.

Seetõttu oli amet müügiloa taotluse tagasivõtmise ajal arvamusel, et ettevõtte ei olnud ameti ettevaatlikkuse põhjusi piisavalt käsitlenud ja Fanskya kasulikkus ei olnud tõendatud.

Mis põhjustel võttis ettevõtte taotluse tagasi?

Ettevõtte [kirjas](#), milles ta teatab Euroopa Ravimiametile oma taotluse tagasivõtmisest, märgib ettevõtte, et kuigi ta eeldatavasti lahendab ameti tõstatatud probleemid rahuldavalt, võeti taotlus tagasi üksnes ärilistel põhjustel.

Kas tagasivõtmine mõjutab praegu kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente?

Ettevõtte teatas Euroopa Ravimiametile, et taotluse tagasivõtmine ei mõjuta praegu Fanskya kliinilistes uuringutes osalevaid patsiente.

Kui teie või teie laps osaleb kliinilises uuringus ja vajate rohkem teavet teie või lapse ravi kohta, rääkige oma kliinilise uuringu arstiga.