



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigene autotemcel*)

Ανασκόπηση του Waskyra και αιτιολογικό έγκρισης στην ΕΕ

Τι είναι το Waskyra και σε ποιες περιπτώσεις χρησιμοποιείται;

Το Waskyra είναι φάρμακο για τη θεραπεία ατόμων ηλικίας 6 μηνών και άνω με σύνδρομο Wiskott-Aldrich (WAS) που φέρουν μετάλλαξη στο γονίδιο WAS. Χρησιμοποιείται για τη θεραπεία ασθενών για τους οποίους είναι κατάλληλη η μεταμόσχευση αιμοποιητικών αρχέγονων κυττάρων, αλλά για τους οποίους δεν υπάρχει διαθέσιμος κατάλληλος δότης αρχέγονων κυττάρων.

Το σύνδρομο Wiskott-Aldrich προκαλείται από ανωμαλίες στο γονίδιο που παράγει την πρωτεΐνη WAS, η οποία υπάρχει στα αιμοσφαίρια και σε ορισμένα κύτταρα του ανοσοποιητικού συστήματος (της φυσικής άμυνας του οργανισμού). Τα άτομα με σύνδρομο Wiskott-Aldrich εμφανίζουν μώλωπες και αιμορραγούν εύκολα επειδή έχουν πολύ λίγα φυσιολογικά αιμοπετάλια (συστατικά του αίματος που συμμετέχουν στην πήξη του). Επίσης, πάσχουν από συχνές λοιμώξεις επειδή έχουν πολύ λίγα φυσιολογικά ανοσοκύτταρα, οι οποίες θα μπορούσαν να οδηγήσουν σε σήψη (όταν τα βακτήρια και οι τοξίνες τους κυκλοφορούν στο αίμα και αρχίζουν να προκαλούν βλάβες στα όργανα). Επιπλέον, υπάρχει μεγαλύτερος κίνδυνος ανάπτυξης ορισμένων τύπων καρκίνου, όπως το λέμφωμα.

Το σύνδρομο Wiskott-Aldrich είναι «σπάνιο» και το Waskyra χαρακτηρίστηκε «ορφανό φάρμακο» (φάρμακο που χρησιμοποιείται σε σπάνιες παθήσεις) στις 6 Ιουνίου 2012. Περισσότερες πληροφορίες για τον χαρακτηρισμό ενός φαρμάκου ως ορφανού μπορείτε να βρείτε στον [δικτυακό τόπο του EMA](#).

Το Waskyra περιέχει τη δραστική ουσία etuvetidigene autotemce, η οποία αποτελείται από γενετικώς τροποποιημένα αιμοποιητικά αρχέγονα κύτταρα που λαμβάνονται από το αίμα του ίδιου του ασθενούς.

Πώς χρησιμοποιείται το Waskyra;

Το Waskyra χορηγείται μόνο με ιατρική συνταγή και πρέπει να χορηγείται σε εξειδικευμένο κέντρο θεραπείας από γιατρό εκπαιδευμένο στη χορήγηση αυτού του φαρμάκου και με εμπειρία στη μεταμόσχευση αιμοποιητικών αρχέγονων κυττάρων.

Το Waskyra παρασκευάζεται ξεχωριστά για κάθε ασθενή από αρχέγονα κύτταρα που συλλέγονται από το αίμα του ασθενούς και πρέπει να χορηγείται μόνο στον ασθενή για τον οποίο παρασκευάζεται. Χορηγείται εφάπαξ με ενδοφλέβια έγχυση (στάγδην χορήγηση). Πριν από τη χορήγηση του Waskyra, ο ασθενής θα υποβληθεί σε θεραπεία προετοιμασίας για τον καθαρισμό του μυελού των οστών του από τα κύτταρα.

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



Για περισσότερες πληροφορίες σχετικά με τη χρήση του Waskyra, συμβουλευθείτε το φύλλο οδηγιών χρήσης ή επικοινωνήστε με τον γιατρό ή τον φαρμακοποιό σας.

