



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Intrekking van de aanvraag van een vergunning voor het in de handel brengen van Fanskya (mozafancogene autotemcel)

Rocket Pharmaceuticals B.V. heeft zijn aanvraag ingetrokken voor een vergunning voor het in de handel brengen van Fanskya voor de behandeling van Fanconi-anemie type A, een erfelijke aandoening die het beenmerg aantast, het sponsachtige weefsel in de grote beenderen waar bloedcellen worden gemaakt.

Het bedrijf heeft de aanvraag op 11 augustus 2025 ingetrokken.

Wat is Fanskya en voor welke behandeling was het bedoeld?

Fanskya werd ontwikkeld als geneesmiddel voor gebruik bij kinderen in de leeftijd van 1 tot 18 jaar voor de behandeling van Fanconi-anemie type A.

Bij Fanconi-anemie type A verliest het beenmerg geleidelijk zijn vermogen om voldoende gezonde bloedcellen te produceren, wat leidt tot bloedaandoeningen zoals anemie (laag aantal rode bloedcellen) en een verhoogd risico op infecties en bloedingen. Mensen met deze aandoening hebben ook een hoger risico op het ontwikkelen van bepaalde vormen van kanker, zoals leukemie (kanker van de witte bloedcellen), en kunnen problemen krijgen die organen zoals de nieren en het hart aantasten. Er zijn verschillende subtypen van Fanconi-anemie – type A is de meest voorkomende en wordt veroorzaakt door mutaties (veranderingen) in het *FANCA*-gen.

Fanskya bevat de werkzame stof mozafancogene autotemcel en zou worden toegediend via enkelvoudige infusie (indruppeling) in een ader.

Fanskya is op 17 december 2010 aangewezen als “weesgeneesmiddel” (een geneesmiddel voor zeldzame ziekten) voor Fanconi-anemie type A. Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: 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



© European Medicines Agency, 2025. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Hoe werkt Fanskya?

Fanconi-anemie type A wordt veroorzaakt door mutaties in het *FANCA*-gen, dat instructies geeft voor het aanmaken van een eiwit dat helpt om beschadigd DNA te herstellen, met name in cellen die zich vaak delen, zoals die in het beenmerg.

De werkzame stof in Fanskya, mozaefancogene autotemcel, moest worden bereid met behulp van de eigen bloedstamcellen van de patiënt (cellen die zich tot verschillende soorten bloedcellen kunnen ontwikkelen). Deze zouden dan in een laboratorium worden gemodificeerd met behulp van een virus. Dit virus is zodanig aangepast dat het zich niet in het lichaam kan verspreiden, maar wel een gezonde kopie van het *FANCA*-gen in de bloedstamcellen kan afgeven, zodat deze beschadigd DNA kunnen herstellen. De gemodificeerde bloedstamcellen moesten via een infusie aan de patiënt worden teruggegeven en zouden naar verwachting in het beenmerg terechtkomen en gezonde bloedcellen aanmaken.

Welke documentatie heeft het bedrijf ingediend ter onderbouwing van de aanvraag?

Het bedrijf presenteerde gegevens uit 3 studies onder 14 kinderen in de leeftijd van 1 tot 7 jaar met Fanconi-anemie type A. In de studies werd Fanskya niet vergeleken met een ander geneesmiddel of placebo (een schijnbehandeling). De belangrijkste graadmeter voor de werkzaamheid waren drie verschillende uitkomsten: het herstel van een gezonde bloedcelproductie in het beenmerg, de correctie van genetische afwijkingen in bloedcellen in de bloedsomloop en het bereiken van normale aantallen van verschillende bloedcellen na toediening van Fanskya.

In welke beoordelingsfase werd de aanvraag ingetrokken?

De aanvraag werd ingetrokken nadat het Europees Geneesmiddelenbureau de door het bedrijf verstrekte informatie had bestudeerd en vragen voor het bedrijf had opgesteld. Op het ogenblik van de intrekking had het bedrijf de laatste reeks vragen nog niet beantwoord.

