



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigeen-autotemtseel*)

Ülevaade ravimist Waskyra ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Waskyra ja milleks seda kasutatakse?

Waskyra on ravim, mida kasutatakse vähemalt 6-kuuliste Wiskotti-Aldrichi sündroomiga (WAS) inimeste raviks, kellel on WAS-geeni mutatsioon. Sellega ravitakse patsiente, kellele sobib vereloome tüvirakkude siirdamine, kuid kelle jaoks ei ole leitud sobivat tüvirakudoonorit.

Wiskotti-Aldrichi sündroomi põhjustavad kõrvalekalded geenis, mis toodab WAS-valku, mida leidub vererakkudes ja immuunsüsteemi (organismi looduslike kaitsemehhanismide) teatavates rakkudes. Wiskotti-Aldrichi sündroomiga inimestel tekivad kergesti verevalumid ja verejooksud, sest neil on liiga vähe normaalseid trombotsüüte (vere hüübimist soodustavaid vererakke). Neil on ka sagedased infektsioonid, sest neil on vähe normaalseid immuunrakke – mis võib põhjustada sepsist (bakterid ja nende toksiidid ringlevad veres ning hakkavad kahjustama elundeid). Lisaks on neil teatud vähiliikide, näiteks lümfoomi suurem tekkerisk.

Wiskotti-Aldrichi sündroom esineb harva ja Waskyra nimetati 6. juunil 2012 harvikravimiks. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on [EMA veebilehel](#).

Waskyra sisaldab toimeainet etuvetidigeen-autotemtseeli, mis koosneb patsiendi enda verest kogutud ja geneetiliselt muundatud tüvirakkudest.

Kuidas Waskyrat kasutatakse?

Waskyra on retseptiravim ja seda peab manustama kvalifitseeritud ravikeskuses tüvirakkude siirdamise kogemusega arst, kes on saanud väljaõppe selle ravimi manustamiseks.

Waskyrat valmistatakse iga patsiendi jaoks eraldi temalt kogutud tüvirakkudest ning seda tohib manustada üksnes patsiendile, kelle jaoks ravim on valmistatud. Ravimit manustatakse ühekordse veeniinfusioonina. Enne Waskyra manustamist tehakse patsiendile konditsioneeriv (ettevalmistav) ravi, mis hävitab tema luuüdirakud.

Lisateavet Waskyra kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Waskyra toimib?

Waskyrat valmistatakse tüvirakkudest (CD34+ rakud), mida kogutakse patsiendi verest. Rakke on laboris geneetiliselt muundatud, et nad saaksid toota toimivat WAS-valku. Kui muundatud rakud

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



siiratakse patsiendile tagasi, liiguvad rakud luuüdissse, kus need hakkavad tootma terveid vererakke ja immuunrakke, mis toodavad toimivat WAS-valku, aidates nii leevendada haiguse sümptomeid.

Mis on uuringute põhjal Waskyra kasulikkus?

Waskyra kasulikkus tõendati kliinilises arendusprogrammis, milles osales kokku 27 Wiskotti-Aldrichi sündroomiga patsienti. Põhiuuringus osales 10 last vanuses 1–9 aastat ning lisaks 17 patsienti vanuses 1–35 aastat teisest kliinilisest uuringust ja laiendatud juurdepääsu programmist (kui raske haigusega inimestele, kelle jaoks ei ole heakskiidetud ravi, manustatakse uuritavat ravimit väljaspool kliinilist uuringut).

Üldiselt tõendasid andmed, et Waskyra on raskete infektsioonide ja verejooksuepisoodide esinemissageduse vähendamisel efektiivne.

Raskete infektsioonide keskmine arv aastas vähenes 2,0 juhtumilt 12 kuu jooksul enne ravi 0,12 juhtumini 2–3 aasta jooksul pärast ravi Waskyraga. Samuti vähenes mõõdukate ja raskete verejooksuepisoodide keskmine arv aastas 2,0 juhtumilt 12 kuu jooksul enne ravi 0,16 juhtumini 2–3 aasta jooksul pärast ravi Waskyraga.

Mis on Waskyra riskid?

Waskyra kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Waskyraga ravitud patsientidel teatatud kõige sagedamad kõrvalnähud olid tingitud ravimi manustamiseks vajalikest protseduuridest ja eelravist, näiteks konditsioneerivast ravist, ning manustamiskoha seisunditest (infusiooniseadmega seotud infektsioonid, verejooks kateetri sisestuskohas).

Waskyrat ei tohi saada patsiendid, kellele on varem siiratud doonori vereloome tüvirakke ja kelle veres on endiselt doonorrakke, ega patsiendid, kes on varem saanud vereloome tüvirakkude geeniravi (ravi, mille käigus patsiendilt kogutakse tüvirakke, rakke muundatakse geneetiliselt ja need tagastatakse seejärel patsiendile).

Miks Waskyra ELis heaks kiideti?

Wiskotti-Aldrichi sündroomiga inimestel, kellele saab siirata vereloome tüvirakke, kuid kelle jaoks ei ole sobivat tüvirakudoonorit, on väiksem oodatav eluiga. Waskyra müügiloo andmise ajal oli nende patsientide jaoks vaja tõhusat ravi.

Ravi Waskyraga vähendas oluliselt ja püsivalt raskete infektsioonide ja mõõdukate kuni raskete verejooksuepisoodide esinemissagedust. Ravimi ohutust peeti vastuvõetavaks ravimiteabes kirjeldatud asjakohaste ettevaatusabinõude ja järelevalvemeetmete järgimisel. Geneetilises materjalis toimunud tahtmatud muutused võivad teoreetiliselt põhjustada vähiriski, kuigi seni ei ole selliseid juhtumeid täheldatud. Kehtestati meetmed selliste juhtumite jälgimiseks pikaajalise 15-aastase uuringu kaudu, et paremini iseloomustada Waskyra ohutust.

Euroopa Ravimiamet otsustas seetõttu, et Waskyra kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Mis meetmed võetakse, et tagada Waskyra ohutu ja efektiivne kasutamine?

Waskyra turustaja korraldab uuringu, et hinnata täiendavalt ravimi pikaajalist ohutust ja efektiivsust, ning esitab selle tulemused. Ettevõtte annab ravimit eeldatavalt kasutavatele tervishoiutöötajatele ka teabematerjali, mis sisaldab teavet ravimi ohutuse, sh võimaliku vähiriski ning Waskyraga ravitud

inimeste jälgimise ja pikaajalise järelkontrolli tähtsuse kohta. Patsientidele ja hooldajatele antakse ka teabematerjalid, milles selgitatakse, millal pöörduda probleemide või võimalike kõrvalnähtudega arsti poole, kuidas kõrvalnähtudest teatada ning kui oluline on korrapärane ja pikaajaline jälgimine.

Waskyra ohutu ja efektiivse kasutamise soovitused ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on samuti lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Waskyra kasutamise kohta pidevat järelevalvet. Waskyra oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Waskyra kohta

Lisateave Waskyra kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.