



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Återkallande av ansökan om godkännande för försäljning av Fanskya (mozafankogen autotemcel)

Rocket Pharmaceuticals B.V. återkallade sin ansökan om godkännande för försäljning för Fanskya, som tagits fram för att behandla Fanconis anemi typ A, en ärftlig sjukdom som påverkar benmärgen (den svampaktiga vävnaden inuti de stora skelettbenen, där blodkroppar bildas).

Företaget återkallade sin ansökan den 11 augusti 2025.

Vad är Fanskya och vad skulle det användas för?

Fanskya togs fram som ett läkemedel för behandling av Fanconis anemi typ A hos barn och ungdomar i åldern 1–18 år.

Vid Fanconis anemi typ A förlorar benmärgen gradvis sin förmåga att producera tillräckligt med friska blodkroppar, vilket leder till blodsjukdomar som anemi (låga nivåer av röda blodkroppar) och medför en ökad risk för infektioner och blödningar. Personer med sjukdomen löper också större risk att utveckla vissa typer av cancer, såsom leukemi (cancer i de vita blodkropparna). De kan även få problem med organ som njurar och hjärta. Det finns flera olika typer av Fanconis anemi. Typ A är den vanligaste och orsakas av mutationer (förändringar) i *FANCA*-genen.

Fanskya innehåller den aktiva substansen mozafankogen autotemcel och var tänkt att ges som en engångsinfusion (dropp) i en ven.

Den 17 december 2010 klassificerades Fanskya som ett sällräkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) för behandling av Fanconis anemi typ A. Mer information om klassificeringen som sällräkemedel finns på EMA:s webbplats: ema.europa.eu/medicines/human/orphan-designations/eu-3-10-822.

Hur verkar Fanskya?

Fanconis anemi typ A orsakas av mutationer i *FANCA*-genen, som innehåller instruktioner för att bilda ett protein som hjälper till att reparera skadat DNA, särskilt i celler som ofta delar sig, såsom dem i benmärgen.



Den aktiva substansen i Fanskya, mozafankogen autotemcel, skulle beredas med hjälp av patientens egna blodstamceller (celler som kan utvecklas till olika typer av blodkroppar). Dessa skulle sedan modifieras i ett laboratorium med hjälp av ett virus. I denna process skulle viruset ändras så att det inte kunde spridas i kroppen men däremot kunde leverera en frisk kopia av *FANCA*-genen till blodstamcellerna, så att dessa fick tillbaka sin förmåga att reparera skadat DNA. De modifierade blodstamcellerna skulle föras tillbaka till patienten genom infusion och förväntades därefter transporteras till benmärgen och bilda friska blodkroppar.

Vad har företaget lämnat in som stöd för sin ansökan?

Företaget lämnade in data från tre studier som omfattade 14 barn i åldern 1–7 år med Fanconis anemi typ A. I studierna jämfördes inte Fanskya med något annat läkemedel eller placebo (overksam behandling). Huvudeffektmåttet omfattade tre olika utfall: återupprättande av en normal blodcellsproduktion i benmärgen, korrigerande av genetiska avvikelser i cirkulerande blodkroppar och uppnående av normala nivåer av olika blodkroppar efter behandling med Fanskya.

Hur långt hade utvärderingen kommit när ansökan drogs tillbaka?

Ansökan drogs tillbaka efter att Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) hade utvärderat informationen från företaget och sammanställt frågor till företaget. Vid tidpunkten för återkallandet hade företaget ännu inte besvarat den sista omgången frågor.

Vad rekommenderade EMA vid den tidpunkten?

Efter genomgång av de inlämnade uppgifterna hyste myndigheten vid tidpunkten för återkallandet vissa betänkligheter och ansåg preliminärt att Fanskya inte skulle ha kunnat godkännas för behandling av Fanconis anemi typ A.

EMA hyste betänkligheter om läkemedlets potentiella säkerhet, eftersom resultaten som visar hur många kopior av *FANCA*-genen som tagit sig in i stamcellerna endast finns tillgängliga efter behandlingen. Detta är viktigt eftersom införandet av ett stort antal genkopior i stamcellerna kan påverka deras funktion. Eftersom den möjliga risken för att genen förändrar cellernas normala funktion inte kan utvärderas fullt ut innan läkemedlet ges till patienten begärde EMA en omfattande riskbedömning.

Även om företaget genomförde flera tester för att bedöma Fanskyas kvalitet innan det ges till patienterna, hyste EMA betänkligheter om huruvida de tillgängliga uppgifterna var tillräckliga för att bekräfta att testerna på ett tillförlitligt sätt bedömde läkemedlets säkerhet och effekt. Ett av huvudmått som används för att kontrollera stamcellernas kvalitet är andelen celler som innehåller markören CD34. EMA hyste dock betänkligheter om gränsvärdena för de stamceller som hade denna markör i Fanskya.

Trots bristen på data om läkemedlets långsiktiga säkerhet verkade Fanskya ha en godtagbar säkerhetsprofil. EMA drog dock slutsatsen att företaget inte på ett övertygande sätt hade visat att fördelarna med Fanskya uppväger riskerna. Denna slutsats grundade sig främst på att läkemedlets kliniska nytta inte befanns vara tydligt fastställd. Osäkerhetsfaktorer i huvudstudien, såsom avsaknaden av jämförelseläkemedel och deltagarnas låga ålder, medförde att EMA vid tidpunkten för återkallandet inte kunde dra robusta slutsatser om huruvida Fanskya kunde ha förhindrat benmargssvikt hos äldre barn än dem som deltog i testerna. EMA hyste också betänkligheter om genomförbarheten av de föreslagna åtgärderna i syfte att samla in omfattande uppgifter efter utsläppandet på marknaden för att uppfylla kriterierna för ett villkorligt godkännande för försäljning.

Vid tidpunkten för återkallandet ansåg därför EMA att företaget inte hade bemött dess betänkligheter till fullo och att nyttan med Fanskya inte kunde påvisas.

Vilka skäl angav företaget till att dra tillbaka sin ansökan?

I [skrivelsen](#) till EMA om att ansökan återkallas uppgav företaget att även om det förväntades bemöta myndighetens betänkligheter på ett tillfredsställande sätt, drogs ansökan tillbaka enbart av affärsmässiga skäl.

Påverkar detta återkallande patienter som deltar i kliniska prövningar?

Företaget informerade EMA om att återkallandet inte får några följder för patienter som deltar i kliniska prövningar med Fanskya.

Om du eller ditt barn deltar i en klinisk prövning och behöver mer information om din eller ditt barns behandling bör du kontakta läkaren i den kliniska prövningen.