



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*Etuvetidigen autotemcel*)

Übersicht über Waskyra und warum es in der EU zugelassen ist

Was ist Waskyra und wofür wird es angewendet?

Waskyra ist ein Arzneimittel zur Behandlung von Personen ab einem Alter von 6 Monaten mit dem Wiskott-Aldrich-Syndrom (WAS), die eine Mutation im WAS-Gen aufweisen. Es wird zur Behandlung von Patienten angewendet, für die eine hämatopoetische Stammzelltransplantation angemessen ist, für die jedoch kein geeigneter Stammzellspender zur Verfügung steht.

Das Wiskott-Aldrich-Syndrom wird durch Anomalien im Gen verursacht, das das WAS-Protein erzeugt, das in Blutzellen und bestimmten Zellen des Immunsystems (der natürlichen Abwehr des Körpers) vorkommt. Personen mit Wiskott-Aldrich-Syndrom weisen eine Neigung zu Blutergüssen und Blutungen auf, da sie zu wenige normale Blutplättchen (Bestandteile des Blutes, die zur Blutgerinnung beitragen) haben; sie weisen außerdem häufig Infektionen auf, da sie zu wenige normale Immunzellen haben, was zu Sepsis führen kann (wenn Bakterien und ihre Toxine im Blut zirkulieren und beginnen, die Organe zu schädigen). Darüber hinaus besteht ein höheres Risiko, an einigen Krebsarten wie Lymphomen zu erkranken.

Das Wiskott-Aldrich-Syndrom ist selten, und Waskyra wurde am 6. Juni 2012 als Arzneimittel für seltene Leiden („Orphan-Arzneimittel“) ausgewiesen. Weitere Informationen zur Ausweisung als Arzneimittel für seltene Leiden finden Sie auf den [Internetseiten](#) der EMA.

Waskyra enthält den Wirkstoff Etuvetidigen autotemcel, der aus genetisch veränderten Stammzellen aus dem eigenen Blut des Patienten besteht.

Wie wird Waskyra angewendet?

Waskyra ist nur auf ärztliche Verschreibung erhältlich und muss in einem qualifizierten Behandlungszentrum von einem in der Anwendung dieses Arzneimittels geschulten Arzt mit Erfahrung in der Stammzelltransplantation verabreicht werden.

Waskyra wird für jeden Patienten einzeln aus Stammzellen hergestellt, die aus seinem Blut gewonnen wurden, und darf nur dem Patienten verabreicht werden, für den es hergestellt wurde. Es wird einmal als Tropfinfusion in eine Vene verabreicht. Vor der Gabe von Waskyra wird der Patient einer Konditionierungsbehandlung (vorbereitenden Behandlung) unterzogen, um alle Zellen aus seinem Knochenmark zu entfernen.

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



Weitere Informationen zur Anwendung von Waskyra entnehmen Sie der Packungsbeilage, oder wenden Sie sich an Ihren Arzt oder Apotheker.

Wie wirkt Waskyra?

Waskyra wird aus Stammzellen (sogenannten CD34+-Zellen) hergestellt, die aus dem Blut des Patienten gewonnen werden. Die Zellen werden im Labor genetisch modifiziert, sodass sie ein funktionierendes WAS-Protein produzieren können. Nach der Rücktransplantation in den Patienten wandern die modifizierten Zellen zum Knochenmark, wo sie beginnen, gesunde Blut- und Immunzellen zu bilden, die ein funktionelles WAS-Protein produzieren. Dies trägt dazu bei, die Symptome der Erkrankung zu lindern.

Welchen Nutzen hat Waskyra in den Studien gezeigt?

Der Nutzen von Waskyra wurde in einem klinischen Entwicklungsprogramm gezeigt, an dem insgesamt 27 Patienten mit Wiskott-Aldrich-Syndrom teilnahmen. Dieses Programm umfasste 10 Kinder im Alter von 1 bis 9 Jahren in der Hauptstudie und 17 Patienten im Alter von 1 bis 35 Jahren aus einer anderen klinischen Studie und einem Programm für erweiterten Zugang (wenn Personen mit einer schweren Erkrankung, für die es keine zugelassene Behandlung gibt, außerhalb einer klinischen Studie ein Prüfpräparat erhalten).

Insgesamt zeigten die Daten, dass Waskyra das Auftreten schwerer Infektionen und von Blutungsepisoden wirksam reduziert.

Die durchschnittliche Anzahl schwerer Infektionen pro Jahr sank von 2,0 Ereignissen in den 12 Monaten vor der Behandlung auf 0,12 Ereignisse in den 2 bis 3 Jahren nach der Behandlung mit Waskyra. In ähnlicher Weise sank die durchschnittliche Anzahl der mittelschweren und schweren Blutungsepisoden pro Jahr von 2,0 Ereignissen in den 12 Monaten vor der Behandlung auf 0,16 Ereignisse in den 2 bis 3 Jahren nach der Behandlung mit Waskyra.

