



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025 m. rugpjūčio 22 d.
EMA/270385/2025
EMA/H/C/005537

Paraiškos gauti Fanskya (mozafankogeno autotemcelio) registracijos pažymėjimą atsiėmimas

Bendrovė „Rocket Pharmaceuticals B.V.“ atsiėmė savo paraišką gauti Fanskya, skirtą A tipo Fanconi anemijai (paveldimai ligai, kuri veikia kaulų čiulpus, t. y. kaulų audinį, iš kurio gaminami kraujo kūneliai) gydyti, registracijos pažymėjimą.

Bendrovė paraišką atsiėmė 2025 m. rugpjūčio 11 d.

Kas yra Fanskya ir kokiais atvejais ji buvo numatyta vartoti?

Fanskya buvo sukurtas kaip vaistas, skirtas vartoti vaikams nuo 1 iki 18 metų gydant A tipo Fanconi anemiją.

Sergant A tipo Fanconi anemija, kaulų čiulpai palaipsniui netenka gebėjimo gaminti pakankamai sveikų kraujo ląstelių, dėl to pasireiškia tokie kraujo sutrikimai, kaip mažakraujystė (sumažėjęs raudonųjų kraujo ląstelių kiekis) ir padidėjusi infekcijų ir kraujavimo rizika. Šia liga sergantiems žmonėms taip pat kyla didesnė tam tikrų rūšių vėžio, pvz., leukemijos (baltųjų kraujo ląstelių vėžio), rizika ir jie gali patirti organų, pvz., inkstų ir širdies, sutrikimų. Fanconi anemija apima kelis skirtingus potipius; A tipas yra dažniausias ir jį sukelia *FANCA* geno mutacijos (pokyčiai).

Fanskya sudėtyje yra veikliosios medžiagos mozafankogeno autotemcelio, ir jį buvo numatyta vartoti atliekant vieną infuziją (sulašinant) į veną.

2010 m. gruodžio 17 d. Fanskya priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai pagal A tipo Fanconi anemijos gydymo indikaciją. Daugiau informacijos apie šių vaistų priskyrimą retųjų vaistų kategorijai rasite agentūros interneto svetainėje adresu: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822.

Kaip veikia Fanskya?

A tipo Fanconi anemiją sukelia *FANCA* geno, kuris nurodo, kaip gaminti baltymą, padedantį atkurti pažeistą DNR, ypač tose ląstelėse, kurios dažnai dalijasi, pvz., kaulų čiulpuose, mutacijos.



Fanskya veiklioji medžiaga mozafankogeno autotemcelis turėjo būti ruošiamas naudojant paties paciento kraujo kamienines ląsteles (ląsteles, galinčias gaminti įvairių rūšių kraujo ląsteles). Vėliau jos būtų modifikuojamos virusą naudojančioje laboratorijoje. Virusas pakeistas taip, kad neplistų organizme, bet gali pernešti sveiką *FANCA* geno kopiją į kraujo kamienines ląsteles, kad jos galėtų atkurti pažeistą DNR. Modifikuotas kraujo kamienines ląsteles buvo numatyta suleisti pacientui infuzijos būdu ir buvo tikimasi, kad jos nukeliaus į kaulų čiulpus ir gamins sveikas kraujo ląsteles.

Kokius dokumentus bendrovė pateikė kartu su paraiška?

Bendrovė pateikė 3 tyrimų, kuriuose dalyvavo 14 1–7 metų amžiaus vaikų, kuriems buvo diagnozuota A tipo Fanconi anemija, duomenis. Šiuose tyrimuose Fanskya nebuvo lyginamas su kitu vaistu ar placebo (preparatu be veikliosios medžiagos). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo trys skirtingi rezultatai: sveikos kraujo ląstelių gamybos kaulų čiulpuose atkūrimas, genetinių anomalijų cirkuliuojančiose kraujo ląstelėse ištaisymas ir normalios skirtingų kraujo ląstelių koncentracijos pasiekimas po Fanskya vartojimo.

Kuriuo paraiškos nagrinėjimo etapu paraiška atsiimta?