Πώς δρα το Waskyra;

Το Waskyra παρασκευάζεται από αρχέγονα κύτταρα (που ονομάζονται CD34+ κύτταρα) τα οποία συλλέγονται από το αίμα του ασθενούς. Τα κύτταρα τροποποιούνται γενετικά στο εργαστήριο έτσι ώστε να μπορούν να παράγουν μια λειτουργική πρωτεΐνη WAS. Όταν μεταμοσχεύονται στον ασθενή, τα τροποποιημένα κύτταρα μεταναστεύουν στον μυελό των οστών, όπου αρχίζουν να παράγουν υγιή αιμοσφαίρια και ανοσοποιητικά κύτταρα τα οποία παράγουν λειτουργική πρωτεΐνη WAS, συμβάλλοντας έτσι στην ανακούφιση των συμπτωμάτων της νόσου.

Ποια είναι τα οφέλη του Waskyra σύμφωνα με τις μελέτες;

Τα οφέλη του Waskyra καταδείχθηκαν στο πλαίσιο προγράμματος κλινικής ανάπτυξης στο οποίο συμμετείχαν συνολικά 27 ασθενείς με σύνδρομο Wiskott-Aldrich. Μεταξύ των εν λόγω ασθενών περιλαμβάνονται 10 παιδιά ηλικίας 1 έως 9 ετών που μετείχαν σε μια κύρια μελέτη, και 17 ασθενείς ηλικίας 1 έως 35 ετών που μετείχαν σε μια άλλη κλινική μελέτη καθώς και σε ένα πρόγραμμα διευρυμένης πρόσβασης (όταν άτομα με σοβαρή πάθηση για την οποία δεν υπάρχει εγκεκριμένη θεραπεία λαμβάνουν υπό έρευνα φάρμακο εκτός κλινικής μελέτης).

Συνολικά, τα δεδομένα κατέδειξαν ότι το Waskyra είναι αποτελεσματικό στη μείωση της εμφάνισης σοβαρών λοιμώξεων και αιμορραγικών επεισοδίων.

Ο μέσος αριθμός σοβαρών λοιμώξεων ανά έτος μειώθηκε από 2,0 συμβάντα κατά τους 12 μήνες πριν από τη θεραπεία σε 0,12 συμβάντα κατά τα 2-3 έτη μετά τη θεραπεία με Waskyra. Ομοίως, ο μέσος αριθμός των μέτριων και σοβαρών αιμορραγικών επεισοδίων ανά έτος μειώθηκε από 2,0 συμβάντα κατά τους 12 μήνες πριν από τη θεραπεία σε 0,16 συμβάντα κατά τα 2-3 έτη μετά τη θεραπεία με Waskyra.

Ποιοι κίνδυνοι συνδέονται με το Waskyra;

Ο πλήρης κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών και των περιορισμών που αναφέρθηκαν με το Waskyra περιλαμβάνεται στο φύλλο οδηγιών χρήσης.

Οι συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρθηκαν σε άτομα που έλαβαν Waskyra οφείλονταν στις διαδικασίες και τις προθεραπίες που απαιτούνται για τη λήψη του φαρμάκου, όπως το σχήμα προετοιμασίας, καθώς και στις καταστάσεις στη θέση χορήγησης (λοιμώξεις που σχετίζονται με τη συσκευή έγχυσης, αιμορραγία στη θέση του καθετήρα).

Το Waskyra δεν πρέπει να χορηγείται σε άτομα που έχουν προηγουμένως υποβληθεί σε μεταμόσχευση αιμοποιητικών αρχέγονων κυττάρων από δότη και εξακολουθούν να έχουν κύτταρα του δότη στο αίμα τους, ή σε άτομα που έχουν προηγουμένως υποβληθεί σε γονιδιακή θεραπεία αιμοποιητικών αρχέγονων κυττάρων (θεραπεία κατά την οποία τα αρχέγονα κύτταρα του ασθενούς συλλέγονται και τροποποιούνται γενετικά και στη συνέχεια επιστρέφονται πίσω στον ασθενή).

