



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigen autotemcel*)

Pregled informacija o lijeku Waskyra i zašto je odobren u EU-u

Što je Waskyra i za što se koristi?

Waskyra je lijek za liječenje osoba u dobi od šest mjeseci i starijih koje boluju od Wiskott-Aldrichovog sindroma (WAS) i koje imaju mutaciju u genu WAS. Primjenjuje se za liječenje bolesnika za koje je primjerena transplantacija hematopoetskih matičnih stanica, ali za koje nije dostupan odgovarajući darivatelj matičnih stanica.

Wiskott-Aldrichov sindrom uzrokovan je anomalijama u genu koji proizvodi protein WAS, koji se nalazi u krvnim stanicama i određenim stanicama imunskog sustava (prirodne obrane tijela). Osobe s Wiskott-Aldrichovim sindromom lako dobivaju modrice i krvare jer imaju premalo normalnih trombocita (komponenti koje pomažu u zgrušavanju krvi). Također, imaju česte infekcije jer imaju premalo normalnih imunskih stanica, što može prouzročiti sepsu (odnosno da bakterije i njihovi toksini cirkuliraju u krvi i počnu oštećivati organe). Osim toga, postoji veći rizik od razvoja nekih vrsta raka, kao što je limfom.

Wiskott-Aldrichov sindrom rijetka je bolest, a lijek Waskyra dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 6. lipnja 2012. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu EMA-e](#).

Waskyra sadrži djelatnu tvar etuvetidigen autotemcel, koja se sastoji od genetski modificiranih matičnih stanica uzetih iz krvi samog bolesnika.

Kako se Waskyra primjenjuje?

Lijek Waskyra izdaje se samo na recept, a mora ga davati liječnik u specijaliziranoj zdravstvenoj ustanovi koji je osposobljen za primjenu ovog lijeka i ima iskustvo u presađivanju matičnih stanica.

Waskyra se proizvodi pojedinačno za svakog bolesnika od matičnih stanica iz krvi samog bolesnika i smije se dati samo bolesniku za kojeg je proizveden. Daje se jednokratno infuzijom (ukapavanjem) u venu. Prije nego što primi lijek Waskyra, bolesnik će biti podvrgnut režimu kondicioniranja (pripreme) kako bi se uklonile stanice iz njegove koštane srži.

Za više informacija o primjeni lijeka Waskyra pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

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



Kako djeluje Waskyra?

Waskyra se proizvodi od matičnih stanica (CD34+ stanica), koje se prikupljaju iz krvi bolesnika. Stanice se genetski modificiraju u laboratoriju kako bi mogle proizvesti funkcionalni protein WAS. Kad se ponovno presađuju bolesniku, modificirane stanice migriraju u koštanu srž, gdje počinju proizvoditi zdravu krv i imunosne stanice koje proizvode funkcionalni protein WAS, čime pomažu u ublažavanju simptoma bolesti.

Koje su koristi od lijeka Waskyra utvrđene u ispitivanjima?

Koristi od lijeka Waskyra utvrđene su u programu kliničkog razvoja koji je uključivao ukupno 27 bolesnika s Wiskott-Aldrichovim sindromom. U glavnom ispitivanju sudjelovalo je 10 djece u dobi od 1 do 9 godina te 17 bolesnika u dobi od 1 do 35 godina iz drugog kliničkog ispitivanja i programa proširenog pristupa (u kojem se osobama s teškim stanjem za koje ne postoji odobreno liječenje daje ispitivani lijek izvan kliničkog ispitivanja).

Općenito, podatci su pokazali da je lijek Waskyra učinkovit u pogledu smanjenja broja teških infekcija i epizoda krvarenja.

Prosječan broj teških infekcija godišnje smanjio se s 2,0 događaja tijekom 12 mjeseci prije liječenja na 0,12 događaja tijekom 2-3 godine nakon liječenja lijekom Waskyra. Slično tome, prosječan broj umjerenih i teških epizoda krvarenja godišnje smanjio se s 2,0 događaja tijekom 12 mjeseci prije liječenja na 0,16 događaja tijekom 2-3 godine nakon liječenja lijekom Waskyra.

Koji su rizici povezani s lijekom Waskyra?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Waskyra potražite u uputi o lijeku.

Najčešće prijavljene nuspojave u osoba liječenih lijekom Waskyra bile su posljedica postupaka i prethodnih terapija potrebnih za primanje lijeka, kao što je režim kondicioniranja, te nuspojave na mjestu primjene (infekcije povezane s uređajem za infuziju, krvarenje na mjestu uvođenja katetera).

Waskyra se ne smije davati osobama kojima su prethodno presađene hematopoetske matične stanice darivatelja i još uvijek imaju stanice darivatelja u krvi kao ni osobama koje su prethodno primile gensku terapiju hematopoetskim matičnim stanicama (liječenje u kojem se matične stanice bolesnika prikupljaju i genetski modificiraju, a zatim se vraćaju bolesniku).

Zašto je lijek Waskyra odobren u EU-u?

Osobe s Wiskott-Aldrichovim sindromom za koje je primjereno presađivanje hematopoetskih matičnih stanica, ali koje nemaju kompatibilnog darivatelja matičnih stanica, imaju smanjen očekivani životni vijek. U trenutku izdavanja odobrenja za lijek Waskyra postojala je potreba za učinkovitim liječenjem tih bolesnika.

Terapija lijekom Waskyra dovela je do znatnog smanjenja teških infekcija i umjerenih do teških epizoda krvarenja, a to se smanjenje dugo zadržalo. Sigurnost primjene lijeka smatra se prihvatljivom, uz odgovarajuće mjere opreza i praćenje, što je opisano u informacijama o lijeku. Mogao bi postojati teoretski rizik od raka uzrokovanog nenamjernim promjenama u genetskom materijalu iako dosad nisu zabilježeni takvi slučajevi. Uspostavljene su mjere za praćenje takvih događaja u okviru 15-godišnjeg dugoročnog ispitivanja kako bi se bolje opisala sigurnost primjene lijeka Waskyra.

Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Waskyra nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Waskyra?

Tvrtka koja stavlja lijek Waskyra u promet provest će potrebno ispitivanje i dostaviti njegove rezultate kako bi se dodatno procijenila dugoročna sigurnost i učinkovitost lijeka. Tvrtka će zdravstvenim radnicima za koje se očekuje da će primjenjivati lijek dostaviti i edukacijske materijale s informacijama o sigurnosti primjene, uključujući potencijalni rizik od raka i važnost praćenja i dugoročne kontrole osoba koje primaju terapiju lijekom Waskyra. Bolesnici i njegovatelji također će dobiti edukacijske materijale s informacijama o tome kada se obratiti liječniku u slučaju zabrinutosti ili sumnje na nuspojava, kako prijaviti nuspojave te o važnosti redovitog i dugoročnog praćenja.

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Waskyra također se nalaze u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Waskyra kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Waskyra pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Waskyra

Više informacija o lijeku Waskyra dostupno je na mrežnom mjestu Agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.