



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 ta' Awwissu 2025
EMA/270385/2025
EMA/H/C/005537

Irtirar tal-applikazzjoni għall-awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq ta' Fanskya (mozafancogene autotemcel)

Rocket Pharmaceuticals B.V. irtirat l-applikazzjoni tagħha għal awtorizzazzjoni għat-tqegħid fis-suq ta' Fanskya għat-trattament tal-anemija Fanconi tat-tip A, kundizzjoni ereditarja li taffettwa l-mudullun, it-tessut artab ġewwa l-għadam il-kbir fejn isiru ċ-ċelloli tad-demmm.

Il-kumpanija rtirat l-applikazzjoni fil-11 ta' Awwissu 2025.

X'inhu Fanskya u għal xiex kien mistenni li jintuża?

Fanskya ġie żviluppat bħala medicina li għandha tintuża fi tfal minn sena sa 18-il sena għat-trattament tal-anemija Fanconi tat-tip A.

Fl-anemija Fanconi tat-tip A, il-mudullun gradwalment jitlef il-kapaċità tiegħu li jipproduċi biżżejjed ċelloli tad-demmm b'saħħithom, li jwassal għal disturb tad-demmm bħal anemija (livelli baxxi ta' ċelloli ħomor tad-demmm) u żieda fir-riskju ta' infezzjonijiet u fsada. Il-persuni bil-kundizzjoni għandhom ukoll riskju ogħla li jiżviluppaw ċerti tipi ta' kanċer, bħal-lewkimja (kanċer ta' ċelloli bojod tad-demmm) u jistgħu jesperjenzaw problemi li jaffettwaw organi bħall-kliwi u l-qalb. Hemm diversi sottotipi differenti ta' anemija Fanconi; it-tip A huwa l-aktar komuni u huwa kkawżat minn mutazzjonijiet (bidliet) fil-gene *FANCA*.

Fanskya fih is-sustanza attiva mozafancogene autotemcel u kellu jingħata bħala infużjoni waħda (drupp) fil-vina.

Fanskya ġie kklassifikat bħala "medicina orfni" (medicina li tintuża f'mard rari) fis-17 ta' Diċembru 2010 għall-anemija Fanconi tat-tip A. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tista' tinstab fuq is-sit web tal-Aġenzija: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822.

Kif jaħdem Fanskya?

L-anemija Fanconi tat-tip A hija kkawżata minn mutazzjonijiet fil-gene *FANCA*, li tipprovdi struzzjonijiet biex issir proteina li tgħin biex jissewwa d-DNA danneġġat, b'mod partikolari f'ċelloli li spiss jinqasnu bħal dawk fil-mudullun.

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



Is-sustanza attiva f'Fanskya, il-mozafancogene autotemcel, kellha tithejja bl-użu taċ-ċelloli staminali tad-demm tal-pazjent stess (ċelloli li jistgħu jiżviluppaw f'tipi differenti ta' ċelloli tad-demm). Dawn imbagħad kellhom jiġu modifikati f'laboratorju bl-użu ta' virus. Il-virus jinbidel sabiex ma jkunx jista' jinfirx fil-ġisem, iżda jkun jista' jwassal kopja b'saħħitha tal-ġene *FANCA* fiċ-ċelloli staminali tad-demm, li jippermettilhom isewwu DNA danneġġat. Iċ-ċelloli staminali tad-demm modifikati kellhom jingħataw lura lill-pazjent permezz ta' infużjoni u kienu mistennija li jivvjaġġaw lejn il-mudullun u jagħmlu ċelloli tad-demm f'saħħithom.

X'dokumentazzjoni pprezentat il-kumpanija biex tappoġġja l-applikazzjoni tagħha?

Il-kumpanija pprezentat *data* minn 3 studji li involvew 14-il tifel u tifla minn sena sa seba' snin b'anemija Fanconi tat-tip A. L-istudji ma qabblux lil Fanskya ma' medicina oħra jew placebo (trattament fint). Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien jinkludi tliet eżiti differenti: ir-restawr ta' produzzjoni ta' ċelloli tad-demm b'saħħithom fil-mudullun, il-korrezzjoni ta' anormalitajiet ġenetiċi f'ċelloli tad-demm li jiċċirkolaw u l-kisba ta' livelli normali ta' ċelloli tad-demm differenti wara li jingħata Fanskya.

Sa fejn kienet waslet l-evalwazzjoni tal-applikazzjoni qabel ma din ġiet irtirata?

