



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigeeniautotemseeli*)

Yleistiedot Waskyrasta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Waskyra on ja mihin sitä käytetään?

Waskyra on lääke, jolla hoidetaan vähintään 6 kuukauden ikäisiä potilaita, joilla on Wiskott-Aldrichin oireyhtymä (WAS) ja WAS-geenin mutaatio. Sitä annetaan sellaisille potilaille, joille hematopoieettinen kantasolusiirto on asianmukainen hoito mutta joille ei ole saatavilla sopivaa kantasolujen luovuttajaa.

Wiskott-Aldrichin oireyhtymä johtuu poikkeavuuksista WAS-proteiinia tuottavassa geenissä. Proteiinia on verisoluissa ja tietyissä immuunijärjestelmän (elimistön luonnollisen puolustusmekanismin) soluissa. Wiskott-Aldrichin oireyhtymää sairastaville potilaille tulee helposti mustelmia ja verenvuotoja, koska heillä on liian vähän normaaleja verihiutaleita (komponentteja, jotka auttavat verta hyytymään). Heillä on myös usein infektioita normaalien immuunisolujen vähäisyyden takia, mikä voi johtaa verenmyrkytykseen eli sepsikseen (jolloin verenkierrossa on bakteereja ja niiden toksineja, jotka alkavat vahingoittaa elimiä). Lisäksi joidenkin syöpätyyppien, kuten lymfooman, kehittymisen riski on suurempi.

Wiskott-Aldrichin oireyhtymä on harvinainen sairaus, ja Waskyra nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 6. kesäkuuta 2012. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Waskyran vaikuttava aine on etuvetidigeeniautotemseeli, joka koostuu potilaan omasta verestä peräisin olevista muuntogeenisistä kantasoluista.

Miten Waskyraa käytetään?

Waskyraa saa ainoastaan lääkärin määräyksestä, ja sen saa antaa erikoistuneessa hoitoyksikössä lääkäri, joka on koulutettu lääkkeen antamiseen ja jolla on kokemusta kantasolusiirroista.

Waskyra valmistetaan kullekin potilaalle yksilöllisesti potilaan omasta verestä kerätyistä kantasoluista, ja sitä saa antaa vain potilaalle, jota varten se on valmistettu. Se annetaan kertainfuusiona (tiputuksena) laskimoon. Ennen Waskyran antamista potilas saa valmistelemaa hoitoa solujen puhdistamiseksi luuytimestä.

Lisätietoja Waskyran käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

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



© European Medicines Agency, 2026. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

Miten Waskyra vaikuttaa?

Waskyra valmistetaan kantasoluista (ns. CD34+ -solut), jotka kerätään potilaan verestä. Soluja muokataan geneettisesti laboratoriossa siten, että ne voivat tuottaa toimintakykyistä WAS-proteiinia. Kun solut siirretään takaisin potilaalle, muunnellut solut siirtyvät luuytimeen, jossa ne alkavat valmistaa terveitä veri- ja immuunisoluja, jotka tuottavat toimintakykyistä WAS-proteiinia. Tämä auttaa lievittämään sairauden oireita.

Mitä hyötyä Waskyrasta on havaittu tutkimuksissa?

Waskyran hyödyt osoitettiin kliinisessä kehitysohjelmassa, johon osallistui yhteensä 27 Wiskott-Aldrichin oireyhtymää sairastavaa potilasta. Päättökäyttöön osallistui kymmenen lasta, jotka olivat iältään 1–9-vuotiaita. Toiseen kliiniseen tutkimukseen ja valmisteen käytön laajentamista koskevaan ohjelmaan (jossa tutkimuslääkettä annetaan kliinisen tutkimuksen ulkopuolella vakavasti sairaille henkilöille, joille ei ole hyväksyttyä hoitoa) osallistui 17 iältään 1–35-vuotiaasta potilasta.

Kaiken kaikkiaan tiedot osoittivat, että Waskyra vähentää tehokkaasti vakavien infektioiden ja verenvuototapahtumien esiintyvyyttä.

