



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

22. augusta 2025
EMA/270385/2025
EMA/H/C/005537

Stiahnutie žiadosti o povolenie na uvedenie na trh pre liek Fanskya (mozafankogén autotemcel)

Spoločnosť Rocket Pharmaceuticals B.V. stiahla svoju žiadosť o povolenie na uvedenie na trh pre liek Fanskya na liečbu Fanconiho anémie typu A, dedičného ochorenia, ktoré postihuje kostnú dreň, hubovité tkanivo vo vnútri veľkých kostí, kde sa tvoria krvinky.

Spoločnosť svoju žiadosť stiahla 11. augusta 2025.

Čo je liek Fanskya a aké bolo jeho predpokladané použitie?

Liek Fanskya bol vyvinutý ako liek, ktorý sa má používať u detí vo veku od 1 do 18 rokov na liečbu Fanconiho anémie typu A.

Pri Fanconiho anémii typu A kostná dreň postupne stráca schopnosť vytvárať dostatok zdravých krviniek, čo vedie k poruchám krvi, ako je napríklad anémia (nízka hladina červených krviniek) a zvýšené riziko infekcií a krvácania. Ľudia s týmto ochorením majú tiež vyššie riziko vzniku určitých typov rakoviny, napríklad leukémie (rakoviny bielych krviniek), a môžu mať problémy s orgánmi, ako sú napríklad obličky a srdce. Existuje niekoľko rôznych podtypov Fanconiho anémie, pričom typ A je najčastejší a je spôsobený mutáciami (zmenami) v géne *FANCA*.

Liek Fanskya obsahuje liečivo mozafankogén autotemcel a mal sa podávať vo forme jednej infúzie (na kvapkanie) do žily.

Liek Fanskya bol dňa 17. decembra 2010 označený ako liek na zriedkavé choroby (liek, ktorý sa používa pri zriedkavých chorobách) na liečbu Fanconiho anémie typu A. Viac informácií o označovaní liekov ako lieky na zriedkavé choroby sa nachádza na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822.

Akým spôsobom liek Fanskya účinkuje?

Fanconiho anémia typu A je spôsobená mutáciami v géne *FANCA*, ktorý poskytuje pokyny na tvorbu proteínu, ktorý pomáha opravovať poškodenú DNA, najmä v bunkách, ktoré sa často delia, ako napríklad v kostnej dreni.



Liečivo lieku Fanskya, mozafankogén autotemcel, sa malo pripraviť pomocou vlastných krvných kmeňových buniek pacienta (bunky, ktoré sa môžu vyvinúť na rôzne typy krviniek). Tie sa potom mali upraviť v laboratóriu pomocou vírusu. Vírus je zmenený tak, aby sa nemohol šíriť v tele, ale môže dodať zdravú kópiu génu *FANCA* do krvných kmeňových buniek, čo im umožní opraviť poškodenú DNA. Upravené krvné kmeňové bunky sa mali podať späť pacientovi infúziou a mali putovať do kostnej drene a vytvoriť zdravé krvinky.

Akou dokumentáciou podložila spoločnosť svoju žiadosť?

Spoločnosť predložila údaje z 3 štúdií, na ktorých sa zúčastnilo 14 detí vo veku od 1 do 7 rokov s Fanconiho anémiou typu A. V štúdiách sa neporovnával liek Fanskya s iným liekom ani s placebom (zdanlivým liekom). Hlavné meradlo účinnosti zahŕňalo tri rôzne výsledky: obnovenie tvorby zdravých krviniek v kostnej dreni, korekciu genetických abnormalít v cirkulujúcich krvinkách a dosiahnutie normálnych hladín rôznych krviniek po podaní lieku Fanskya.

V akej fáze hodnotenia bola žiadosť v čase stiahnutia?

Žiadosť bola stiahnutá potom, ako Európska agentúra pre lieky vyhodnotila informácie od spoločnosti a sformulovala otázky pre spoločnosť. Spoločnosť v čase stiahnutia žiadosti ešte neodpovedala na poslednú sériu otázok.

Aké bolo v tom čase odporúčanie agentúry?

Na základe preskúmania údajov mala agentúra v čase stiahnutia žiadosti určité výhrady a dospela k predbežnému stanovisku, že liek Fanskya nemôže byť povolený na liečbu Fanconiho anémie typu A.

Agentúra mala výhrady týkajúce sa potenciálnej bezpečnosti lieku, pretože výsledky, ktoré ukazujú, koľko kópií génu *FANCA* sa dostalo do kmeňových buniek, sú k dispozícii až po liečbe. Je to dôležité, pretože zavedenie veľkého počtu kópií génu do kmeňových buniek môže ovplyvniť ich fungovanie. Keďže možné riziko, že gén zmení normálne fungovanie buniek nebolo možné úplne vyhodnotiť pred podaním lieku pacientovi, agentúra požiadala o komplexné posúdenie rizika.

Hoci spoločnosť vykonala niekoľko testov na posúdenie kvality lieku Fanskya pred jeho podaním pacientom, agentúra mala výhrady týkajúceho sa toho, či boli dostupné údaje dostatočné na potvrdenie, že testy spoľahlivo predpovedali bezpečnosť a účinnosť lieku. Jedným z kľúčových ukazovateľov používaných na kontrolu kvality kmeňových buniek je percento buniek, ktoré nesú marker CD34. Agentúra však mala výhrady týkajúce sa prahových hodnôt kmeňových buniek v lieku Fanskya, ktoré mali tento marker.

Napriek nedostatku údajov o dlhodobej bezpečnosti sa zdá, že liek Fanskya má prijateľný bezpečnostný profil. Agentúra však dospela k záveru, že spoločnosť presvedčivo nepreukázala, že prínosy lieku Fanskya prevyšujú jeho riziká. Dôvodom bol najmä fakt, že klinický prínos lieku nebol jasne stanovený. Nejasnosti v hlavnej štúdii, napríklad chýbajúci komparátor a nízky vek účastníkov, zabránili agentúre v čase stiahnutia žiadosti dospieť k spoľahlivým záverom o tom, či liek Fanskya mohol zabrániť zlyhaniu kostnej drene v neskoršom veku. Agentúra mala tiež výhrady týkajúce sa uskutočniteľnosti navrhovaných opatrení na zber komplexných údajov po uvedení na trh, aby sa splnili kritériá pre podmienené povolenie na uvedenie na trh.

Agentúra preto v čase stiahnutia žiadosti zastávala názor, že spoločnosť úplne nevyriešila jej výhrady a že prínos lieku Fanskya nemôže byť stanovený.

Aké dôvody na stiahnutie žiadosti uviedla spoločnosť?

Vo svojom [liste](#) oznamujúcom agentúre stiahnutie žiadosti spoločnosť uviedla, že hoci očakávala, že uspokojivo vyrieši výhrady, ktoré vzniesla agentúra, žiadosť bola stiahnutá výlučne z obchodných dôvodov.

Aké sú dôsledky stiahnutia žiadosti pre pacientov, ktorí sa zúčastňujú na klinických skúšaniach?

Spoločnosť informovala agentúru, že pre pacientov používajúcich liek Fanskya, ktorí sa v súčasnosti zúčastňujú na klinických skúšaniach, nevyplývajú žiadne dôsledky.

Ak sa vy alebo vaše dieťa zúčastňujete na klinickom skúšaní a potrebujete viac informácií o svojej liečbe alebo o liečbe svojho dieťaťa, obráťte sa na lekára zapojeného do klinického skúšania.