



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

A Fanskya-ra (mozafankogen autotemcel) vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelem visszavonása

A Rocket Pharmaceuticals B.V. visszavonta a nagy csontokban található szivacsos szövetet, a vörsejteket termelő csontvelőt érintő örökletes betegség, az A típusú Fanconi-anémia kezelésére szánt Fanskya-ra vonatkozó forgalombahozatali engedély iránti kérelmét.

A vállalat 2025. augusztus 11-én vonta vissza a kérelmet.

Milyen típusú gyógyszer a Fanskya és milyen alkalmazásra szánták?

A Fanskya-t 1 és 18 év közötti gyermekeknél az A típusú Fanconi-anémia kezelésére szolgáló gyógyszerként fejlesztették ki.

Az A típusú Fanconi-anémia esetén a csontvelő fokozatosan elveszti azt a képességét, hogy elegendő egészséges vörsejtet termeljen, ami vérproblémákhoz, például vérszegénységhez (alacsony vörösvértestszámhoz), valamint a fertőzések és a vérzés fokozott kockázatához vezet. A betegségben szenvedő betegeknél nagyobb a kockázata bizonyos daganattípusok, például a leukémia (a fehérvörsejtek rákja) kialakulásának is, és különböző szerveket, például a vesét és a szívet érintő problémákat tapasztalhatnak. A Fanconi-anémiának több különböző altípusa van; az A típus a leggyakoribb és a *FANCA* gén mutációi (változásai) okozzák.

A Fanskya hatóanyaga a mozafankogen autotemcel, és vénába adott, egyszeri infúzióként alkalmazták volna.

A Fanskya-t 2010. december 17-én az A típusú Fanconi-anémia tekintetében „ritka betegség elleni gyógyszerre” minősítették. A ritka betegség elleni gyógyszerre minősítésről további információ az Ügynökség weboldalán található: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822.

Hogyan fejti ki hatását a Fanskya?

Az A típusú Fanconi-anémiát a *FANCA* gén mutációi okozzák – ez a gén útmutatást ad egy olyan fehérje előállításához, amely segíti a károsodott DNS kijavítását, különösen a gyakran osztódó sejtekben, például a csontvelőben.

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



A Fanskya hatóanyagát, a mozafankogen autotemcelt a beteg saját vérképző őssejtjeiből tervezték előállítani (ezek olyan sejtek, amelyek különböző típusú vörsejtekké képesek fejlődni). Ezeket később egy laboratóriumban, egy vírus felhasználásával módosították volna. A vírust úgy módosították, hogy ne tudjon a szervezetben terjedni, de képes a *FANCA* gén egészséges másolatát bejuttatni a vér őssejtjeibe, lehetővé téve, hogy a károsodott DNS-t kijavítsák. A módosított vérképző őssejteket infúzióban juttatták volna vissza a beteg testébe, és a várakozások szerint a csontvelőbe kerültek volna, és egészséges vörsejteket állítottak volna elő.

Milyen dokumentációt nyújtott be a vállalat a kérelem alátámasztására?

A vállalat 3 vizsgálatból származó adatokat nyújtott be, amelyekben 14, 1 és 7 év közötti, A típusú Fanconi-anémiás gyermek vett részt. A vizsgálatokban a Fanskya-t nem hasonlították össze más gyógyszerrel vagy placebóval (hatóanyag nélküli kezeléssel). A hatásosság fő mutatója az alábbi három különböző kimenetelből állt: az egészséges vörsejttermelés helyreállása a csontvelőben, a genetikai rendellenességek kijavítása a keringő vörsejtekben, valamint a különböző vörsejtek normális szintjének elérése a Fanskya beadása után.

A visszavonás előtt meddig jutott el a kérelem az elbírálási folyamatban?

A kérelmet azt követően vonták vissza, hogy az Európai Gyógyszerügynökség már értékelte a vállalat által benyújtott dokumentációt, és kidolgozott egy kérdéslistát. A vállalat a visszavonás időpontjában még nem válaszolt az utolsó kérdéssorra.

