



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigén autotemcel*)

Información general sobre Waskyra y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

¿Qué es Waskyra y para qué se utiliza?

Waskyra es un medicamento para el tratamiento de pacientes a partir de 6 meses de edad con síndrome de Wiskott-Aldrich (WAS) que presentan una mutación en el gen WAS. Se utiliza para tratar a pacientes para los que es adecuado un trasplante de precursores hematopoyéticos (células madre), pero para los que no se dispone de un donante de células madre adecuado.

El síndrome de Wiskott-Aldrich se debe a anomalías en el gen que produce la proteína WAS, que se encuentra en las células sanguíneas y en determinadas células del sistema inmunitario (las defensas naturales del organismo). Las personas con síndrome de Wiskott-Aldrich sufren hematomas y hemorragias con facilidad porque tienen un número demasiado reducido de plaquetas normales (componentes que ayudan a que la sangre se coagule); también sufren infecciones frecuentes porque tienen un número demasiado reducido de células inmunitarias normales, lo que podría provocar septicemia (cuando las bacterias y sus toxinas circulan por la sangre y empiezan a dañar los órganos). Además, existe un mayor riesgo de desarrollar algunos tipos de cáncer, como el linfoma.

El síndrome de Wiskott-Aldrich es una enfermedad rara, y Waskyra fue designado «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para tratar enfermedades raras) el 6 de junio de 2012. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web](#) de la EMA.

Waskyra contiene el principio activo etuvetidigén autotemcel, formado por células madre modificadas genéticamente tomadas de la propia sangre del paciente.

¿Cómo se usa Waskyra?

Waskyra solo se podrá dispensar con receta médica y se debe administrar en un centro de tratamiento especializado por un médico con formación en la administración de este medicamento y experiencia en el trasplante de células madre.

Waskyra se elabora de forma individual para cada paciente a partir de células madre extraídas de su propia sangre, y solo se debe administrar al paciente para quien se haya elaborado. Se administra una vez mediante perfusión intravenosa (goteo en una vena). Antes de administrar Waskyra, el paciente recibirá un tratamiento de acondicionamiento (preparatorio) para eliminar las células de la médula ósea.

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



Si desea más información sobre el uso de Waskyra, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

¿Cómo actúa Waskyra?

Waskyra se elabora a partir de células madre (denominadas células CD34+) que se obtienen de la sangre del paciente. Las células se modifican genéticamente en el laboratorio para que puedan producir la proteína WAS funcional. Cuando se trasplantan de nuevo al paciente, las células modificadas migran a la médula ósea, donde empiezan a producir sangre sana y células inmunitarias que producen una proteína WAS funcional, contribuyendo así a aliviar los síntomas de la enfermedad.

¿Qué beneficios ha demostrado tener Waskyra en los estudios realizados?

Los beneficios de Waskyra se demostraron en un programa de desarrollo clínico en el que participaron un total de 27 pacientes con síndrome de Wiskott-Aldrich. Entre los pacientes figuraban 10 niños de entre 1 y 9 años de edad que participaron en el estudio principal y 17 pacientes de entre 1 y 35 años de edad de otro estudio clínico, así como un programa de acceso ampliado (en el que las personas con una afección grave para la que no existe tratamiento autorizado reciben un medicamento en fase de investigación fuera de un estudio clínico).

En general, los datos mostraron que Waskyra es eficaz para reducir la aparición de infecciones graves y episodios hemorrágicos.

El número medio de infecciones graves al año disminuyó de 2,0 acontecimientos en los 12 meses anteriores al tratamiento a 0,12 acontecimientos en los 2-3 años posteriores al tratamiento con Waskyra. Del mismo modo, el número medio de episodios hemorrágicos moderados y graves al año disminuyó de 2,0 acontecimientos en los 12 meses anteriores al tratamiento a 0,16 acontecimientos en los 2-3 años siguientes al tratamiento con Waskyra.

¿Cuáles son los riesgos asociados a Waskyra?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Waskyra se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes notificados en los pacientes tratados con Waskyra se debieron a los procedimientos y tratamientos previos necesarios para recibir el medicamento, como el régimen de acondicionamiento, y a las condiciones del lugar de administración (infecciones relacionadas con el dispositivo de perfusión, hemorragia en el lugar del catéter).

Waskyra no debe administrarse a personas que hayan recibido previamente un trasplante de células madre de un donante y que todavía tengan células del donante en la sangre, ni a personas que hayan recibido previamente terapia génica a partir de células madre (un tratamiento en el que se recogen y modifican genéticamente las células madre del paciente y luego se devuelven al paciente).

¿Por qué se ha autorizado Waskyra en la UE?

Las personas con síndrome de Wiskott-Aldrich para las que es adecuado el trasplante de células madre, pero que no tienen donantes de células madre compatibles, tienen una esperanza de vida reducida. En el momento de la autorización de Waskyra, se necesitaban tratamientos eficaces para estos pacientes.

El tratamiento con Waskyra dio lugar a una reducción considerable de las infecciones graves y de los episodios hemorrágicos de moderados a graves, que se mantienen durante mucho tiempo. La seguridad del medicamento se consideró aceptable, y en la información sobre el producto se describen

las precauciones y medidas de control pertinentes. Podría existir un riesgo teórico de cáncer causado por cambios no deseados en el material genético, aunque hasta la fecha no se han observado casos de este tipo. Existen medidas para controlar estos acontecimientos a través de un estudio a largo plazo de 15 años con el fin de caracterizar mejor la seguridad de Waskyra.

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Waskyra eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Waskyra?

La compañía que comercializa Waskyra llevará a cabo un estudio y facilitará su resultado para evaluar más a fondo la seguridad y la eficacia a largo plazo del medicamento. La compañía también facilitará material educativo a los profesionales sanitarios que previsiblemente vayan a utilizar el medicamento, con información sobre su seguridad, incluido el posible riesgo de cáncer y la importancia de la vigilancia y el seguimiento a largo plazo de las personas tratadas con Waskyra. Los pacientes y cuidadores también recibirán material educativo con información sobre cuándo ponerse en contacto con su médico en caso de dudas o sospechas de efectos adversos, cómo notificar los efectos adversos y la importancia de una vigilancia regular y a largo plazo.

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Waskyra se han incluido también en la ficha técnica o resumen de las características del producto y en el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Waskyra se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Waskyra se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

Otra información sobre Waskyra

Puede encontrar más información sobre Waskyra en la página web de la Agencia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.