Για ποιους λόγους εγκρίθηκε το Waskyra στην ΕΕ;

Τα άτομα με σύνδρομο Wiskott-Aldrich για τα οποία είναι κατάλληλη η μεταμόσχευση αιμοποιητικών αρχέγονων κυττάρων, αλλά τα οποία δεν διαθέτουν συμβατό δότη αρχέγονων κυττάρων, έχουν μειωμένο προσδόκιμο ζωής. Κατά τον χρόνο χορήγησης της άδειας κυκλοφορίας για το Waskyra, υπήρχε ανάγκη για αποτελεσματικές θεραπείες για τους εν λόγω ασθενείς.

Η θεραπεία με Waskygra οδήγησε σε σημαντική μείωση των σοβαρών λοιμώξεων και των μέτριων έως σοβαρών αιμορραγικών επεισοδίων, η οποία διατηρείται για μεγάλο χρονικό διάστημα. Η ασφάλεια του φαρμάκου θεωρήθηκε αποδεκτή, με τις σχετικές προφυλάξεις και τα μέτρα παρακολούθησης που περιγράφονται στις πληροφορίες προϊόντος. Θεωρητικά ενδέχεται να υπάρχει κίνδυνος εμφάνισης καρκίνου προκαλούμενου από ακούσιες μεταβολές του γενετικού υλικού, αν και έως τώρα δεν έχουν παρατηρηθεί τέτοια περιστατικά. Έχουν ληφθεί μέτρα για την παρακολούθηση αυτών των συμβάντων μέσω μιας μακροχρόνιας μελέτης διάρκειας 15 ετών για τον καλύτερο χαρακτηρισμό της ασφάλειας της Waskygra.

Ως εκ τούτου, ο Ευρωπαϊκός Οργανισμός Φαρμάκων έκρινε ότι τα οφέλη του Waskygra υπερτερούν των διαπιστωθέντων κινδύνων που συνδέονται με αυτό και εισηγήθηκε την έγκριση του εν λόγω φαρμάκου στην ΕΕ.

Ποια μέτρα λαμβάνονται για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Waskygra;

Η εταιρεία που εμπορεύεται το Waskygra θα διενεργήσει και θα υποβάλει το αποτέλεσμα μιας μελέτης για την περαιτέρω αξιολόγηση της μακροπρόθεσμης ασφάλειας και αποτελεσματικότητας του φαρμάκου. Η εταιρεία θα παράσχει επίσης εκπαιδευτικό υλικό στους επαγγελματίες του τομέα της υγείας που αναμένεται να χρησιμοποιήσουν το φάρμακο, με πληροφορίες σχετικά με την ασφάλειά του, συμπεριλαμβανομένου του δυνητικού κινδύνου καρκίνου και της σημασίας της παρακολούθησης και της μακροπρόθεσμης παρακολούθησης των ατόμων που λαμβάνουν θεραπεία με Waskygra. Οι ασθενείς και οι φροντιστές τους θα λαμβάνουν επίσης εκπαιδευτικό υλικό με πληροφορίες σχετικά με το πότε πρέπει να επικοινωνούν με τον γιατρό τους σε περίπτωση ανησυχιών ή πιθανολογούμενων ανεπιθύμητων ενεργειών, τον τρόπο αναφοράς ανεπιθύμητων ενεργειών του φαρμάκου και τη σημασία της τακτικής και μακροπρόθεσμης παρακολούθησης.

Στην περίληψη των χαρακτηριστικών του προϊόντος και στο φύλλο οδηγιών χρήσης συμπεριλήφθηκαν επίσης συστάσεις και πληροφορίες για τις κατάλληλες προφυλάξεις που πρέπει να λαμβάνονται από τους επαγγελματίες του τομέα της υγείας και τους ασθενείς για την ασφαλή και αποτελεσματική χρήση του Waskygra.

Όπως για όλα τα φάρμακα, τα δεδομένα για τη χρήση του Waskygra τελούν υπό συνεχή παρακολούθηση. Οι πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται για το Waskygra θα αξιολογούνται προσεκτικά και θα λαμβάνονται όλα τα απαραίτητα μέτρα για την προστασία των ασθενών.

Λοιπές πληροφορίες για το Waskygra

Περισσότερες πληροφορίες για το Waskygra διατίθενται στον δικτυακό τόπο του Οργανισμού, στη διεύθυνση ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskygra.