



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/373006/2025
EMA/H/C/006525

Waskyra (*etuvetidigene autotemcel*)

Общ преглед на Waskyra и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Waskyra и за какво се използва?

Waskyra е лекарство за лечение на хора на възраст 6 месеца и повече със синдром на Wiskott-Aldrich (WAS), които имат мутация в гена WAS. Използва се за лечение на пациенти, за които е подходяща трансплантация на хемопоеични стволови клетки, но за които няма подходящ донор на стволови клетки.

Синдромът на Wiskott-Aldrich се причинява от аномалии в гена, който произвежда протеина WAS, който се намира в кръвните клетки и някои клетки на имунната система (естествените защитни сили на организма). Хората със синдром на Wiskott-Aldrich лесно се нараняват и кървят, тъй като имат твърде малко нормални тромбоцити (компоненти, които помагат за съсирването на кръвта); имат също чести инфекции, тъй като имат твърде малко нормални имунни клетки, което би могло да доведе до сепсис (когато бактериите и токсините им циркулират в кръвта и започват да увреждат органите). Освен това има по-висок риск от развитие на някои видове рак, например лимфом.

Синдромът на Wiskott-Aldrich се счита за рядко заболяване и Waskyra е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 6 юни 2012 г.

Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта на ЕМА](#).

Waskyra съдържа активното вещество етуветидиген автотемцел (*etuvetidigene autotemcel*), което се състои от генетично модифицирани стволови клетки, взети от собствената кръв на пациента.

Как се използва Waskyra?

Waskyra се отпуска по лекарско предписание и трябва да се прилага в сертифициран център за лечение от лекар с опит в прилагането на това лекарство и с опит в трансплантацията на стволови клетки.

Waskyra се приготвя индивидуално за всеки пациент от извлечени от собствената кръв стволови клетки и е предназначен само за пациента, за който е приготвен. Прилага се еднократно чрез инфузия (вливане) във вена. Преди да бъде приложен Waskyra, пациентът ще бъде подложен на кондициониращо (подготвително) лечение за изчистване на костния мозък от клетки.

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



За повече информация относно употребата на Waskyra вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Waskyra?

Waskyra се произвежда от стволови клетки (наречени CD34⁺ клетки), които се вземат от кръвта на пациента. Клетките са генетично модифицирани в лабораторията, така че да могат да произвеждат функционален WAS протеин. Когато бъдат трансплантирани обратно на пациента, модифицираните клетки мигрират към костния мозък, където започват да произвеждат здрава кръв и имунни клетки, които произвеждат функционален WAS протеин, като по този начин спомагат за облекчаване на симптомите на заболяването.

Какви ползи от Waskyra са установени в проучванията?

Ползите от Waskyra са показани в програма за клинично разработване, включваща общо 27 пациенти със синдром на Wiskott-Aldrich. Те включват 10 деца на възраст между 1 и 9 години в основното проучване и 17 пациенти на възраст между 1 и 35 години от друго клинично проучване и програма за разширен достъп (когато на хора със сериозно заболяване, за което няма разрешено лечение, се прилага изпитвано лекарство извън клинично проучване).

Като цяло данните показват, че Waskyra е ефективен за намаляване на появата на тежки инфекции и епизоди на кървене.

Средният брой на тежките инфекции годишно намалява от 2,0 събития през 12-те месеца преди лечението до 0,12 събития през 2—3 години след лечението с Waskyra. По подобен начин средният брой на епизодите на умерено и тежко кървене годишно намалява от 2,0 събития през 12-те месеца преди лечението до 0,16 събития през 2—3 години след лечението с Waskyra.

Какви са рисковете, свързани с Waskyra?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Waskyra вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции, съобщени при хора, лекувани с Waskyra, се дължат на процедурите и предварителните лечения, необходими за приемане на лекарството, като например кондиционираща схема, и на условията в центъра на приложение (инфекции, свързани с устройството за инфузия, кървене на мястото на катетъра).

Waskyra не трябва да се прилага на хора, които преди това са били подложени на трансплантация на хемопоеични стволови клетки от донор и все още имат донорски клетки в кръвта си, или на хора, които преди това са били подложени на генна терапия с хемопоеични стволови клетки (лечение, при което стволовите клетки на пациента се вземат и генетично модифицират и след това се връщат на пациента).

Защо Waskyra е разрешен за употреба в ЕС?

Хората със синдром на Wiskott-Aldrich, при които трансплантацията на хемопоеични стволови клетки е подходяща, но които нямат съвместим донор на стволови клетки, имат намалена очаквана продължителност на живота. Към момента на разрешаването на Waskyra е имало нужда от ефективни лечения за тези пациенти.

Лечението с Waskyra води до значително намаляване на тежките инфекции и епизодите на умерено до тежко кървене, които се поддържат дълго време. Безопасността на лекарството се счита за приемлива със съответните предпазни мерки и мерки за наблюдение, описани в

информацията за продукта. Въпреки че такива случаи не са наблюдавани досега, би могъл да съществува теоретичен риск от рак, предизвикан от непредвидени промени в генетичния материал. Въведени са мерки за наблюдение на такива събития чрез 15-годишно дългосрочно проучване за по-добро характеризиране на безопасността на Waskyra.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Waskyra са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Waskyra?

Фирмата, която предлага Waskyra, ще проведе и предостави резултатите от проучване за допълнителна оценка на дългосрочната безопасност и ефективност на лекарството. Фирмата ще предостави също обучителни материали за медицинските специалисти, които се очаква да използват лекарството, с информация за неговата безопасност, включително потенциалния риск от рак и значението на наблюдението и дългосрочното проследяване на хората, лекувани с Waskyra. Пациентите и лицата, полагащи грижи, ще получат също така образователни материали с информация за това кога да се свържат със своя лекар в случай на опасения или предполагаеми нежелани реакции, как да съобщават за нежелани реакции и значението на редовното и дългосрочно наблюдение.

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Waskyra, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени също в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Waskyra непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Waskyra, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Waskyra:

Допълнителна информация за Waskyra можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.