Wat was de aanbeveling van het Geneesmiddelenbureau op dat moment?

Op basis van de beoordeling van de gegevens had het Geneesmiddelenbureau op het moment van de intrekking enkele bedenkingen en was het voorlopige advies dat Fanskya niet had kunnen worden toegelaten voor de behandeling van Fanconi-anemie type A.

Het Geneesmiddelenbureau had bedenkingen over de mogelijke veiligheid van het geneesmiddel, aangezien alleen na de behandeling resultaten beschikbaar zijn waaruit blijkt hoeveel kopieën van het *FANCA*-gen in de stamcellen terechtkomen. Dit is belangrijk omdat de introductie van een groot aantal genkopieën in stamcellen van invloed kan zijn op de werking ervan. Aangezien het mogelijke risico dat het gen de normale werking van cellen verandert, niet volledig kon worden beoordeeld vóór de toediening van het geneesmiddel aan de patiënt, verzocht het Geneesmiddelenbureau om een uitgebreide risicobeoordeling.

Hoewel het bedrijf verschillende tests heeft uitgevoerd om de kwaliteit van Fanskya te beoordelen voordat het aan patiënten werd toegediend, achtte het Geneesmiddelenbureau het onzeker of de beschikbare gegevens toereikend waren om te bevestigen dat de tests de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel op betrouwbare wijze voorspelden. Een van de belangrijkste maatregelen die worden gebruikt om de kwaliteit van de stamcellen te controleren, is het percentage cellen met de CD34-marker. Het Agentschap had echter bedenkingen over de drempelwaarden voor stamcellen in Fanskya die deze marker bevatten.

Ondanks het gebrek aan gegevens over de veiligheid op lange termijn bleek Fanskya een aanvaardbaar veiligheidsprofiel te hebben. Het Geneesmiddelenbureau concludeerde echter dat het bedrijf niet overtuigend had aangetoond dat de voordelen van Fanskya groter waren dan de risico's. Dit was voornamelijk het gevolg van het feit dat het klinische voordeel van het geneesmiddel niet duidelijk was aangetoond. Op grond van onzekerheden in de hoofdstudie, zoals het ontbreken van een vergelijkingsmiddel en de jonge leeftijd van de deelnemers, was het Geneesmiddelenbureau op het moment van de intrekking niet in staat om robuuste conclusies te trekken over de vraag of Fanskya beenmergfalen op latere leeftijd had kunnen voorkomen. Het Geneesmiddelenbureau had ook bedenkingen over de haalbaarheid van de voorgestelde maatregelen voor het verzamelen van uitgebreide post-marketinggegevens om te voldoen aan de criteria voor een voorwaardelijke handelsvergunning.

Daarom was het Geneesmiddelenbureau op het ogenblik van de intrekking van mening dat het bedrijf de bedenkingen van het Geneesmiddelenbureau niet volledig had weggenomen en dat het voordeel van Fanskya niet kon worden aangetoond.

Welke redenen gaf het bedrijf voor het intrekken van de aanvraag?

In de [brief](#) waarin het bedrijf het Geneesmiddelenbureau in kennis stelde van de intrekking van de aanvraag, verklaarde het bedrijf dat het de bedenkingen van het Geneesmiddelenbureau naar verwachting op bevredigende wijze zou kunnen wegnemen, maar dat de aanvraag uitsluitend om zakelijke redenen werd ingetrokken.

Heeft deze intrekking gevolgen voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven?

Het bedrijf deelde het Geneesmiddelenbureau mee dat er geen gevolgen zijn voor patiënten die deelnemen aan klinische proeven met Fanskya.

Indien u of uw kind deelneemt aan een klinische proef en u meer informatie wenst over uw behandeling of die van uw kind, neem dan contact op met de onderzoeksarts.