



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigene autotemcel*)

Aperçu de Waskyra et pourquoi il est autorisé dans l'Union européenne (UE)

Qu'est-ce que Waskyra et dans quel cas est-il utilisé?

Waskyra est un médicament indiqué dans le traitement des personnes âgées de six mois et plus atteintes du syndrome de Wiskott-Aldrich (WAS) et qui présentent une mutation du gène WAS. Il est utilisé pour traiter des patients chez lesquels une greffe de cellules souches hématopoïétiques est appropriée, mais pour lesquels aucun donneur de cellules souches approprié n'est disponible.

Le syndrome de Wiskott-Aldrich est causé par des anomalies du gène qui produit la protéine WAS, présente dans les cellules sanguines et certaines cellules du système immunitaire (les défenses naturelles de l'organisme). Les personnes atteintes du syndrome de Wiskott-Aldrich présentent facilement des hématomes et des saignements parce qu'elles ont trop peu de plaquettes normales (composants qui aident le sang à coaguler); elles souffrent également fréquemment d'infections parce qu'elles ont trop peu de cellules immunitaires normales, ce qui peut entraîner une septicémie (lorsque des bactéries et leurs toxines circulent dans le sang et commencent à endommager les organes). En outre, il existe un risque plus élevé de développer certains types de cancer, tels qu'un lymphome.

Le syndrome de Wiskott-Aldrich est rare et Waskyra a reçu la désignation de «médicament orphelin» (médicament utilisé dans le traitement de maladies rares) le 6 juin 2012. Des informations complémentaires sur les désignations de médicaments orphelins sont disponibles sur le [site web de l'EMA](#).

Waskyra contient la substance active etuvetidigene autotemcel, qui consiste en des cellules souches génétiquement modifiées prélevées dans le propre sang du patient.

Comment Waskyra est-il utilisé?

Waskyra n'est délivré que sur ordonnance et doit être administré dans un centre de traitement qualifié par un médecin formé à l'administration de ce médicament et expérimenté dans la greffe de cellules souches.

Waskyra est fabriqué individuellement pour chaque patient à partir de cellules souches prélevées dans le sang de ce dernier, et il ne doit être administré qu'au patient pour lequel il est préparé. Il est administré une fois par perfusion (goutte-à-goutte) dans une veine. Avant que Waskyra ne soit administré, le patient recevra un traitement de conditionnement (préparatoire) pour éliminer les cellules de sa moelle osseuse.

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



Pour plus d'informations sur les conditions d'utilisation de Waskyra, voir la notice ou contacter votre médecin ou votre pharmacien.

Comment Waskyra agit-il?

Waskyra est fabriqué à partir de cellules souches (appelées cellules CD34+) prélevées dans le sang du patient. Les cellules sont génétiquement modifiées en laboratoire afin de pouvoir produire une protéine WAS fonctionnelle. Lorsqu'elles sont greffées à nouveau chez le patient, les cellules modifiées migrent vers la moelle osseuse, où elles commencent à fabriquer du sang sain et des cellules immunitaires qui produisent une protéine WAS fonctionnelle, contribuant ainsi à atténuer les symptômes de la maladie.

Quels sont les bénéfices de Waskyra démontrés au cours des études?

Les bénéfices de Waskyra ont été démontrés dans le cadre d'un programme de développement clinique portant sur un total de 27 patients atteints du syndrome de Wiskott-Aldrich. Il s'agissait notamment de dix enfants âgés d'un à neuf ans dans l'étude principale, et de 17 patients âgés d'un à 35 ans dans le cadre d'une autre étude clinique et d'un programme d'accès élargi (lorsque des personnes atteintes d'une affection grave pour laquelle il n'existe pas de traitement autorisé reçoivent un médicament expérimental en dehors d'une étude clinique).

Dans l'ensemble, les données ont montré l'efficacité de Waskyra dans la réduction de la survenue d'infections graves et d'épisodes hémorragiques.

