



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Ritiro della domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Fanskya (mozafancogene autotemcel)

Rocket Pharmaceuticals B.V. ha ritirato la domanda di autorizzazione all'immissione in commercio per Fanskya per il trattamento dell'anemia di Fanconi di tipo A, una patologia ereditaria che colpisce il midollo osseo, il tessuto spugnoso all'interno delle grandi ossa in cui vengono fabbricate le cellule del sangue.

La ditta ha ritirato la domanda l'11 agosto 2025.

Che cos'è Fanskya e per che cosa avrebbe dovuto essere usato?

Fanskya è stato sviluppato come medicinale da utilizzare nei bambini di età compresa tra 1 e 18 anni per il trattamento dell'anemia di Fanconi di tipo A.

Nell'anemia di Fanconi di tipo A, il midollo osseo perde gradualmente la sua capacità di produrre un numero sufficiente di cellule del sangue sane, con conseguenti disturbi del sangue come l'anemia (bassi livelli di globuli rossi) e un aumento del rischio di infezioni e sanguinamento. Le persone affette da tale patologia presentano inoltre un rischio più elevato di sviluppare determinati tipi di cancro, come la leucemia (tumore dei globuli bianchi) e possono avere problemi a carico di organi quali i reni e il cuore. Esistono diversi sottotipi di anemia di Fanconi; il tipo A è il più comune ed è causato da mutazioni (alterazioni) del gene *FANCA*.

Fanskya contiene il principio attivo mozafancogene autotemcel e avrebbe dovuto essere somministrato come singola infusione (flebo) in vena.

Fanskya è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 17 dicembre 2010 per l'anemia di Fanconi di tipo A. Ulteriori informazioni sulla designazione di medicinale orfano sono disponibili sul sito web dell'Agenzia: 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



Come agisce Fanskya?

L'anemia di Fanconi di tipo A è causata da mutazioni del gene *FANCA*, che fornisce istruzioni per la produzione di una proteina che aiuta a riparare il DNA danneggiato, in particolare nelle cellule che si dividono spesso, come quelle del midollo osseo.

Il principio attivo di Fanskya, mozafancogene autotemcel, doveva essere preparato utilizzando le cellule staminali del sangue (cellule che possono svilupparsi in diversi tipi di cellule del sangue) del paziente stesso. Tali cellule dovevano essere successivamente modificate in laboratorio utilizzando un virus. Il virus è alterato in modo da non diffondersi nell'organismo, ma può rilasciare una copia sana del gene *FANCA* nelle cellule staminali del sangue, consentendo loro di riparare il DNA danneggiato. Le cellule staminali del sangue modificate dovevano essere risomministrate al paziente tramite un'infusione e si prevedeva che arrivassero nel midollo osseo e producessero cellule del sangue sane.

Quale documentazione ha presentato la ditta a sostegno della domanda?

La ditta ha presentato i dati di 3 studi condotti su 14 bambini di età compresa tra 1 e 7 anni affetti da anemia di Fanconi di tipo A. Gli studi non hanno confrontato Fanskya con un altro medicinale o placebo (un trattamento fittizio). La principale misura di efficacia comprendeva tre esiti diversi: il ripristino della produzione di cellule del sangue sane nel midollo osseo, la correzione di anomalie genetiche nelle cellule del sangue circolanti e il raggiungimento di livelli normali di diverse cellule del sangue dopo la somministrazione di Fanskya.

A che punto della valutazione si trovava la domanda quando è stata ritirata?

La domanda è stata ritirata dopo che l'Agenzia europea per i medicinali aveva valutato le informazioni fornite dalla ditta e aveva preparato delle domande da sottoporle. Al momento del ritiro la ditta non aveva risposto all'ultima serie di domande.

Qual era la raccomandazione dell'Agenzia a quel punto?

In base all'esame dei dati, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia aveva avuto alcuni dubbi ed era provvisoriamente del parere che Fanskya non potesse essere autorizzato per il trattamento dell'anemia di Fanconi di tipo A.

L'Agenzia aveva espresso preoccupazioni circa la potenziale sicurezza del medicinale, in quanto i risultati che mostrano quante copie del gene *FANCA* entrano nelle cellule staminali sono disponibili solo dopo il trattamento. Ciò è importante perché l'introduzione di un elevato numero di copie geniche nelle cellule staminali può incidere sul loro funzionamento. Poiché non è stato possibile valutare appieno il possibile rischio che il gene modificasse il normale funzionamento delle cellule prima che il medicinale fosse somministrato ai pazienti, l'Agenzia ha richiesto una valutazione completa del rischio.

Sebbene la ditta abbia effettuato diversi test per valutare la qualità di Fanskya prima della somministrazione ai pazienti, l'Agenzia nutriva dubbi sul fatto che i dati disponibili fossero sufficienti a confermare che i test avessero previsto in modo affidabile la sicurezza e l'efficacia del medicinale. Una delle misure chiave utilizzate per controllare la qualità delle cellule staminali è la percentuale di cellule che recano un marcatore denominato CD34. Tuttavia, l'Agenzia nutriva preoccupazioni in merito alle soglie di cellule staminali contenute in Fanskya che presentavano questo marcatore.

Nonostante la mancanza di dati sulla sicurezza a lungo termine, Fanskya sembrava avere un profilo di sicurezza accettabile. L'Agenzia ha tuttavia concluso che la ditta non aveva dimostrato in modo

convincente che i benefici di Fanskya fossero superiori ai suoi rischi. Ciò è dovuto principalmente al fatto che il beneficio clinico del medicinale non era stato chiaramente stabilito. Incertezze nello studio principale, come la mancanza di un comparatore e la giovane età dei partecipanti, hanno impedito all'Agenzia di giungere a conclusioni solide al momento del ritiro della domanda in merito alla possibilità che Fanskya potesse prevenire l'insufficienza del midollo osseo in età successiva. L'Agenzia ha inoltre espresso preoccupazioni in merito alla fattibilità delle misure proposte per raccogliere dati completi successivi all'immissione in commercio al fine di soddisfare i criteri per un'autorizzazione all'immissione in commercio subordinata a condizioni.

Pertanto, al momento del ritiro della domanda, l'Agenzia riteneva che la ditta non avesse adeguatamente risposto ai suoi dubbi e che il beneficio di Fanskya non fosse stato dimostrato.

Quali sono i motivi invocati dalla ditta per il ritiro della domanda?

Nella [lettera](#) con cui notifica all'Agenzia il ritiro della domanda, la ditta ha dichiarato che, sebbene prevedesse di rispondere in modo soddisfacente alle preoccupazioni sollevate dall'Agenzia, la domanda è stata ritirata unicamente per motivi commerciali.

Quali sono le conseguenze del ritiro per i pazienti inseriti in studi clinici?

La ditta ha informato l'Agenzia che non vi sono conseguenze per i pazienti inseriti in studi clinici con Fanskya.

Le persone inserite in uno studio clinico che abbiano bisogno di maggiori informazioni sul trattamento possono consultare il medico dello studio clinico.