



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

2025. gada 22. augusts
EMA/270385/2025
EMA/H/C/005537

Fanskya (mozafankogēna autotemcels) reģistrācijas apliecības pieteikuma atsaukšana

Rocket Pharmaceuticals B.V. atsauc reģistrācijas apliecības pieteikumu zālēm *Fanskya*, kas paredzētas Fankoni A tipa anēmijas ārstēšanai. Šī slimība ir iedzimta slimība, kas skar kaulu smadzenes un sūklveida audus lielajos kaulos, kuros tiek radītas asins šūnas.

Uzņēmums pieteikumu atsauc 2025. gada 11. augustā.

Kas ir *Fanskya*, un kādam nolūkam bija paredzēts tās lietot?

Fanskya tika izstrādāta kā zāles, ko lieto bērniem vecumā no viena līdz 18 gadiem Fankoni A tipa anēmijas ārstēšanai.

Fankoni A tipa anēmijas gadījumā kaulu smadzenes pakāpeniski zaudē spēju radīt pietiekami daudz veselīgu asins šūnu, izraisot asins traucējumus, piemēram, anēmiju (zems sarkano asins šūnu līmenis) un paaugstinātu infekciju un asiņošanas risku. Cilvēkiem ar šo slimību ir arī lielāks risks saslimt ar noteiktiem vēža veidiem, piemēram, leukēmiju (balto asins šūnu vēzi), un viņiem var rasties problēmas, kas skar tādus orgānus kā nieres un sirds. Pastāv vairāki dažādi Fankoni anēmijas apakštipi; A tips ir visbiežāk sastopamais un to izraisa mutācijas (izmaiņas) *FANCA* gēnā.

Fanskya satur aktīvo vielu mozafankogēna autotemcelu, un tās bija paredzēts ievadīt vēnā kā vienu infūziju (pa pilienam).

Fanskya 2010. gada 17. decembrī tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss Fankoni A tipa anēmijas ārstēšanai. Papildu informācija par reti sastopamu slimību statusu ir atrodamā aģentūras tīmekļa vietnē: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822.

Kā *Fanskya* darbojas?

Fankoni A tipa anēmiju izraisa mutācijas *FANCA* gēnā, kas sniedz norādījumus par tāda proteīna sintēzi, kurš palīdz atjaunot bojāto DNS, jo īpaši šūnās, kas bieži dalās, piemēram, kaulu smadzenēs.



Fanskya aktīvā viela mozafankogēna autotemcels bija jāsapatavo, izmantojot paša pacienta asins cilmes šūnas (šūnas, kas var attīstīties par dažādu veidu asins šūnām). Pēc tam tās laboratorijā, izmantojot vīrusu, tiks modificētas. Vīruss tiek pārveidots tā, lai tas nevarētu izplatīties organismā, bet tas var ievadīt veselīgu *FANCA* gēna kopiju asins cilmes šūnās, ļaujot tām salabot bojāto DNS. Pārveidotās asins cilmes šūnas jāievada atpakaļ pacientam infūzijas veidā, un bija paredzēts, ka tās pārvietosies uz kaulu smadzenēm un radīs veselīgas asins šūnas.

Kādus dokumentus uzņēmums iesniedza pieteikuma pamatošanai?

Uzņēmums iesniedza datus no trim pētījumiem, kuros bija iesaistīti 14 bērni vecumā no viena līdz septiņiem gadiem ar Fankoni A tipa anēmiju. Pētījumos *Fanskya* netika salīdzināta ar citām zālēm vai placebo (fiktīvu ārstēšanu). Galvenais efektivitātes rādītājs ietvēra trīs dažādus rezultātus: veselīgas asins šūnu veidošanās atjaunošanu kaulu smadzenēs, ģenētisko anomāliju koriģēšanu asins šūnu cirkulācijā un normāla dažādu asins šūnu līmeņa sasniegšanu pēc *Fanskya* ievadīšanas.

Kurā pieteikuma vērtēšanas posmā pieteikumu atsauc?