Mit tartalmazott az Ügynökség ajánlása az adott időpontban?

A visszavonás időpontjában az adatok áttekintése alapján az Ügynökség részéről néhány aggály merült fel, és az volt az ideiglenes véleménye, hogy a Fanskya alkalmazása nem engedélyezhető az A típusú Fanconi-anémia kezelésére.

Az Ügynökségnek aggályai voltak a gyógyszer lehetséges biztonságosságával kapcsolatban, mivel csak a kezelés után állnak rendelkezésre eredmények arról, hogy a *FANCA* génnek hány kópiája jut be az őssejtekbe. Ez azért fontos, mert ha nagyszámú génkópiát juttatnak be az őssejtekbe, ez befolyásolhatja a működésüket. Mivel a gyógyszer betegnek történő beadása előtt nem lehetett teljeskörűen értékelni annak lehetséges kockázatát, hogy a gén megváltoztatja a sejtek normál működését, az Ügynökség átfogó kockázatértékelést kért.

Bár a vállalat számos tesztet végzett a Fanskya minőségének értékelésére a betegeknek történő beadása előtt, az Ügynökségnek aggályai voltak azzal kapcsolatban, hogy elegendőek-e a rendelkezésre álló adatok annak megerősítéséhez, hogy a tesztek megbízhatóan jelezték előre a gyógyszer biztonságosságát és hatásosságát. Az őssejtek minőségének ellenőrzésére szolgáló egyik legfontosabb mutató a CD34-nek nevezett markert hordozó sejtek százalékos aránya. Az Ügynökségnek azonban aggályai voltak a Fanskya-ban található, ezzel a markerrel rendelkező őssejtek küszöbértékeivel kapcsolatban.

A hosszú távú biztonságossági adatok hiánya ellenére úgy tűnt, hogy a Fanskya elfogadható biztonságossági profillal rendelkezik. Az Ügynökség azonban arra a következtetésre jutott, hogy a vállalat nem igazolta meggyőzően, hogy a Fanskya alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat. Ennek oka elsősorban az volt, hogy a gyógyszer klinikai előnyét nem állapították meg egyértelműen. A fő vizsgálat bizonytalanságai – mint például az összehasonlító készítmény hiánya és a résztvevők fiatal életkora – miatt az Ügynökség a visszavonás időpontjában nem tudott határozott következtetésekre jutni arról, hogy a Fanskya megelőzhetné-e volna a csontvelő a későbbi életkorban

jelentkező elégtelenségét. Az Ügynökségnek aggályai voltak azzal kapcsolatban is, hogy megvalósíthatók-e a forgalomba hozatal utáni átfogó adatgyűjtésre javasolt intézkedések a feltételes forgalombahozatali engedély kritériumainak teljesítéséhez.

Ezért a visszavonás időpontjában az Ügynökség véleménye az volt, hogy a vállalat nem kezelte teljes mértékben az aggályait, és a Fanskya előnye nem igazolódott.

Mivel indokolta a vállalat a kérelem visszavonását?

Az Ügynökséget a kérelem visszavonásáról értesítő [levelében](#) a vállalat úgy nyilatkozott, hogy annak ellenére, hogy az Ügynökség által felvetett aggályok kielégítő kezelését tervezte, a kérelmet kizárólag üzleti okokból vonta vissza.

Milyen következményekkel jár a visszavonás azokra a betegekre nézve, akik részt vesznek klinikai vizsgálatokban?

A vállalat tájékoztatta az Ügynökséget, hogy a visszavonásnak a Fanskya-val végzett klinikai vizsgálatokban jelenleg részt vevő betegekre nézve nincsenek következményei.

Ha Ön vagy gyermeke klinikai vizsgálatban vesz részt, és az Ön vagy gyermeke kezelését illetően további információra van szüksége, vegye fel a kapcsolatot a klinikai vizsgálatban közreműködő kezelőorvosával.