



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Retragerea cererii de autorizare de punere pe piață pentru Fanskya (mozafancogen autotemcel)

Rocket Pharmaceuticals B.V. și-a retras cererea de autorizare de punere pe piață pentru Fanskya pentru tratamentul anemiei Fanconi de tip A, o afecțiune ereditară care afectează măduva, țesutul spongios din interiorul oaselor mari, unde se produc celulele sangvine.

Compania și-a retras cererea la 11 august 2025.

### Ce este Fanskya și pentru ce ar fi trebuit să se utilizeze?

Fanskya a fost elaborat ca medicament care să fie utilizat la copii și adolescenți cu vârsta cuprinsă între 1 și 18 ani pentru tratamentul anemiei Fanconi de tip A.

În anemia Fanconi de tip A, măduva își pierde treptat capacitatea de a produce suficiente celule sangvine sănătoase, ceea ce duce la tulburări hematologice precum anemia (număr mic de globule roșii) și la un risc crescut de infecții și sângerări. Persoanele cu această afecțiune au și un risc mai mare de anumite tipuri de cancer, de exemplu leucemie (cancerul globulelor albe), și pot avea probleme care afectează organe precum rinichii și inima. Există mai multe subtipuri diferite de anemie Fanconi; tipul A este cel mai frecvent și este cauzat de mutații (modificări) ale genei *FANCA*.

Fanskya conține substanța activă mozafancogen autotemcel și urma să fie administrat sub formă de perfuzie intravenoasă (picurare în venă) unică.

Fanskya a fost desemnat „medicament orfan” (un medicament folosit în bolile rare) la 17 decembrie 2010 pentru anemia Fanconi de tip A. Informații suplimentare privind desemnarea ca medicament orfan sunt disponibile pe site-ul agenției: [ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822](https://ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822).

### Cum acționează Fanskya?

Anemia Fanconi de tip A este cauzată de mutații ale genei *FANCA*, responsabilă pentru furnizarea instrucțiunilor pentru producerea unei proteine care ajută la repararea ADN-ului deteriorat, în special în celulele care se divid rapid, cum sunt cele din măduvă.



Substanța activă din Fanskya, mozafancogen autotemcel, urma să fie preparată utilizând celulele stem (celule care se pot diferenția în diferite tipuri de celule sangvine) din sângele pacientului. Acestea vor fi apoi modificate într-un laborator cu ajutorul unui virus. Virusul este modificat astfel încât nu se poate răspândi în organism, dar poate elibera o copie sănătoasă a genei *FANCA* în celulele stem sangvine, permițându-le să repare ADN-ul deteriorat. Celulele stem sangvine modificate urmau să fie readministrate pacientului prin perfuzie și trebuiau să ajungă la măduvă și să producă globule sanguine sănătoase.

## **Ce documentație a prezentat compania în sprijinul cererii sale?**

Compania a prezentat date din 3 studii care au cuprins 14 copii și adolescenți cu vârsta între 1 și 7 ani cu anemie Fanconi de tip A. Studiile nu au comparat Fanskya cu alt medicament sau cu placebo (un preparat inactiv). Principalul indicator al eficacității a cuprins trei rezultate diferite: refacerea producției de celule sangvine sănătoase în măduva osoasă, corectarea anomaliilor genetice din celulele sangvine circulante și atingerea nivelurilor normale ale diferitelor celule sangvine după administrarea Fanskya.

## **În ce stadiu se afla evaluarea în momentul retragerii cererii?**

Cererea a fost retrasă după ce Agenția Europeană pentru Medicamente evaluase informațiile prezentate de companie și formulase întrebări pentru aceasta. În momentul retragerii cererii, compania nu răspunsese încă la ultima rundă de întrebări.

## **Care a fost recomandarea agenției în momentul respectiv?**

Pe baza analizării datelor, în momentul retragerii cererii, agenția avea unele motive de îngrijorare și a dat un aviz provizoriu potrivit căruia Fanskya nu putea fi aprobat pentru tratamentul anemiei Fanconi de tip A.

Agenția avea motive de îngrijorare cu privire la siguranța potențială a medicamentului, deoarece rezultatele care arată câte copii ale genei *FANCA* pătrund în celulele stem sunt disponibile numai după tratament. Acest lucru este important, deoarece introducerea unui număr mare de copii ale genelor în celulele stem poate influența modul în care acestea funcționează. Întrucât riscul posibil ca gena să modifice funcționarea normală a celulelor nu a putut fi evaluat pe deplin înainte ca medicamentul să fi fost administrat pacientului, agenția a solicitat o evaluare cuprinzătoare a riscurilor.

Deși compania a efectuat mai multe teste pentru a evalua calitatea Fanskya înainte ca acesta să fie administrat pacienților, agenția avea motive de îngrijorare cu privire la măsura în care datele disponibile erau suficiente pentru a confirma că testele au anticipat în mod fiabil siguranța și eficacitatea medicamentului. Unul dintre indicatorii-cheie utilizați pentru verificarea calității celulelor stem este procentul de celule care conțin un marker numit CD34. Cu toate acestea, agenția avea motive de îngrijorare cu privire la pragurile de celule stem din Fanskya care aveau acest marker.

În pofida lipsei de date privind siguranța pe termen lung, Fanskya părea să aibă un profil de siguranță acceptabil. Agenția a concluzionat însă că compania nu a demonstrat în mod convingător că beneficiile Fanskya sunt mai mari decât riscurile asociate. Principalul motiv a fost că beneficiul clinic al medicamentului nu a fost stabilit în mod clar. Incertitudinile din studiul principal, de exemplu lipsa unui comparator și vârsta mică a participanților, au împiedicat agenția să ajungă la concluzii solide la momentul retragerii cu privire la posibilitatea ca Fanskya să fi prevenit insuficiența măduvei osoase la o vârstă mai avansată. Agenția și-a exprimat, de asemenea, îngrijorarea cu privire la fezabilitatea măsurilor propuse de culegere a unor date cuprinzătoare după punerea pe piață pentru a îndeplini criteriile pentru o autorizație de punere pe piață condiționată.

Prin urmare, la momentul retragerii cererii, în opinia agenției, compania nu soluționase pe deplin motivele sale de îngrijorare, iar beneficiul Fanskya nu fusese demonstrat.

### **Care au fost motivele invocate de companie pentru retragerea cererii?**

În [scrisoarea](#) prin care compania înștiințează agenția cu privire la retragerea cererii, compania a declarat că, deși se preconizează că va soluționa în mod satisfăcător motivele de îngrijorare exprimate de agenție, cererea a fost retrasă doar din motive comerciale.

### **Retragerea acestei cereri afectează pacienții din studii clinice?**

Compania a informat agenția că nu există consecințe pentru pacienții aflați în studii clinice cu Fanskya.

Dacă dumneavoastră sau copilul dumneavoastră sunteți într-un studiu clinic intervențional și aveți nevoie de mai multe informații cu privire la tratamentul dumneavoastră sau al copilului, discutați cu medicul din studiul clinic.