



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigen-autotemcel*)

A Waskyra-ra vonatkozó áttekintés és az EU-ban való engedélyezésének indoklása

Milyen típusú gyógyszer a Waskyra és milyen betegségek esetén alkalmazható?

A Waskyra Wiskott-Aldrich szindrómában (WAS) szenvedő, a WAS gén mutációjával rendelkező, 6 hónapos és idősebb személyek kezelésére alkalmazott gyógyszer. Olyan betegek kezelésére alkalmazzák, akik számára megfelelő a vérképzőőssejt-transzplantáció, de nem áll rendelkezésükre megfelelő őssejt-donor.

A Wiskott-Aldrich-szindrómát a WAS fehérjét termelő gén rendellenességei okozzák, amely a vesejtekben és az immunrendszer (a szervezet természetes védekező rendszere) bizonyos sejtjeiben található meg. A Wiskott-Aldrich-szindrómában szenvedőknél könnyen kialakul véraláfutás vagy szokatlan vérzés léphet fel, mivel túl kevés normális vérlemezke (a véralvadást elősegítő komponensek) van a szervezetükben; gyakoriak a fertőzések is, mivel túl kevés normális immunsejtjük van, ami szepszishez vezethet (amikor a baktériumok és toxinjaik a vérben keringenek, és károsítani kezdik a szerveket). Emellett nagyobb a kockázata bizonyos daganattípusok, például a limfóma kialakulásának.

Mivel a Wiskott-Aldrich-szindróma „ritkának” minősül, ezért a Waskyra-t 2012. június 6-án „ritka betegség elleni gyógyszerré” (orphan drug) minősítették. További információ a ritka betegség elleni (orphan) státusszal rendelkező gyógyszerekről az EMA [honlapján](#) található.

A Waskyra hatóanyaga az etuvetidigen-autotemcel, amely a beteg saját véréből vett, genetikailag módosított őssejtekből áll.

Hogyan kell alkalmazni a Waskyra-t?

A Waskyra csak receptre kapható, és a gyógyszer beadásában képzett, az őssejt-transzplantációban jártas orvosnak kell beadnia egy minősített kezelési központban.

A Waskyra-t minden egyes beteg esetében egyedileg állítják elő a beteg saját véréből származó őssejtek felhasználásával, és kizárólag annak a betegnek adható, akinek készült. A gyógyszert egyszer, vénába adott infúzió formájában kell beadni. A Waskyra alkalmazása előtt a beteg kondicionáló (előkészítő) terápiában részesül annak érdekében, hogy csontvelőjét megtisztítsák a sejtektől.

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



A Waskyra alkalmazásával kapcsolatban további információért olvassa el a betegtájékoztatót, illetve kérdezze meg kezelőorvosát vagy gyógyszerészét.

Hogyan fejti ki hatását a Waskyra?

A Waskyra a beteg véréből gyűjtött őssejtekből (CD34+ sejtek) készül. A sejteket a laboratóriumban genetikailag úgy módosítják, hogy funkcionális WAS-fehérjét tudjanak előállítani. A betegbe történő visszaültetést követően a módosított sejtek a csontvelőbe vándorolnak, ahol elkezdnek egészséges vért és immunsejteket előállítani, amelyek funkcionális WAS fehérjét termelnek, ezáltal segítve a betegség tüneteinek enyhítését.

Milyen előnyei voltak a Waskyra alkalmazásának a vizsgálatok során?

A Waskyra előnyeit egy összesen 27, Wiskott-Aldrich-szindrómában szenvedő beteget bevonó klinikai fejlesztési programban mutatták ki. Ezekben 10, 1 és 9 év közötti gyermek vett részt a fő vizsgálatban, valamint 17, 1 és 35 év közötti beteg egy másik klinikai vizsgálatban és egy kiterjesztett hozzáférési programban (amikor olyan, súlyos betegségben szenvedő személyek, akik számára nem létezik engedélyezett kezelés, a klinikai vizsgálaton kívül is kapnak vizsgálati gyógyszert).

Összességében az adatok azt mutatták, hogy a Waskyra hatékonyan csökkenti a súlyos fertőzések és vérzéses epizódok előfordulását.

A súlyos fertőzések éves átlagos száma a kezelést megelőző 12 hónapban bekövetkezett 2,0 eseményről a Waskyra-kezelést követő 2–3 évben 0,12 eseményre csökkent. Hasonlóképpen, a közepesen súlyos és súlyos vérzéses epizódok éves átlagos száma a kezelést megelőző 12 hónapban tapasztalt 2,0 eseményről a Waskyra-kezelést követő 2–3 évben 0,16 eseményre csökkent.