Vakavia infektioita 12 kuukauden aikana ennen hoitoa oli keskimäärin 2,0 tapahtumaa. Waskyra-hoidon jälkeen määrä laski 0,12 tapahtumaan 2–3 vuodeksi. Myös keskivaikeiden ja vaikeiden verenvuototapahtumien keskimääräinen määrä vuodessa väheni Waskyra jälkeen hoitoa edeltävien 12 kuukauden aikaisesta 2,0 tapahtumasta 0,16 tapahtumaan 2–3 vuodeksi.

Mitä riskejä Waskyraan liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Waskyran haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Waskyralla hoidettujen potilaiden yleisimmät haittavaikutukset johtuivat lääkkeen antamiseen tarvittavista toimenpiteistä ja esihoidoista, kuten esihoidosta, ja antokohdan ongelmista (infuusiolaitteeseen liittyvät infektiot, verenvuoto katetrointikohdassa).

Waskyraa ei saa antaa henkilöille, jotka ovat aiemmin saaneet luovuttajalta hematopoieettisen kantasolusiirron ja joiden veressä on edelleen luovuttajasoluja, tai henkilöille, jotka ovat aiemmin saaneet hematopoieettista kantasolugeenihoitoa (hoito, jossa potilaan kantasolut kerätään ja geenimuokataan ja palautetaan sitten potilaalle).

Miksi Waskyra on hyväksytty EU:ssa?

Elinajanodote on lyhentynyt henkilöillä, joilla on Wiskott-Aldrichin oireyhtymä ja joille hematopoieettinen kantasolusiirto on asianmukainen hoito, mutta sopiva kantasolujen luovuttaja puuttuu. Waskyran myyntiluvan myöntämisajankohtana näille potilaille tarvittiin tehokkaita hoitoja.

Waskyra-hoito vähensi merkittävästi vakavia infektioita ja kohtalaisia tai vakavia pitkäkestoisia verenvuototapahtumia. Lääkkeen turvallisuutta pidettiin hyväksyttävänä, ja asianmukaiset varotoimet ja seurantatoimenpiteet kuvattiin valmistetiedoihin. Geneettisen materiaalin tahattomista muutoksista aiheutuva teoreettinen syövän riski on mahdollinen, vaikka tällaisia tapauksia ei ole toistaiseksi havaittu. Käytössä on toimenpiteitä tällaisten tapahtumien seuraamiseksi 15 vuoden pitkäaikaistutkimuksessa, jotta Waskyran turvallisuutta voitaisiin luonnehtia paremmin.

Näin ollen Euroopan lääkevirasto katsoi, että Waskyrasta saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Miten voidaan varmistaa Waskyran turvallinen ja tehokas käyttö?

Waskyraa markkinoiva yhtiö tekee tutkimuksen ja toimittaa sen tulokset lääkkeen pitkäaikaisen turvallisuuden ja tehon arvioimiseksi tarkemmin. Yhtiö toimittaa myös perehdytysmateriaalia terveydenhuollon ammattilaisille, joiden oletetaan antavan lääkettä. Aineisto sisältää tietoa lääkkeen turvallisuudesta, siihen liittyvästä mahdollisesta syöpäriskistä sekä Waskyraa saaneiden henkilöiden valvonnan ja pitkäaikaisen seurannan merkityksestä. Potilaat ja heitä hoitavat henkilöt saavat myös perehdytysmateriaalia, jossa on tietoa siitä, milloin huolenaiheiden tai epäiltyjen haittavaikutusten takia on otettava yhteyttä lääkäriin, miten haittavaikutuksista ilmoitetaan ja miten tärkeää on säännöllinen ja pitkäaikainen seuranta.

Suosituksiset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Waskyran käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät myös valmisteyhteenvetoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Waskyran käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Waskyrasta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Waskyrasta

Lisätietoja Waskyrasta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.