Welche Risiken sind mit Waskyra verbunden?

Die vollständige Auflistung der im Zusammenhang mit Waskyra berichteten Nebenwirkungen und Einschränkungen ist der Packungsbeilage zu entnehmen.

Sehr häufige Nebenwirkungen, die bei mit Waskyra behandelten Personen berichtet wurden, standen im Zusammenhang mit den für die Verabreichung des Arzneimittels erforderlichen Verfahren und Vorbehandlungen, wie z. B. das Konditionierungsschema, sowie mit Beschwerden am Verabreichungsort (Infektionen im Zusammenhang mit dem Infusionsgerät, Blutungen an der Katheterstelle) zurückzuführen.

Waskyra darf nicht bei Personen angewendet werden, die zuvor eine hämatopoetische Stammzelltransplantation von einem Spender erhalten haben und noch Spenderzellen in ihrem Blut haben, oder bei Personen, die zuvor eine hämatopoetische Stammzellgentherapie (eine Behandlung, bei der dem Patienten Stammzellen entnommen werden, wobei diese Zellen genetisch verändert und anschließend wieder dem Patienten zugeführt werden) erhalten haben.

Warum wurde Waskyra in der EU zugelassen?

Personen mit dem Wiskott-Aldrich-Syndrom, für das eine hämatopoetische Stammzelltransplantation angemessen ist, für die jedoch kein kompatibler Stammzellspender zur Verfügung steht, haben eine geringe Lebenserwartung. Zum Zeitpunkt der Zulassung von Waskyra bestand Bedarf an wirksamen Behandlungen für diese Patienten.

Die Behandlung mit Waskyra führte zu einer erheblichen Verringerung schwerer Infektionen und mittelschwerer bis schwerer Blutungsepisoden, die über einen langen Zeitraum aufrechterhalten wird. Die Sicherheit des Arzneimittels wurde mit den in der Produktinformation beschriebenen einschlägigen Vorsichts- und Überwachungsmaßnahmen als akzeptabel erachtet. Es könnte ein theoretisches Risiko einer Krebserkrankung bestehen, die durch unbeabsichtigte Veränderungen des genetischen Materials verursacht wird, obwohl bisher keine derartigen Fälle beobachtet wurden. Es wurden Maßnahmen zur Überwachung solcher Ereignisse im Rahmen einer Langzeitstudie über 15 Jahre ergriffen, um die Sicherheit von Waskyra besser zu charakterisieren.

Die Europäische Arzneimittel-Agentur gelangte daher zu dem Schluss, dass der Nutzen von Waskyra gegenüber den Risiken überwiegt und dass es in der EU zugelassen werden kann.

Welche Maßnahmen werden zur Gewährleistung der sicheren und wirksamen Anwendung von Waskyra ergriffen?

Das Unternehmen, das Waskyra in Verkehr bringt, wird eine Studie zur weiteren Beurteilung der langfristigen Sicherheit und Wirksamkeit des Arzneimittels durchführen und deren Ergebnis vorlegen. Das Unternehmen wird außerdem Schulungsmaterialien für Angehörige der Heilberufe, die das Arzneimittel voraussichtlich anwenden werden, mit Informationen über seine Sicherheit bereitstellen, einschließlich des potenziellen Krebsrisikos und der Bedeutung der Überwachung und langfristigen Nachbeobachtung von mit Waskyra behandelten Personen. Patienten und Betreuungspersonen erhalten außerdem Schulungsmaterialien mit Informationen darüber, wann sie im Falle von Bedenken oder vermuteten Nebenwirkungen ihren Arzt kontaktieren müssen, wie Nebenwirkungen zu melden sind und wie wichtig eine regelmäßige und langfristige Überwachung ist.

Empfehlungen und Vorsichtsmaßnahmen zur sicheren und wirksamen Anwendung von Waskyra, die von Angehörigen der Heilberufe und Patienten befolgt werden müssen, wurden auch in die Zusammenfassung der Merkmale des Arzneimittels und die Packungsbeilage aufgenommen.

Wie bei allen Arzneimitteln werden Daten zur Anwendung von Waskyra kontinuierlich überwacht. Gemeldete Verdachtsfälle von Nebenwirkungen von Waskyra werden sorgfältig ausgewertet und alle notwendigen Maßnahmen zum Schutz der Patienten ergriffen.

Weitere Informationen über Waskyra

Weitere Informationen zu Waskyra finden Sie auf den Internetseiten der Agentur:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.