



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Umik vloge za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Fanskya (mozafankogen avtotemcel)

Podjetje Rocket Pharmaceuticals B.V. je umaknilo vlogo za pridobitev dovoljenja za promet z zdravilom Fanskya, namenjenim zdravljenju Fanconijeve anemije tipa A, dedne bolezni, ki prizadene kostni mozeg, gobasto tkivo v velikih kosteh, v katerem se tvorijo krvne celice.

Podjetje je vlogo umaknilo 11. avgusta 2025.

Kaj je zdravilo Fanskya in za kaj naj bi se uporabljalo?

Zdravilo Fanskya je bilo razvito kot zdravilo za uporabo pri otrocih, starih od 1 do 18 let, za zdravljenje Fanconijeve anemije tipa A.

Pri Fanconijevi anemiji tipa A kostni mozeg postopoma izgubi sposobnost proizvodnje dovolj zdravih krvnih celic, kar povzroči krvne motnje, kot sta anemija (nizke ravni rdečih krvnih celic) in povečano tveganje za okužbe in krvavitve. Bolniki s to boleznijo imajo tudi večje tveganje za nastanek nekaterih vrst raka, kot je levkemija (rak belih krvnih celic), in imajo lahko težave z organi, kot so ledvice in srce. Obstaja več različnih podtipov Fanconijeve anemije. Najpogostejši je tip A, ki ga povzroči mutacija (sprememba) v genu *FANCA*.

Zdravilo Fanskya vsebuje učinkovino mozafankogen avtotemcel in naj bi se dajalo v obliki enkratnega infundiranja (kapalne infuzije) v veno.

Zdravilo Fanskya je bilo 17. decembra 2010 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni) za Fanconijevo anemijo tipa A. Nadaljnje informacije o določitvi zdravila sirote so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822.

Kako zdravilo Fanskya deluje?

Fanconijevo anemijo tipa A povzroči mutacija v genu *FANCA*, ki daje navodila za izdelavo beljakovine, ki pomaga popraviti poškodovano DNK, zlasti v celicah, ki se pogosto delijo, kot so tiste v kostnem mozgu.

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



Učinkovino v zdravilu Fanskya, mozafankogen avtotemcel, bi se pripravilo z uporabo bolnikovih lastnih krvnih matičnih celic (celic, ki se lahko razvijejo v različne vrste krvnih celic). Te bi nato z uporabo virusa spremenili v laboratoriju. Virus naj bi bil spremenjen tako, da se ne more širiti v telesu, lahko pa v krvne matične celice dostavi zdravo kopijo gena *FANCA*, kar jim omogoča popraviljanje poškodovane DNK. Spremenjene matične celice krvi bi bolniku vrnili z infundiranjem, nato pa naj bi dospele v kostni mozeg in ustvarile zdrave krvne celice.

Katero dokumentacijo je podjetje predložilo v podporo svoji vlogi?

Podjetje je predložilo podatke iz treh študij, v katere je bilo vključenih 14 otrok, starih od enega do sedem let, s Fanconijevo anemijo tipa A. V študijah zdravila Fanskya niso primerjali z drugim zdravilom ali placebom (zdravilom brez učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je vključevalo tri različne izide: obnovo tvorbe zdravih krvnih celic v kostnem mozgu, odpravo genskih nepravilnosti v krvnih celicah v obtoku in doseganje normalnih ravni različnih krvnih celic po dajanju zdravila Fanskya.

Kako daleč je bil postopek ocenjevanja vloge ob njenem umiku?

Vlogo so umaknili po tem, ko je Evropska agencija za zdravila že ocenila informacije, ki jih je predložilo podjetje, in oblikovala seznam vprašanj za podjetje. Podjetje ob umiku vloge še ni odgovorilo na zadnji sklop vprašanj.

Kakšno je bilo takrat priporočilo agencije?

Agencija je na podlagi pregleda podatkov ob umiku vloge izrazila določene zadržke in je začasno menila, da zdravilo Fanskya ni mogoče odobriti za zdravljenje Fanconijeve anemije tipa A.

Imela je pomisleke glede morebitne varnosti zdravila, saj so rezultati, ki kažejo, koliko kopij gena *FANCA* vstopi v matične celice, na voljo šele po zdravljenju. To je pomembno, saj lahko vnos velikega števila kopij v matične celice vpliva na njihovo delovanje. Morebitnega tveganja, da bi gen spremenil normalno delovanje celic, ni bilo mogoče v celoti oceniti, preden je bilo zdravilo dano bolniku, zato je agencija zahtevala celovito oceno tveganja.

Čeprav je podjetje pred dajanjem zdravila bolnikom izvedlo več preiskav za oceno kakovosti zdravila Fanskya, je imela agencija pomisleke, ali razpoložljivi podatki zadostujejo za potrditev, da so preiskave zanesljivo napovedale varnost in učinkovitost zdravila. Eno od ključnih meril, ki se uporabljajo za preverjanje kakovosti matičnih celic, je odstotek teh celic, ki nosijo označevalec, imenovan CD34. Vendar je imela agencija pomisleke glede mejnih vrednosti matičnih celic v zdravilu Fanskya, ki so imele ta označevalec.

Kljub pomanjkanju podatkov o dolgoročni varnosti se je zdelo, da ima zdravilo Fanskya sprejemljiv varnostni profil. Vendar je agencija zaključila, da podjetje ni prepričljivo dokazalo, da koristi zdravila Fanskya odtehtajo z njim povezana tveganja. Razlog za to je predvsem dejstvo, da klinična korist zdravila ni bila jasno dokazana. Zaradi negotovosti v glavni študiji, kot sta pomanjkanje primerjalnega zdravila in starost udeležencev, agencija ob umiku vloge ni mogla oblikovati trdnih zaključkov o tem, ali bi zdravilo Fanskya lahko preprečilo odpoved kostnega mozga pri poznejši starosti. Pomisleke je imela tudi glede izvedljivosti predlaganih ukrepov za zbiranje celovitih podatkov po dajanju v promet za izpolnitev meril za pogojno dovoljenje za promet.

Zato je ob umiku vloge menila, da se podjetje ni zadostno odzvalo na izražene zadržke in da razmerje med koristmi in tveganji zdravila Fanskya ni bilo dokazano.

Kakšni so bili razlogi podjetja za umik vloge?

Podjetje je v [dopisu](#), s katerim je agencijo obvestilo o umiku vloge, navedlo, da sicer meni, da bi lahko zadovoljivo razrešilo pomisleke, ki jih je izrazila agencija, a umika vlogo izključno iz poslovnih razlogov.

Kakšne so posledice umika vloge za bolnike, ki sodelujejo v kliničnih preskušanjih?

Podjetje je agencijo obvestilo, da umik vloge nima nobenih posledic za bolnike, ki trenutno sodelujejo v kliničnih preskušanjih z zdravilom Fanskya.

Če ste vi ali vaš otrok vključeni v klinično preskušanje in potrebujete več informacij o vašem zdravljenju ali zdravljenju vašega otroka, se posvetujte z zdravnikom, ki vodi klinično preskušanje.