Paraiška atsiimta, kai Europos vaistų agentūra jau buvo įvertinusi bendrovės pateiktą informaciją ir parengusi bendrovei skirtus klausimus. Paraiškos atsiėmimo metu bendrovė dar nebuvo atsakiusi į paskutinį kartą pateiktus klausimus.

Kokia tuo metu buvo Agentūros rekomendacija?

Remdamasi peržiūrėtais duomenimis, paraiškos atsiėmimo metu Agentūra dar turėjo abejonių ir buvo priėmusi negalutinę nuomonę, kad Fanskya negali būti registruotas A tipo Fanconi anemijos gydymui.

Agentūrai susirūpinimą kėlė galimas vaisto saugumas, nes rezultatai, rodantys, kiek *FANCA* geno kopijų patenka į kamienines ląsteles, gaunami tik po gydymo. Tai svarbu, nes didelio skaičiaus genų kopijų įvedimas į kamienines ląsteles gali turėti įtakos jų veikimui. Kadangi nebuvo galima visapusiškai įvertinti galimos geno keliamos įprasto ląstelių veikimo sutrikimo rizikos prieš suleidžiant vaistą pacientui, agentūra paprašė atlikti išsamų rizikos vertinimą.

Nors bendrovė, prieš suleidžiant Fanskya pacientams, atliko keletą tyrimų Fanskya kokybei įvertinti, Agentūrai iškilo abejonių dėl to, ar turimų duomenų pakanka, kad būtų galima patvirtinti patikimą šių tyrimų metu gautą informaciją apie vaisto saugumą ir veiksmingumą. Vienas iš pagrindinių kamieninių ląstelių kokybę patvirtinančių duomenų – tai ląstelių, kurios paženklintos žymeniu CD34, procentinė dalis. Tačiau Agentūrai iškilo abejonių dėl šį žymenį turinčių Fanskya kamieninių ląstelių slenkstinių ribų.

Nepaisant to, kad trūksta ilgalaikių saugos duomenų, paaiškėjo, kad Fanskya saugumo charakteristikos yra priimtinos. Tačiau Agentūra padarė išvadą, kad bendrovė įtikinamai neįrodė, kad Fanskya nauda yra didesnė už jo keliamą riziką. Taip nuspręsta daugiausia dėl to, kad nebuvo aiškiai įrodyta šio vaisto klinikinė nauda. Pagrindinio tyrimo neapibrėžtumai, pavyzdžiui, lyginamojo vaisto trūkumas ir dalyvių jaunas amžius, trukdė Agentūrai paraiškos atsiėmimo metu padaryti tvirtas išvadas dėl to, ar Fanskya būtų galėjęs užkirsti kelią kaulų čiulpų nepakankamumui vėlesniame amžiuje. Agentūra taip pat turėjo abejonių dėl pasiūlytų priemonių, kuriomis numatyta rinkti išsamius poregistracinius duomenis, kad būtų galima įvykdyti sąlyginės registracijos kriterijus, įgyvendinamumo.

Todėl paraiškos atsiėmimo metu Agentūra laikėsi nuomonės, kad bendrovė neišsprendė visų nerimą kėlusius klausimus ir kad Fanskya nauda neįrodyta.

Kokias paraiškos atsiėmimo priežastis nurodė bendrovė?

[Laiške](#), kuriuo Agentūrai pranešta apie paraiškos atsiėmimą, bendrovė nurodė, kad, nors ji tikėjosi tinkamai išspręsti Agentūros iškeltus susirūpinimą keliančius klausimus, paraiška atsiimta tik dėl su verslu susijusių priežasčių.

Kokių pasekmių paraiškos atsiėmimas turės pacientams, dalyvaujantiems klinikiniuose tyrimuose?

Bendrovė pranešė Agentūrai, kad šios paraiškos atsiėmimas neturės jokių pasekmių pacientams, dalyvaujantiems Fanskya klinikiniuose tyrimuose.

Jeigu Jūs arba Jūsų vaikas dalyvaujate klinikiniame tyrime ir pageidaujate gauti daugiau informacijos apie Jums arba Jūsų vaikui taikomą gydymą, pasikalbėkite su savo klinikinio tyrimo gydytoju.