Le nombre moyen d'infections graves par an a diminué, passant de 2,0 événements au cours des 12 mois précédant le traitement à 0,12 événement au cours des deux à trois ans suivant le traitement par Waskyra. De même, le nombre moyen d'épisodes hémorragiques modérés et graves par an a diminué, passant de 2,0 événements au cours des 12 mois précédant le traitement à 0,16 événement au cours des deux à trois ans suivant le traitement par Waskyra.

Quels sont les risques associés à l'utilisation de Waskyra?

Pour une description complète des effets indésirables et des restrictions associés à Waskyra, voir la notice.

Les effets indésirables les plus couramment observés chez les personnes traitées par Waskyra étaient dus aux procédures et aux prétraitements nécessaires à l'administration du médicament, tels que le traitement de conditionnement, ainsi qu'à des affections au site d'administration (infections liées au dispositif de perfusion, saignements au site du cathéter).

Waskyra ne doit pas être administré aux personnes qui ont déjà reçu une greffe de cellules souches hématopoïétiques d'un donneur et qui possèdent encore des cellules du donneur dans le sang, ni à celles qui ont déjà reçu une thérapie génique par cellules souches hématopoïétiques (un traitement dans lequel les cellules souches du patient sont collectées et génétiquement modifiées, puis restituées au patient).

Pourquoi Waskyra est-il autorisé dans l'UE?

Chez les personnes atteintes du syndrome de Wiskott-Aldrich pour lesquelles une greffe de cellules souches hématopoïétiques est appropriée, mais qui n'ont pas de donneur de cellules souches compatible, l'espérance de vie est réduite. Au moment de l'autorisation de Waskyra, il était nécessaire de mettre en place des traitements efficaces pour ces patients.

Le traitement par Waskyra a entraîné une réduction considérable et durable des infections graves et des épisodes hémorragiques modérés à sévères. La sécurité du médicament a été jugée acceptable, moyennant les précautions et mesures de surveillance pertinentes décrites dans les informations sur le produit. Il pourrait exister un risque théorique de cancer causé par des modifications involontaires du matériel génétique, bien qu'aucun cas de ce type n'ait été observé jusqu'à présent. Des mesures sont en place pour surveiller ces événements au moyen d'une étude à long terme de 15 ans afin de mieux caractériser la sécurité de Waskyra.

Dès lors, l'Agence européenne des médicaments a estimé que les bénéfices de Waskyra sont supérieurs à ses risques et que son utilisation peut être autorisée au sein de l'UE.

Quelles sont les mesures prises pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Waskyra?

La société qui commercialise Waskyra réalisera et fournira les résultats d'une étude visant à évaluer plus en détail la sécurité et l'efficacité à long terme du médicament. La société fournira également du matériel pédagogique aux professionnels de la santé censés utiliser le médicament, contenant des informations sur sa sécurité, notamment le risque potentiel de cancer et l'importance de la surveillance et du suivi à long terme des personnes traitées par Waskyra. Les patients et les soignants recevront également des supports éducatifs contenant des informations sur le moment auquel il convient de contacter leur médecin en cas d'inquiétudes ou d'effets indésirables suspectés, sur la manière de signaler les effets indésirables et sur l'importance d'un suivi régulier et à long terme.

Les recommandations et les précautions à observer par les professionnels de santé et les patients pour assurer l'utilisation sûre et efficace de Waskyra ont également été incluses dans le résumé des caractéristiques du produit et dans la notice.

Comme pour tous les médicaments, les données sur l'utilisation de Waskyra sont surveillées en permanence. Les effets indésirables suspectés rapportés sous Waskyra sont soigneusement évalués et toutes les mesures nécessaires sont prises pour protéger les patients.

Autres informations relatives à Waskyra:

Des informations sur Waskyra sont disponibles sur le site web de l'Agence, sous:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.