



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigen autotemcel*)

Přehled pro přípravek Waskyra a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Waskyra a k čemu se používá?

Waskyra je léčivý přípravek určený k léčbě osob ve věku od 6 měsíců s Wiskottovým-Aldrichovým syndromem (WAS), které mají mutaci v genu WAS. Používá se k léčbě pacientů, u nichž je vhodná transplantace hematopoetických (krvetočných) kmenových buněk, ale není pro ně k dispozici žádný vhodný dárce kmenových buněk.

Wiskottův-Aldrichův syndrom je způsoben abnormalitami v genu, který produkuje protein (bílkovinu) WAS, jenž se nachází v krvinkách a v některých buňkách imunitního systému (přirozeného obranného systému těla). Osobám trpícím Wiskottovým-Aldrichovým syndromem se snadno tvoří modřiny a snadno krvácejí, protože mají příliš málo normálních krevních destiček (složek, které napomáhají srážení krve). Často trpí také infekcemi, neboť mají příliš málo normálních imunitních buněk, což může vést k sepsi (stav, kdy bakterie a jejich toxiny obíhají v krvi a začínají poškozovat orgány). Kromě toho u nich existuje vyšší riziko rozvoje některých typů nádorových onemocnění, jako je lymfom.

Wiskottův-Aldrichův syndrom je vzácné onemocnění a přípravek Waskyra byl označen dne 6. června 2012 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Waskyra obsahuje léčivou látku etuvetidigen autotemcel, která se skládá z geneticky modifikovaných kmenových buněk odebraných z vlastní krve pacienta.

Jak se přípravek Waskyra používá?

Výdej přípravku Waskyra je vázán na lékařský předpis. Přípravek musí být podáván ve kvalifikovaném zdravotnickém zařízení lékařem, který je vyškolen k podávání tohoto léčivého přípravku a má zkušenosti s transplantací kmenových buněk.

Přípravek Waskyra se připravuje pro každého pacienta zvlášť, a to z kmenových buněk odebraných z jeho krve. Smí se podat pouze pacientovi, pro kterého byl připraven. Podává se formou jednorázové infuze (kapání) do žíly. Před podáním přípravku Waskyra pacient podstoupí přípravnou léčbu za účelem očištění kostní dřeně od abnormálních buněk.

Více informací o používání přípravku Waskyra naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

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



Jak přípravek Waskyra působí?

Přípravek Waskyra se vyrábí z kmenových buněk (nazývaných buňky CD34+), které jsou odebírány z krve pacienta. Tyto buňky jsou v laboratoři geneticky modifikovány, aby mohly produkovat funkční protein WAS. Po transplantaci zpět do těla pacienta migrují modifikované buňky do kostní dřeně, kde začnou vytvářet zdravé krvinky a imunitní buňky, které produkují funkční protein WAS, a pomáhají tak zmírňovat příznaky onemocnění.

Jaké přínosy přípravku Waskyra byly prokázány v průběhu studií?

Přínosy přípravku Waskyra byly prokázány v klinickém vývojovém programu, do kterého bylo zařazeno celkem 27 pacientů s Wiskottovým-Aldrichovým syndromem. Jednalo se o 10 dětí ve věku od 1 do 9 let zařazených do hlavní studie a 17 pacientů ve věku od 1 do 35 let zařazených do jiné klinické studie a programu rozšířeného přístupu (kdy je osobám se závažným onemocněním, pro které neexistuje žádná schválená léčba, podáván hodnocený léčivý přípravek mimo klinickou studii).

Celkově údaje ukázaly, že přípravek Waskyra je účinný při snižování výskytu závažných infekcí a krvácivých příhod.

Průměrný počet závažných infekcí za rok se snížil z 2,0 během 12 měsíců před léčbou na 0,12 během 2–3 let po léčbě přípravkem Waskyra. Podobně se průměrný počet středně závažných a závažných krvácivých příhod za rok snížil z 2,0 během 12 měsíců před léčbou na 0,16 během 2–3 let po léčbě přípravkem Waskyra.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Waskyra?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Waskyra je uveden v příbalové informaci.

Nejčastější nežádoucí účinky hlášené u osob léčených přípravkem Waskyra byly způsobeny postupem a přípravnou léčbou potřebnou k podání tohoto léčivého přípravku, jako je přípravný režim, jakož i reakcemi v místě aplikace léčivého přípravku (infekce související s infuzním zařízením, krvácení v místě katétru).

Přípravek Waskyra nesmí být podáván osobám, které již dříve podstoupily transplantaci hematopoetických kmenových buněk od dárce a stále mají dárce buňky v krvi, ani osobám, které již dříve podstoupily genovou terapii připravenou z krvetvorných kmenových buněk (léčbu, při níž jsou pacientovy kmenové buňky odebrány a geneticky modifikovány a poté vráceny do jeho těla).

Na základě čeho byl přípravek Waskyra registrován v EU?

Osoby trpící Wiskottovým-Aldrichovým syndromem, pro které je vhodná transplantace hematopoetických kmenových buněk, ale není pro ně k dispozici žádný kompatibilní dárce kmenových buněk, mají kratší střední délku života. V době registrace přípravku Waskyra byla účinná léčba těchto pacientů zapotřebí.

Léčba přípravkem Waskyra vedla ke značnému snížení počtu závažných infekcí a středně závažných až závažných krvácivých příhod a tento přínos přetrvával dlouhodobě. Bezpečnost léčivého přípravku byla považována za přijatelnou, přičemž v informacích o přípravku byla popsána příslušná bezpečnostní opatření a opatření pro sledování. Teoreticky může existovat riziko rozvoje nádorového onemocnění v důsledku nezamýšlených změn v genetickém materiálu, žádný takový případ však nebyl dosud zaznamenán. Jsou zavedena opatření ke sledování těchto rizik prostřednictvím 15leté dlouhodobé studie, která má lépe charakterizovat bezpečnost přípravku Waskyra.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Waskyra převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Waskyra?

Společnost, která přípravek Waskyra dodává na trh, provede studii s cílem dále posoudit dlouhodobou bezpečnost a účinnost tohoto léčivého přípravku a předloží její výsledek. Společnost rovněž poskytne zdravotnickým pracovníkům, u nichž se očekává, že budou tento léčivý přípravek používat, edukační materiály s informacemi o jeho bezpečnosti, včetně možného rizika rozvoje nádorového onemocnění, a o důležitosti monitorování a dlouhodobého sledování osob léčených přípravkem Waskyra. Také pacienti a pečovatelé obdrží edukační materiály s informacemi o tom, kdy se obrátit na ošetřujícího lékaře v případě obav nebo podezření na nežádoucí účinky, jak hlásit nežádoucí účinky a o důležitosti pravidelného a dlouhodobého sledování.

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Waskyra, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienti.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Waskyra průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Waskyra jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Waskyra

Další informace o přípravku Waskyra jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.