Pieteikumu atsauc, kad Eiropas Zāļu aģentūra bija izvērtējusi uzņēmuma iesniegto informāciju un sagatavojusi jautājumus uzņēmumam. Atsaukušanas brīdī uzņēmums nebija sniedzis atbildes uz pēdējā posma jautājumiem.

Kāds tolaik bija aģentūras ieteikums?

Pamatojoties uz izskatītajiem datiem, atsaukušanas brīdī aģentūrai bija daži iebildumi, un aģentūra tobrīd provizoriski atzina, ka *Fanskya* nevarēja apstiprināt Fankoni A tipa anēmijas ārstēšanai.

Aģentūrai bija bažas par šo zāļu iespējamo drošumu, jo rezultāti, kas parāda, cik *FANCA* gēna kopiju nonāk cilmes šūnās, ir pieejami tikai pēc ārstēšanas. Tas ir svarīgi, jo liela skaita gēnu kopiju ievadīšana cilmes šūnās var ietekmēt to darbību. Tā kā pirms zāļu lietošanas pacientam nebija iespējams pilnībā novērtēt iespējamo risku, ka gēns varētu izmainīt šūnu normālu darbību, aģentūra pieprasīja visaptverošu riska novērtējumu.

Lai gan uzņēmums veica vairākus testus, lai novērtētu *Fanskya* kvalitāti pirms zāļu ievadīšanas pacientiem, aģentūrai bija bažas par to, vai pieejamie dati ir pietiekami, lai apstiprinātu, ka šie testi ticami prognozē zāļu drošumu un efektivitāti. Viens no galvenajiem rādītājiem, ko izmanto, lai pārbaudītu cilmes šūnu kvalitāti, ir to šūnu procentuālā daļa, uz kurām ir marķieris CD34. Tomēr aģentūrai bija bažas par cilmes šūnu robežvērtībām *Fanskya*, kam bija šis marķieris.

Neraugoties uz ilgtermiņa drošuma datu trūkumu, *Fanskya* drošuma profils, šķiet, bija pieņemams. Tomēr aģentūra secināja, ka uzņēmums nav pārliecinoši pierādījis, ka *Fanskya* ieguvumi pārsniedz to radīto risku. Tas galvenokārt bija tāpēc, ka nebija skaidri noteikts zāļu klīniskais ieguvums. Neskaidrības galvenajā pētījumā, piemēram, salīdzinājuma trūkums un dalībnieku nelielais vecums, neļāva aģentūrai atsaukušanas brīdī izdarīt pārliecinošus secinājumus par to, vai *Fanskya* varētu novērst kaulu smadzeņu mazspēju vēlākā vecumā. Aģentūrai bija arī bažas par ierosināto pasākumu iespējamību vākt visaptverošus pēcreģistrācijas datus, lai izpildītu kritērijus tirdzniecības atļaujai ar nosacījumiem.

Tāpēc atsaukušanas brīdī aģentūra uzskatīja, ka uzņēmums nav pilnībā novērsis tās bažas un *Fanskya* sniegto ieguvumu nav iespējams pierādīt.

Kā uzņēmums pamatoja pieteikuma atsaukšanu?

Vēstulē, [kurā](#) uzņēmums informēja Aģentūru par pieteikuma atsaukšanu, tas norādīja, ka, lai gan tas cer apmierinoši kļiedēt Aģentūras paustās bažas, pieteikums tika atsaukts tikai ar uzņēmējdarbību saistītu iemeslu dēļ.

Vai šis atsaukums ietekmēs pacientus, kuri piedalās klīniskajos pētījumos?

Uzņēmums informēja aģentūru, ka pacientus, kuri pašlaik piedalās *Fanskya* klīniskajos pētījumos, tas neietekmēs.

Ja jūs vai jūsu bērns piedalās klīniskajā pētījumā un jums ir vajadzīga plašāka informācija par jūsu vai jūsu bērna ārstēšanu, sazinieties ar klīniskā pētījuma ārstu.