



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Fanskyaa (motsafankogeeniautotemseeli) koskevan myyntilupahakemuksen peruuttaminen

Rocket Pharmaceuticals B.V. peruutti Fanskya-lääkevalmistetta koskevan myyntilupahakemuksensa. Fanskya oli tarkoitettu tyypin A Fanconin anemian hoitoon. Tyypin A Fanconin anemia on perinnöllinen sairaus, joka vaikuttaa luuytimeen, eli suurten luiden sisällä olevaan sienimäiseen kudokseen, jossa verisolut muodostuvat.

Yhtiö peruutti hakemuksen 11. elokuuta 2025.

Mitä Fanskya on ja mihin sitä oli tarkoitus käyttää?

Fanskya kehitettiin lääkkeeksi, jota käytetään 1–18-vuotiailla lapsilla tyypin A Fanconin anemian hoitoon.

Tyypin A Fanconin anemiassa luuydin menettää vähitellen kykynsä tuottaa riittävästi terveitä verisoluja, mikä johtaa verisairauksiin, kuten anemiaan (punasolujen alhainen määrä), ja lisää infektioiden ja verenvuodon riskiä. Tyypin A Fanconin anemiaa sairastavilla henkilöillä on myös kasvanut riski sairastua tiettytyypisiin syöpiin, kuten leukemiaan (veren valkosolujen syöpä). Heillä saattaa myös ilmetä elimiin, kuten munuaisiin ja sydämeen, vaikuttavia ongelmia. Fanconin anemiassa on useita erilaisia alatyyppejä. Tyyppi A on yleisin, ja se johtuu *FANCA*-geenin mutaatioista (muutoksista).

Fanskyan vaikuttava aine on motsafankogeeniautotemseeli, ja sitä oli määrä antaa yhtenä infuusiona (tiputuksena) laskimoon.

Fanskya nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 17. joulukuuta 2010 tyypin A Fanconin anemian hoitoon. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on viraston verkkosivustolla osoitteessa 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



Miten Fanskya vaikuttaa?

Tyypin A Fanconin anemia johtuu mutaatioista *FANCA*-geenissä. Geeni sisältää ohjeet sellaisen proteiinin valmistamiseen, jota tarvitaan vaurioituneen DNA:n korjaamiseen erityisesti usein jakautuvissa soluissa, kuten luuytimen soluissa.

Fanskyn vaikuttava aine motsafankogeeniautotemseeli oli määrä valmistaa käyttämällä potilaan omia veren kantasoluja (soluja, jotka voivat kehittyä erityyppisiksi verisoluiksi). Tämän jälkeen kantasoluja oli tarkoitus muuntaa laboratoriossa virusta käyttäen. Virusta muutetaan niin, että se ei voi levitä elimistössä. Virus kuljettaa terveen kopion *FANCA*-geenistä veren kantasoluihin, jolloin ne voivat korjata vaurioitunutta DNA:ta. Muokatut veren kantasolut oli tarkoitus antaa takaisin potilaalle infuusiona. Niiden odotettiin kulkeutuvan luuytimeen ja tuottavan terveitä verisoluja.

Mitä asiakirjoja yhtiö on esittänyt lääkevirastolle hakemuksensa tueksi?

Yhtiö esitti tiedot kolmesta tutkimuksesta, joihin osallistui 14 iältään 1–7-vuotiasta tyypin A Fanconin anemiaa sairastavaa lasta. Tutkimuksissa Fanskyyä ei verrattu toiseen lääkkeeseen tai lumelääkkeeseen. Tehon pääasiallisena mittana oli kolme eri tulosta: terveiden verisolujen tuotannon palauttaminen luuytimessä, verenkierrossa olevien verisolujen geneettisten poikkeavuuksien korjaaminen ja eri verisolujen normaalien tasojen saavuttaminen Fanskyn antamisen jälkeen.

Miten pitkällä hakemuksen arviointi oli, kun se peruutettiin?

