



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22 de agosto de 2025
EMA/270385/2025
EMA/H/C/005537

Retirada do pedido de Autorização de Introdução no Mercado para Fanskya (mozafancogene autotemcel)

A Rocket Pharmaceuticals B.V. retirou o seu pedido de Autorização de Introdução no Mercado para o Fanskya para o tratamento da anemia de Fanconi tipo A, uma doença hereditária que afeta a medula óssea, o tecido esponjoso no interior dos ossos grandes onde são produzidas as células sanguíneas.

A empresa retirou o pedido em 11 de agosto de 2025.

O que é Fanskya e qual a utilização prevista?

O Fanskya foi desenvolvido como um medicamento para utilização em crianças com idades compreendidas entre os 1 e os 18 anos para o tratamento da anemia de Fanconi tipo A.

Na anemia de Fanconi tipo A, a medula óssea perde gradualmente a sua capacidade de produzir um número suficiente de células sanguíneas saudáveis, o que provoca doenças no sangue, tais como anemia (níveis baixos de glóbulos vermelhos) e um risco aumentado de infeções e hemorragias. As pessoas com esta doença também apresentam um risco mais elevado de desenvolver determinados tipos de cancro, como a leucemia (cancro dos glóbulos brancos), e podem ter problemas que afetam órgãos como os rins e o coração. Existem vários subtipos diferentes de anemia de Fanconi; o tipo A é o mais comum e é causado por mutações (alterações) no gene *FANCA*.

O Fanskya contém a substância ativa mozafancogene autotemcel e foi administrado como uma perfusão única (administração gota a gota) numa veia.

O Fanskya foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 17 de dezembro de 2010 para o tratamento da anemia de Fanconi tipo A. Mais informações sobre a designação órfã podem ser encontradas no sítio Internet da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822.

Como funciona Fanskya?

A anemia de Fanconi tipo A é causada por mutações no gene *FANCA*, que fornece instruções para produzir uma proteína que ajuda a reparar o ADN danificado, especialmente em células que se dividem frequentemente, tais como as que se encontram na medula óssea.

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



A substância ativa do Fanskya, o mozafancogene autotemcel, devia ser preparada utilizando as células estaminais sanguíneas do próprio doente (células que podem desenvolver-se em diferentes tipos de células sanguíneas). Estes seriam posteriormente modificados num laboratório utilizando um vírus. O vírus é alterado de modo a não poder propagar-se no organismo, mas pode fornecer uma cópia saudável do *gene* FANCA para as células estaminais sanguíneas, permitindo-lhes reparar o ADN danificado. As células estaminais do sangue modificadas deveriam ser devolvidas ao doente através de uma perfusão e esperava-se que viajassem para a medula óssea e produzissem células sanguíneas saudáveis.

Que documentação foi apresentada pela empresa a acompanhar o pedido?

A empresa apresentou dados de 3 estudos que incluíram 14 crianças com idades compreendidas entre os 1 e os 7 anos com anemia de Fanconi tipo A. Os estudos não compararam o Fanskya com outro medicamento nem com um placebo (tratamento simulado). O principal parâmetro de eficácia incluiu três resultados diferentes: o restabelecimento de uma produção saudável de células sanguíneas na medula óssea, a correção de anomalias genéticas nas células sanguíneas em circulação e a obtenção de níveis normais de diferentes células sanguíneas após a administração de Fanskya.

Qual o estado de adiantamento do processo de avaliação do pedido quando este foi retirado?

O pedido foi retirado depois de a Agência Europeia de Medicamentos ter avaliado as informações fornecidas pela empresa e formulado perguntas para a empresa. A empresa não tinha ainda respondido à última ronda de perguntas quando retirou o pedido.

Qual era a recomendação da Agência no momento da retirada?

Com base na análise dos dados, no momento da retirada, a Agência tinha algumas questões, sendo de parecer que o Fanskya não podia ser autorizado para o tratamento da anemia de Fanconi tipo A.

A Agência manifestou preocupações quanto à potencial segurança do medicamento, uma vez que os resultados que mostram quantas cópias do *gene* FANCA entram nas células estaminais só estão disponíveis após o tratamento. Isto é importante porque a introdução de um elevado número de cópias genéticas nas células estaminais pode afetar o seu funcionamento. Uma vez que o possível risco de o *gene* alterar o funcionamento normal das células não pôde ser plenamente avaliado antes de o medicamento ter sido administrado ao doente, a Agência solicitou uma avaliação exaustiva dos riscos.

Embora a empresa tenha realizado vários testes para avaliar a qualidade do Fanskya antes de ser administrado aos doentes, a Agência manifestou preocupações sobre se os dados disponíveis eram suficientes para confirmar que os testes previam de forma fiável a segurança e a eficácia do medicamento. Uma das principais medidas utilizadas para verificar a qualidade das células estaminais é a percentagem de células que contêm um marcador denominado CD34. No entanto, a Agência manifestou preocupações relativamente aos limiares de células estaminais no Fanskya que tinham este marcador.

Apesar da falta de dados de segurança a longo prazo, o Fanskya pareceu ter um perfil de segurança aceitável. No entanto, a Agência concluiu que a empresa não tinha demonstrado de forma convincente que os benefícios do Fanskya eram superiores aos seus riscos. Tal deveu-se principalmente ao facto de o benefício clínico do medicamento não ter sido claramente estabelecido. As incertezas do estudo principal, tais como a falta de comparador e a jovem idade dos participantes, impediram a Agência de chegar a conclusões sólidas no momento da retirada sobre se o Fanskya poderia ter evitado a falha da

medula óssea numa idade posterior. A Agência também manifestou preocupações quanto à viabilidade das medidas propostas para recolher dados exaustivos pós-introdução no mercado para cumprir os critérios de uma autorização de introdução no mercado condicional.

Por conseguinte, no momento da retirada, a Agência considerava que a empresa não tinha abordado totalmente as questões colocadas e que o benefício de Fanskya não tinha sido demonstrado.

Quais as razões invocadas pela empresa para retirar o pedido?

Na [carta](#) a notificar a Agência da retirada do pedido de autorização, a empresa declarou que, embora esperava responder de forma satisfatória às preocupações suscitadas pela Agência, o pedido foi retirado apenas por razões comerciais.

Esta retirada afeta os doentes incluídos em ensaios clínicos?

A empresa informou a Agência de que não existem consequências para os doentes incluídos em ensaios clínicos com Fanskya.

Se você ou um filho seu estiverem incluídos num ensaio clínico e necessitar de informação adicional sobre si ou sobre o tratamento do seu filho, fale com o seu médico do ensaio clínico.