Milyen kockázatokkal jár a Waskyra alkalmazása?

A Waskyra alkalmazásával kapcsolatban jelentett összes mellékhatás és a korlátozások teljes felsorolása a betegtájékoztatóban található.

A Waskyra-val kezelt személyeknél jelentett leggyakoribb mellékhatások a gyógyszer beadásához szükséges eljárások és előkezelések – például a kondicionáló kezelés –, valamint az alkalmazás helyén fellépő betegségek (az infúziós eszközzel kapcsolatos fertőzések, vérzés a katéter helyén) következményei voltak.

A Waskyra nem alkalmazható olyan személyeknél, akik korábban már részesültek vérképző őssejt-átültetésben donortól, és vérében még donor sejtek vannak, illetve akik korábban vérképző őssejt-génterápiában (olyan kezelés, amelynek során a beteg őssejtjeit összegyűjtik és genetikailag módosítják, majd visszajuttatják a beteg szervezetébe) részesültek.

Miért engedélyezték a Waskyra forgalomba hozatalát az EU-ban?

A Wiskott-Aldrich-szindrómában szenvedők esetében, akik számára a vérképző őssejt-átültetés megfelelő, de akiknél nem áll rendelkezésre kompatibilis őssejt-donor, a várható élethossz lecsökken. A Waskyra engedélyezésének időpontjában hatékony kezelésekre volt szükség ezen betegek esetében.

A Waskyra-kezelés a súlyos fertőzések, valamint a közepesen súlyos vagy súlyos vérzéses epizódok jelentős csökkenését eredményezi, amely hatás hosszú ideig fennmarad. A gyógyszer biztonságosságát elfogadhatónak tartották, a kísérőiratokban leírt, az ellenőrzésre vonatkozó óvintézkedések és intézkedések mellett. Elméletileg fennállhat a genetikai anyag nem szándékos változásai által okozott rákos megbetegedések kockázata, bár eddig nem tapasztaltak ilyen eseteket.

Intézkedések vannak érvényben az ilyen események nyomon követésére egy 15 éves hosszú távú vizsgálat révén a Waskyra biztonságosságának jobb jellemzése érdekében.

Az Európai Gyógyszerügynökség megállapította, hogy a Waskyra alkalmazásának előnyei meghaladják a kockázatokat, ezért alkalmazása az EU-ban engedélyezhető.

Milyen intézkedések vannak folyamatban a Waskyra biztonságos és hatékony alkalmazásának biztosítása céljából?

A Waskyra-t forgalmazó vállalat vizsgálatot fog végezni a gyógyszer hosszú távú biztonságosságának és hatásosságának további értékelése céljából, és be fogja nyújtani annak eredményeit. A vállalat továbbá oktatási anyagot fog biztosítani a gyógyszert várhatóan alkalmazó egészségügyi szakemberek számára, amely információkat tartalmaz a gyógyszer biztonságosságáról, beleértve a daganatos betegség lehetséges kockázatát, valamint a Waskyra-val kezelt személyek nyomon követésének és hosszú távú utánkövetésének fontosságát. A betegek és gondozók oktatóanyagot is kapnak, amely tájékoztatást tartalmaz arról, hogy mikor kell kapcsolatba lépniük kezelőorvosukkal aggályok vagy feltételezett mellékhatások esetén, hogyan kell bejelenteni a mellékhatásokat, valamint a rendszeres és hosszú távú ellenőrzés fontosságáról.

A Waskyra biztonságos és hatékony alkalmazása érdekében az egészségügyi szakemberek és a betegek által követendő ajánlások és óvintézkedések szintén feltüntetésre kerültek az alkalmazási előírásban és a betegtájékoztatóban.

A Waskyra alkalmazásával kapcsolatban felmerülő információkat – hasonlóan minden más gyógyszerhez – folyamatosan figyelemmel kísérik. A Waskyra alkalmazásával összefüggésben jelentett feltételezett mellékhatásokat gondosan értékelik, és a biztonságos és hatékony alkalmazás érdekében a szükséges intézkedéseket meghozzák.

A Waskyra-val kapcsolatos egyéb információ

A Waskyra-val kapcsolatban további információ az Európai Gyógyszerügynökség honlapján található: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.