



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 sierpnia 2025 r.
EMA/270385/2025
EMA/H/C/005537

Wycofanie wniosku o dopuszczenie do obrotu dotyczącego produktu Fanskya (mozafankogen autotemcel)

Firma Rocket Pharmaceuticals B.V. wycofała swój wniosek o pozwolenie na dopuszczenie do obrotu produktu Fanskya ze wskazaniem do leczenia niedokrwistości Fanconiego typu A, choroby dziedzicznej, która wpływa na szpik kostny — gąbczastą tkankę wewnątrz dużych kości, w której wytwarzane są komórki krwi.

Firma wycofała wniosek 11 sierpnia 2025 r.

Co to jest produkt Fanskya i w jakim celu miał być stosowany?

Produkt Fanskya został opracowany jako lek do stosowania u dzieci w wieku od 1 do 18 lat w leczeniu niedokrwistości Fanconiego typu A.

W przebiegu niedokrwistości Fanconiego typu A szpik kostny stopniowo traci zdolność wytwarzania wystarczającej liczby zdrowych krwinek, co prowadzi do chorób krwi, takich jak niedokrwistość (niskie miano krwinek czerwonych), oraz zwiększonego ryzyka zakażeń i krwawień. Osoby z tą chorobą są również bardziej narażone na rozwój niektórych rodzajów nowotworów, takich jak białaczka (nowotwór krwinek białych), i mogą występować u nich zaburzenia czynności określonych narządów, np. nerek i serca. Istnieje kilka różnych podtypów niedokrwistości Fanconiego; typ A jest najczęstszy i jest spowodowany mutacjami (zmianami) w genie *FANCA*.

Substancją czynną zawartą w produkcie Fanskya jest. mozafankogen autotemcel. Produkt Fanskya miał być podawany w pojedynczym wlewie (kroplówce) do żyły.

W dniu 17 grudnia 2010 r. produkt Fanskya uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach) w leczeniu niedokrwistości Fanconiego typu A. Więcej informacji na temat uznania za lek sierocy można znaleźć na stronie internetowej Agencji: 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



Jak działa produkt Fanskya?

Niedokrwistość Fanconiego typu A jest spowodowana mutacjami w genie *FANCA*, który zawiera instrukcje dotyczące wytwarzania białka pomagającego w naprawie uszkodzonego DNA, szczególnie w komórkach, które często się dzielą, takich jak komórki szpiku kostnego.

Substancja czynna zawarta w produkcie Fanskya, mozafofankogen autotemcel, miała być przygotowywana przy użyciu własnych komórek macierzystych krwi pacjenta (komórek, z których mogą rozwijać się różnego typu krwinki). Takie komórki miały być modyfikowane w laboratorium za pomocą wirusa. Wirusa zmodyfikowano tak, by nie mógł rozprzestrzeniać się w organizmie, ale mógł dostarczać kopię prawidłowego genu *FANCA* do komórek macierzystych krwi, co umożliwiłoby im naprawę uszkodzonego DNA. Zmodyfikowane komórki macierzyste krwi miały być podane pacjentowi we wlewie, po czym miały przemieszczać się do szpiku kostnego i wytwarzać zdrowe krwinki.

Jaką dokumentację przedstawiła firma na poparcie wniosku?

Firma przedstawiła dane z 3 badań z udziałem 14 dzieci w wieku od 1 do 7 lat z niedokrwistością Fanconiego typu A. Badania nie porównywały produktu Fanskya z innym lekiem ani z placebo (leczeniem pozorowanym). Głównym kryterium oceny skuteczności były trzy różne wskaźniki: przywrócenie wytwarzania prawidłowych krwinek w szpiku kostnym, wyrównanie zaburzeń genetycznych w krążących krwinkach oraz osiągnięcie prawidłowego miana różnych krwinek po podaniu produktu Fanskya.

Na jakim etapie znajdowała się ocena w momencie wycofania wniosku?

Wniosek wycofano po przeprowadzeniu przez Europejską Agencję Leków oceny informacji przedłożonych przez firmę i sformułowaniu pytań do firmy. Firma wycofała wniosek przed udzieleniem odpowiedzi na ostatnią serię pytań.

Jakie zalecenia wydała wówczas Agencja?

W momencie wycofania wniosku Agencja zgłosiła pewne zastrzeżenia na podstawie przeglądu danych i wstępna opinia wskazywała, że produkt Fanskya nie może być zatwierdzony w leczeniu niedokrwistości Fanconiego typu A.

Agencja miała wątpliwości co do potencjalnego bezpieczeństwa stosowania leku, ponieważ wyniki pokazujące, ile kopii genu *FANCA* przedostaje się do komórek macierzystych, można uzyskać dopiero po podaniu leku. Jest to ważne, gdyż wprowadzenie dużej liczby kopii genu do komórek macierzystych może wpływać na ich funkcjonowanie. Ponieważ przed podaniem pacjentowi leku nie można było w pełni ocenić ewentualnego ryzyka zmiany prawidłowego funkcjonowania komórek przez gen, Agencja poprosiła o wyczerpującą ocenę ryzyka.

Chociaż firma przeprowadziła kilka badań w celu oceny jakości produktu Fanskya przed jego podaniem pacjentom, Agencja wyraziła obawy, czy dostępne dane były wystarczające, aby potwierdzić, że badania wiarygodnie przewidywały bezpieczeństwo stosowania i skuteczność leku. Jedną z kluczowych miar wykorzystywanych do kontroli jakości komórek macierzystych jest odsetek komórek posiadających marker o nazwie CD34. Agencja miała jednak zastrzeżenia do progowych mian komórek macierzystych w produkcie Fanskya posiadających ten marker.

Pomimo braku długoterminowych danych dotyczących bezpieczeństwa stosowania produktu Fanskya wydawał się on mieć akceptowalny profil bezpieczeństwa. Agencja stwierdziła jednak, że firma nie wykazała w sposób przekonujący, że korzyści ze stosowania produktu Fanskya przewyższają ryzyko.

Wynikało to głównie z faktu, że nie ustalono jednoznacznie korzyści klinicznych ze stosowania leku. Niepewności dotyczące badania głównego, np. brak komparatora i młody wiek uczestników, w momencie wycofania wniosku uniemożliwiły Agencji wyciągnięcie jednoznacznych wniosków na temat tego, czy produkt Fanskya mógł zapobiegać niewydolności szpiku kostnego w późniejszym wieku. Agencja wyraziła również wątpliwości co do wykonalności proponowanych środków mających na celu gromadzenie kompleksowych danych po wprowadzeniu do obrotu, aby spełnić kryteria warunkowego pozwolenia na dopuszczenie do obrotu.

Dlatego też w momencie wycofania wniosku zdaniem Agencji firma nie wyjaśniła w pełni zastrzeżeń i nie można było określić korzyści ze stosowania produktu Fanskya.

Jakie przyczyny wycofania wniosku podała firma?

W swoim [piśmie](#) powiadamiającym Agencję o wycofaniu wniosku firma oświadczyła, że oczekuje zadowalającego ustosunkowania się do zastrzeżeń podniesionych przez Agencję, a wniosek został wycofany wyłącznie z powodów biznesowych.

Jakie są skutki wycofania dla pacjentów uczestniczących w badaniach klinicznych?

Firma powiadomiła Agencję, że nie ma żadnych skutków dla pacjentów biorących udział w badaniach klinicznych z użyciem produktu Fanskya.

W przypadku uczestnictwa w badaniach klinicznych i potrzeby uzyskania dokładniejszych informacji o leczeniu należy skontaktować się z lekarzem prowadzącym badanie kliniczne.