Hakemus peruutettiin sen jälkeen, kun Euroopan lääkevirasto oli arvioinut yhtiön toimittamat tiedot ja laatinut kysymyksiä yhtiölle. Yhtiö ei ollut vastannut viimeisiin kysymyksiin, kun hakemus peruutettiin.

Mikä oli viraston suositus tuolloin?

Virasto suhtautui saamiensa tietojen tarkastelun perusteella varauksellisesti eräisiin seikkoihin hakemuksen peruuttamisen ajankohtana. Sen alustava kanta oli, että Fanskyyä ei olisi voitu hyväksyä tyypin A Fanconin anemian hoitoon.

Virastolla oli epäilyksiä lääkkeen turvallisuudesta, sillä tuloksia, jotka osoittavat, kuinka monta *FANCA*-geenin kopiota pääsee kantasoluihin, on saatavilla vasta hoidon jälkeen. Tämä on tärkeää, koska geenikopioiden suuren määrän lisääminen kantasoluihin voi vaikuttaa kantasolujen toimintaan. Lääkevirasto pyysi kattavaa riskinarviointia, koska mahdollista riskiä siitä, että geeni muuttaa solujen normaalia toimintaa, ei voitu täysin arvioida ennen lääkkeen antamista potilaalle.

Vaikka yhtiö teki useita testejä Fanskyn laadun arvioimiseksi ennen sen antamista potilaille, virasto oli epävarma siitä, riittävätkö saatavilla olevat tiedot vahvistamaan, että testeillä voidaan luotettavasti ennustaa lääkkeen turvallisuus ja teho. Yksi keskeinen kantasolujen laadun indikaattori on niiden solujen prosenttiosuus, jotka sisältävät CD34-merkkiaineen. Virastolla oli huolenaiheita merkkiaineen sisältävien kantasolujen kynnysarvoista Fanskyn suhteen.

Pitkäaikaisten turvallisuustietojen puuttumisesta huolimatta Fanskyn turvallisuusprofiili vaikutti olevan hyväksyttävä. Virasto totesi kuitenkin, että yritys ei ollut osoittanut vakuuttavasti, että Fanskyn hyöty olisi sen riskejä suurempi. Tämä johtui pääasiassa siitä, että lääkkeen kliinistä hyötyä ei ollut osoitettu selkeästi. Peruuttamisen ajankohtana virasto ei kyennyt tekemään luotettavia päätelmiä siitä, voisiko Fanskya ehkäistä luuytimen vajaatoimintaa myöhemmällä iällä, koska päätutkimukseen liittyi epävarmuustekijöitä, kuten vertailuvalmisteen puuttuminen ja osallistujien nuori ikä. Virastolla oli epäilyksiä myös ehdotettujen toimenpiteiden toteutettavuudesta ehdollisen myyntiluvan kriteerit kattavien tietojen keräämiseksi markkinoille saattamisen jälkeen.

Siksi virasto katsoi hakemuksen peruuttamisen ajankohtana, ettei yhtiö ollut ratkaissut huolenaiheita kattavasti eikä Fanskyaan hyötyä voitu osoittaa.

Mistä syistä yhtiö peruutti hakemuksen?

[Kirjeessään](#), jossa yhtiö ilmoittaa virastolle hakemuksen peruuttamisesta, se toteaa, että hakemus peruutettiin yksinomaan liiketoiminnallisista syistä ja että se odotti voivansa ratkaista viraston esiin tuomat huolenaiheet tyydyttävästi.

Mitä seurauksia tämän hakemuksen peruuttamisesta on kliinisiin tutkimuksiin osallistuvilla potilaille?

Yhtiö ilmoitti virastolle, että peruuttamisesta ei ole seurauksia potilaille, jotka osallistuvat Fanskyaan lääkevalmistetta koskeviin kliinisiin tutkimuksiin.

Jos olet tai lapsesi on kliinisessä lääketutkimuksessa ja tarvitset lisätietoa omasta tai lapsesi hoidosta, ota yhteyttä kliinisen lääketutkimuksen lääkäriin.