L-applikazzjoni ġiet irtirata wara li l-Aġenzija Ewropea għall-Medicini kienet evalwat l-informazzjoni mill-kumpanija u hejjiet mistoqsijiet għall-kumpanija. Il-kumpanija ma kinitx wieġbet għall-aħħar rawnd ta' mistoqsijiet fiż-żmien tal-irtirar.

X'kienet ir-rakkomandazzjoni tal-Aġenzija dak iż-żmien?

Fuq il-bażi tar-reviżjoni tad-*data*, fiż-żmien tal-irtirar, l-Aġenzija kellha xi tħassib u l-opinjoni proviżorja tagħha kienet li Fanskya ma setax jiġi awtorizzat għat-trattament tal-anemija Fanconi tat-tip A.

L-Aġenzija kellha tħassib dwar is-sigurtà potenzjali tal-medicina, peress li r-risultati li juru kemm-il kopja tal-ġene *FANCA* jidhlu fiċ-ċelloli staminali jkunu disponibbli biss wara t-trattament. Dan huwa importanti minħabba li l-introduzzjoni ta' għadd kbir ta' kopji tal-ġeni fiċ-ċelloli staminali jista' jkollha impatt fuq kif jiffunzjonaw. Peress li r-riskju possibbli li l-ġene jbidel il-funzjonament normali taċ-ċelloli ma setax jiġi evalwat b'mod sħiħ qabel ma l-medicina nġatat lill-pazjent, l-Aġenzija talbet valutazzjoni tar-riskju komprensiva.

Għalkemm il-kumpanija wettqet diversi testijiet biex tivvaluta l-kwalità ta' Fanskya qabel jingħata lill-pazjenti, l-Aġenzija kellha tħassib dwar jekk id-*data* disponibbli kinitx biżżejjed biex tikkonferma li t-testijiet ipprevedew b'mod affidabbli s-sigurtà u l-effikaċja tal-medicina. Waħda mill-miżuri ewlenin użati biex tiġi vverifikata l-kwalità taċ-ċelloli staminali hija l-percentwal ta' ċelloli li jgħorru markatur imsejjaħ CD34. Madankollu, l-Aġenzija kellha tħassib dwar il-limiti taċ-ċelloli staminali f'Fanskya li kellhom dan il-markatur.

Minkejja n-nuqqas ta' *data* dwar is-sigurtà fit-tul, Fanskya deher li kellu profil ta' sigurtà aċċettabbli. Madankollu, l-Aġenzija kkonkludiet li l-kumpanija ma kinitx uriet b'mod konvinċenti li l-benefiċċji ta' Fanskya huma akbar mir-riskji tiegħu. Dan kien prinċipalment minħabba li l-benefiċċju kliniku tal-medicina ma kienx ġie stabbilit b'mod ċar. L-inċertezzi fl-istudju ewlieni, bħan-nuqqas ta' komparatur u l-età żgħira tal-partecipanti, żammew lill-Aġenzija milli tilhaq konkluzjonijiet robusti fiż-żmien tal-irtirar dwar jekk Fanskya setax jipprevjeni l-falliment tal-mudullun f'età aktar tard. L-Aġenzija kellha wkoll tħassib dwar il-fattibbiltà tal-miżuri proposti biex tingabar *data* komprensiva ta' wara t-tqegħid fis-suq biex jiġu ssodisfati l-kriterji għal awtorizzazzjoni kundizzjonali għat-tqegħid fis-suq.

Għalhekk, fiż-żmien tal-irtirar, l-Aġenzija kienet tal-opinjoni li l-kumpanija ma kinitx indirizzat kompletament it-tħassib tagħha u l-benefiċċji ta' Fanskya ma setgħux jiġu stabbiliti.

X'kienu r-raġunijiet mogħtija mill-kumpanija għall-irtirar tal-applikazzjoni?

Fl-[ittra](#) li bagħtet lill-Aġenzija biex tgħarrafha bl-irtirar tal-applikazzjoni, il-kumpanija sostniet li għalkemm kienet mistennija tindirizza b'mod sodisfaċenti t-tħassib imqajjem mill-Aġenzija, l-applikazzjoni giet irtirata biss minħabba raġunijiet kummerċjali.

Dan l-irtirar jaffettwa l-pazjenti fi provi kliniċi?

Il-kumpanija infurmat lill-Aġenzija li ma hemm l-ebda konsegwenza għall-pazjenti li bħalissa huma għaddejjin minn provi kliniċi b'Fanskya.

Jekk int jew uliedek tinsabu fi prova klinika u teħtieġu aktar informazzjoni dwar it-trattament tiegħek jew dak ta' wliedek, kellek lit-tabib tal-prova klinika tiegħek.