



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigen autotemcel*)

En oversigt over Waskyra, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Waskyra, og hvad anvendes det til?

Waskyra er et lægemiddel til behandling af personer på 6 måneder og derover med Wiskott-Aldrich-syndrom (WAS), som har en mutation i WAS-genet. Det anvendes til behandling af patienter, som bør gennemgå en transplantation af hæmatopoietiske stamceller, men hvor der ikke findes en egnet donor af stamceller.

Wiskott-Aldrich-syndrom skyldes abnormiteter i det gen, der producerer WAS-proteinet, som findes i blodceller og visse celler i immunforsvaret. Personer med Wiskott-Aldrichs syndrom får let blåmærker og bløder let, fordi de har for få normale blodplader (komponenter, der hjælper blodet med at størkne). De har også hyppige infektioner, fordi de har for få normale immunceller, hvilket kan føre til sepsis (når bakterier og giftstoffer cirkulerer rundt i blodet og beskadiger organerne). Desuden er der en højere risiko for at udvikle visse former for kræft, f.eks. lymfom.

Wiskott-Aldrich-syndrom er sjælden, og Waskyra blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 6. juni 2012. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme på [EMA's websted](#).

Waskyra indeholder det aktive stof etuvetidigene autotemcel, som består af genetisk modificerede stamceller taget fra patientens eget blod.

Hvordan anvendes Waskyra?

Waskyra fås kun på recept og skal gives på en specialklinik af en læge, der er uddannet til at give dette lægemiddel, og som har erfaring med stamcelletransplantation.

Waskyra fremstilles individuelt til hver patient af stamceller fra deres blod, og må kun gives til den patient, som det er fremstillet til. Det gives én gang ved infusion (drop) i en vene. Inden Waskyra gives, vil patienten modtage konditionerende (forberedende) behandling for at rense knoglemarven for celler.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Waskyra, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

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



Hvordan virker Waskyra?

Waskyra fremstilles af stamceller (såkaldte CD34+-celler), der opsamles fra patientens blod. Cellerne genmodificeres i et laboratorium, så de kan producere et funktionelt WAS-protein. Når de modificerede celler transplanteres tilbage til patienten, migrerer de til knoglemarven, hvor de begynder at danne sunde blod- og immunceller, der producerer et funktionelt WAS-protein, hvorved symptomerne på sygdommen mindskes.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Waskyra?

Fordele ved Waskyra blev påvist i et klinisk udviklingsprogram, der omfattede i alt 27 patienter med Wiskott-Aldrich-syndrom. Disse omfattede 10 børn mellem 1 og 9 år i hovedstudiet og 17 patienter mellem 1 og 35 år fra et andet klinisk studie og et program for udvidet adgang (når personer med en alvorlig sygdom, for hvilken der ikke er nogen godkendt behandling, får et forsøgslægemiddel uden for et klinisk studie).

Samlet set viste dataene, at Waskyra er effektivt til at reducere forekomsten af alvorlige infektioner og blødningsepisoder.

Det gennemsnitlige antal alvorlige infektioner pr. år faldt fra 2,0 hændelser i de 12 måneder før behandlingen til 0,12 hændelser i de 2-3 år efter behandling med Waskyra. Tilsvarende faldt det gennemsnitlige antal moderate og svære blødningsepisoder pr. år fra 2,0 hændelser i de 12 måneder før behandlingen til 0,16 hændelser i de 2-3 år efter behandling med Waskyra.

Hvilke risici er der forbundet med Waskyra?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Waskyra fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger, der blev indberettet hos personer, der blev behandlet med Waskyra, skyldtes de procedurer og forbehandling, der var nødvendige for at få lægemidlet, såsom konditionering, og forholdene på administrationsstedet (infektioner relateret til infusionsudstyret, blødning på kateterstedet).

Waskyra må ikke gives til personer, der tidligere har fået en transplantation med hæmatopoietiske stamceller fra en donor, og som stadig har donorceller i deres blod, eller til personer, der tidligere har fået hæmatopoietisk stamcellegenterapi (en behandling, hvor patientens stamceller indsamles og genmodificeres og derefter returneres til patienten).

Hvorfor er Waskyra godkendt i EU?

Personer med Wiskott-Aldrich-syndrom, for hvem transplantation af hæmatopoietiske stamceller er hensigtsmæssig, men som ikke har nogen kompatibel stamcelledonor, har en nedsat forventet levetid. På tidspunktet for godkendelsen af Waskyra var der behov for effektive behandlinger for disse patienter.

Behandling med Waskyra resulterede i en betydelig og langvarig reduktion af svære infektioner og moderate til svære blødningsepisoder. Lægemidlets sikkerhed blev anset for acceptabel med de relevante forholdsregler og foranstaltninger til overvågning, der er beskrevet i produktinformationen. Der kan være en teoretisk risiko for kræft som følge af utilsigtede ændringer i det genetiske materiale, men der er endnu ikke konstateret sådanne tilfælde. Der er truffet foranstaltninger til at overvåge sådanne tilfælde gennem et 15-årigt langtidsstudie for bedre at klarlægge sikkerheden ved Waskyra.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Waskyra opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Waskyra anvendes sikkert og effektivt?

Virksomheden, der markedsfører Waskyra, vil gennemføre og fremlægge resultatet af et studie for yderligere at vurdere lægemidlets sikkerhed og virkning på lang sigt. Virksomheden vil også udlevere oplysningsmateriale til sundhedspersoner, der forventes at anvende lægemidlet, med oplysninger om dets sikkerhed, herunder den potentielle risiko for kræft og betydningen af overvågning og langsigtet opfølgning af personer, der behandles med Waskyra. Patienter og omsorgspersoner vil også modtage oplysningsmateriale med oplysninger om, hvornår de skal kontakte deres læge i tilfælde af betænkeligheder eller formodede bivirkninger, hvordan bivirkninger skal indberettes, og vigtigheden af regelmæssig og langsigtet overvågning.

Der er desuden anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Waskyra anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Waskyra løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Waskyra vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Waskyra

Yderligere information om Waskyra findes på agenturets websted:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.