



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Povlačenje zahtjeva za odobrenje za stavljanje u promet lijeka Fanskya (mozafankogen autotemcel)

Tvrtka Rocket Pharmaceuticals B.V. povukla je svoj zahtjev za odobrenje za stavljanje u promet lijeka Fanskya za liječenje Fanconijeve anemije tipa A, nasljednog stanja koje utječe na koštanu srž, spužvasto tkivo u velikim kostima u kojima se proizvode krvne stanice.

Tvrtka je povukla zahtjev 11. kolovoza 2025.

Što je Fanskya i za što se trebao koristiti?

Fanskya je razvijen kao lijek za primjenu u djece u dobi od 1 do 18 godina u liječenju Fanconijeve anemije tipa A.

Kod Fanconijeve anemije tipa A koštana srž postupno gubi sposobnost proizvodnje dovoljno zdravih krvnih stanica, što dovodi do poremećaja krvi kao što je anemija (niska razina crvenih krvnih stanica) i povećanog rizika od infekcija i krvarenja. Osobe s tim poremećajem također imaju veći rizik od razvoja određenih vrsta raka, kao što je leukemija (rak bijelih krvnih stanica), te mogu razviti probleme s organima kao što su bubrezi i srce. Postoji nekoliko različitih podtipova Fanconijeve anemije. Tip A je najčešći, uzrokovan mutacijama (promjenama) u genu *FANCA*.

Fanskya sadrži djelatnu tvar mozafankogen autotemcel i trebala se primjenjivati kao jedna infuzija (ukapavanje) u venu.

Lijek Fanskya uvršten je na popis lijekova za rijetke bolesti 17. prosinca 2010. za Fanconijevu anemiju tipa A. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na mrežnom mjestu Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822.

Kako djeluje Fanskya?

Fanconijeva anemija tipa A uzrokovana je mutacijama u genu *FANCA*, koji daje upute za proizvodnju bjelančevine koja pomaže popraviti oštećeni DNK, posebno u stanicama koje se često dijele, kao što su one u koštanoj srži.

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



© European Medicines Agency, 2025. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Djelatna tvar lijeka Fanskya, mozafankogen autotemcel, trebala se pripremiti s pomoću vlastitih krvnih matičnih stanica bolesnika (stanice koje se mogu razviti u različite vrste krvnih stanica). Ti bi se lijekovi zatim modificirali u laboratoriju s pomoću virusa. Virus se mijenja tako da se ne može širiti u tijelu, ali može dostaviti zdravu kopiju gena *FANCA* u krvne matične stanice, što im omogućuje popravak oštećenog DNK-a. Modificirane matične krvne stanice trebalo je zatim dati natrag bolesniku putem infuzije i očekivalo se da će putovati u koštanu srž i proizvoditi zdrave krvne stanice.

Što je tvrtka dostavila u prilog svom zahtjevu?

Tvrtka je dostavila podatke iz triju ispitivanja u kojima je sudjelovalo 14-ero djece u dobi od jedne do sedam godina s Fanconijevom anemijom tipa A. U ispitivanjima lijek Fanskya nije uspoređen s drugim lijekom ni s placebom (prividnim liječenjem). Glavno mjerilo djelotvornosti uključivalo je tri različita ishoda: obnovu proizvodnje zdravih krvnih stanica u koštanoj srži, korekciju genetskih abnormalnosti u cirkulirajućim krvnim stanicama i postizanje normalnih razina različitih krvnih stanica nakon primjene lijeka Fanskya.

U kojoj je fazi bila procjena zahtjeva kada je povučen?

Zahtjev je povučen nakon što je Europska agencija za lijekove procijenila informacije koje je tvrtka dostavila i sastavila pitanja za tvrtku. U trenutku povlačenja tvrtka još nije bila dostavila svoje odgovore na posljednji niz pitanja.

Koja je bila preporuka Agencije u tom trenutku?

Na temelju pregleda podataka u trenutku povlačenja Agencija je smatrala da postoje razlozi za zabrinutost te je njezino privremeno mišljenje bilo da nije moguće izdati odobrenje za lijek Fanskya za liječenje Fanconijeve anemije tipa A.

Agencija je izrazila zabrinutost u pogledu potencijalne sigurnosti lijeka jer su rezultati koji pokazuju koliko kopija gena *FANCA* ulazi u matične stanice dostupni samo nakon liječenja. To je važno jer uvođenje velikog broja kopija gena u matične stanice može utjecati na njihovo funkcioniranje. Budući da se mogući rizik od promjene normalnog funkcioniranja stanica nije mogao u potpunosti procijeniti prije nego što se lijek primijeni na bolesniku, Agencija je zatražila sveobuhvatnu procjenu rizika.

Iako je tvrtka provela nekoliko ispitivanja kako bi procijenila kvalitetu lijeka Fanskya prije nego što je dan bolesnicima, Agencija je izrazila zabrinutost u pogledu toga jesu li dostupni podatci dostatni za potvrdu da su ispitivanja pouzdano predviđala sigurnost i djelotvornost lijeka. Jedna od ključnih mjera koje se upotrebljavaju za provjeru kvalitete matičnih stanica jest postotak stanica koje nose marker naziva CD34. Međutim, Agencija je smatrala da postoje razlozi za zabrinutost u pogledu pragova matičnih stanica u lijeku Fanskya koji su imali taj marker.

Unatoč nedostatku dugoročnih sigurnosnih podataka, čini se da Fanskya ima prihvatljiv sigurnosni profil. Međutim, Agencija je zaključila da tvrtka nije uvjerljivo dokazala da koristi od lijeka Fanskya nadmašuju s njim povezane rizike. To je uglavnom zato što klinička korist od lijeka nije jasno utvrđena. Nesigurnosti u glavnom ispitivanju, kao što su nedostatak usporednog lijeka i mlada dob sudionika, spriječile su Agenciju da u trenutku povlačenja donese pouzdane zaključke o tome je li lijek Fanskya u kasnijoj dobi mogao spriječiti zatajenje koštane srži. Agencija je izrazila zabrinutost i u pogledu izvedivosti predloženih mjera za prikupljanje sveobuhvatnih podataka nakon stavljanja lijeka u promet kako bi se ispunili kriteriji za uvjetno odobrenje za njegovo stavljanje u promet.

U skladu s navedenim, Agencija je u vrijeme povlačenja smatrala da tvrtka nije u cijelosti odgovorila na njezina pitanja te da koristi od lijeka Fanskya nije moguće potvrditi.

Koje je razloge za povlačenje zahtjeva navela tvrtka?

U svojem [dopisu](#) kojim obavještava Agenciju o povlačenju zahtjeva, tvrtka je navela da je zahtjev povučen isključivo iz poslovnih razloga, iako je smatrala da može na zadovoljavajući način otkloniti razloge za zabrinutost koje je iznijela Agencija.

Ima li ovo povlačenje zahtjeva posljedice za bolesnike u kliničkim ispitivanjima?

Tvrtka je obavijestila Agenciju da nema posljedica za bolesnike u kliničkim ispitivanjima u kojima se koristi lijek Fanskya.

Ako vi ili vaše dijete sudjelujete u kliničkom ispitivanju te vam je potrebno više informacija o vašem liječenju ili liječenju vašeg djeteta, obratite se liječniku koji vodi vaše kliničko ispitivanje.