



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Retrait de la demande d'autorisation de mise sur le marché pour Fanskya (mozafancogène autotemcel)

Rocket Pharmaceuticals B.V. a retiré sa demande d'autorisation de mise sur le marché pour Fanskya, destiné au traitement de l'anémie de Fanconi de type A, une maladie héréditaire qui touche la moelle osseuse (tissu spongieux à l'intérieur des gros os où les cellules sanguines sont fabriquées).

La société a retiré sa demande le 11 août 2025.

Qu'est-ce que Fanskya et dans quel cas devait-il être utilisé?

Fanskya a été mis au point en tant que médicament destiné à être utilisé chez les enfants âgés de 1 à 18 ans pour le traitement de l'anémie de Fanconi de type A.

Dans le cas de l'anémie de Fanconi de type A, la moelle osseuse perd progressivement sa capacité à produire suffisamment de cellules sanguines saines, ce qui entraîne des troubles sanguins tels que l'anémie (faibles taux de globules rouges) et un risque accru d'infections et de saignements. Les personnes atteintes de cette maladie présentent également un risque plus élevé de développer certains types de cancer, tels que la leucémie (cancer des globules blancs), et peuvent souffrir de problèmes affectant des organes tels que les reins et le cœur. Il existe plusieurs sous-types différents d'anémie de Fanconi; le type A est la forme la plus courante et résulte de mutations (modifications) du gène *FANCA*.

Fanskya contient la substance active mozafancogène autotemcel et devait être administré en une seule perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine.

Fanskya a été désigné comme étant un «médicament orphelin» (médicament utilisé pour des maladies rares) le 17 décembre 2010, pour le traitement de l'anémie de Fanconi de type A. Des informations complémentaires sur la désignation de médicament orphelin sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous: 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



Comment Fanskya agit-il?

L'anémie de Fanconi de type A est causée par des mutations du gène *FANCA*, qui fournit des instructions pour la fabrication d'une protéine qui contribue à la réparation de l'ADN endommagé, en particulier dans les cellules qui se divisent souvent, comme celles de la moelle osseuse.

La substance active de Fanskya, le mozafancogène autotemcel, devait être produite à l'aide des propres cellules souches sanguines du patient (cellules qui peuvent se développer en différents types de cellules sanguines). Celles-ci auraient ensuite été modifiées en laboratoire à l'aide d'un virus. Le virus devait être modifié de sorte qu'il ne puisse pas se propager dans le corps, mais qu'il puisse transmettre une copie saine du gène *FANCA* dans les cellules souches sanguines, leur permettant ainsi de réparer l'ADN endommagé. Les cellules souches sanguines modifiées devaient être réadministrées au patient par perfusion et devaient se répandre dans la moelle osseuse afin de produire des cellules sanguines saines.

Quelle a été la documentation présentée par la société pour justifier sa demande?

La société a présenté des données issues de trois études portant sur 14 enfants âgés de 1 à 7 ans atteints d'anémie de Fanconi de type A. Ces études n'ont pas comparé Fanskya à un autre médicament ou à un placebo (un traitement fictif). Le principal critère d'évaluation de l'efficacité portait sur l'examen de trois résultats différents: le rétablissement d'une production de cellules sanguines saines dans la moelle osseuse, la correction des anomalies génétiques dans les cellules sanguines en circulation et l'obtention de taux normaux des différentes cellules sanguines après l'administration de Fanskya.

À quel stade en était l'évaluation lors du retrait de la demande?

La demande a été retirée après que l'Agence européenne des médicaments eut évalué les informations fournies par la société et préparé des questions à son intention. Au moment du retrait de la demande, la société n'avait pas encore répondu à la dernière série de questions.

Quelle était la recommandation de l'Agence à ce stade?

Sur la base de l'examen des données, au moment du retrait, l'Agence avait des réserves et estimait à ce stade que Fanskya n'aurait pas pu être autorisé pour le traitement de l'anémie de Fanconi de type A.

L'Agence était préoccupée par la sécurité potentielle du médicament, étant donné que les résultats montrant combien de copies du gène *FANCA* entrent dans des cellules souches ne sont disponibles qu'après le traitement. Ce point est important car l'introduction d'un nombre élevé de copies de gènes dans les cellules souches peut avoir une incidence sur leur fonctionnement. Étant donné que le risque possible que le gène modifie le fonctionnement normal des cellules n'a pas pu être pleinement évalué avant que le médicament n'ait été administré au patient, l'Agence a demandé une évaluation complète des risques.

Bien que la société ait effectué plusieurs tests pour évaluer la qualité de Fanskya avant qu'il ne soit administré aux patients, l'Agence avait des réserves quant à la question de savoir si les données disponibles étaient suffisantes pour confirmer que les tests prédisaient de manière fiable la sécurité et l'efficacité du médicament. L'une des principales mesures utilisées pour vérifier la qualité des cellules souches est le pourcentage de cellules portant un marqueur appelé CD34. Toutefois, l'Agence avait des réserves concernant les seuils de cellules souches de Fanskya qui présentaient ce marqueur.

Malgré l'absence de données de sécurité à long terme, Fanskya semblait présenter un profil de sécurité acceptable. Toutefois, l'Agence a conclu que la société n'avait pas démontré de manière convaincante que les bénéfices de Fanskya étaient supérieurs à ses risques. Cette conclusion résulte principalement du fait que le bénéfice clinique du médicament n'avait pas été clairement établi. Les incertitudes liées à l'étude principale, telles que l'absence de comparateur et le jeune âge des participants, ont empêché l'Agence de tirer des conclusions solides au moment du retrait quant à la capacité de Fanskya à prévenir une insuffisance médullaire à un âge plus avancé. L'Agence avait également des réserves quant à la faisabilité des mesures proposées pour collecter des données post-commercialisation complètes afin de satisfaire aux critères d'une autorisation de mise sur le marché conditionnelle.

Par conséquent, au moment du retrait, l'avis de l'Agence était que la société n'avait pas apporté des éléments suffisants pour lever ses réserves et que le bénéfice de Fanskya ne pouvait pas être établi.

Quels ont été les motifs invoqués par la société pour le retrait de la demande?

Dans sa [lettre](#) notifiant à l'Agence le retrait de la demande, la société a indiqué que, bien qu'elle comptait répondre de manière satisfaisante aux préoccupations soulevées par l'Agence, la demande a été retirée uniquement pour des raisons commerciales.

Quelles sont les conséquences du retrait pour les patients participant aux essais cliniques?

La société a informé l'Agence qu'il n'y a aucune conséquence pour les patients actuellement inclus dans des essais cliniques utilisant Fanskya.

Si vous ou votre enfant participez à un essai clinique et si vous souhaitez obtenir des informations complémentaires sur votre traitement ou celui de votre enfant, contactez le médecin qui dirige l'essai clinique.