



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigene autotemcel*)

Sintesi di Waskyra e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Waskyra e per cosa si usa?

Waskyra è un medicinale per il trattamento di persone di età pari o superiore a 6 mesi affette dalla sindrome di Wiskott-Aldrich (WAS) che presentano una mutazione nel gene WAS. È usato per il trattamento di pazienti per i quali è appropriato il trapianto di cellule staminali ematopoietiche, ma per i quali non è disponibile un donatore di cellule staminali idoneo.

La sindrome di Wiskott-Aldrich è causata da anomalie nel gene che produce la proteina WAS, presente nelle cellule del sangue e in alcune cellule del sistema immunitario (le difese naturali dell'organismo). I soggetti affetti dalla sindrome di Wiskott-Aldrich presentano una tendenza a lividi e sanguinamenti a causa della presenza di un numero insufficiente di piastrine normali (componenti che aiutano la coagulazione del sangue); inoltre, sono soggette a infezioni frequenti a causa della carenza di cellule immunitarie normali, il che può portare a sepsi (quando batteri e loro tossine circolano nel sangue e iniziano a danneggiare gli organi). Inoltre, vi è un rischio più elevato di sviluppare alcuni tipi di cancro, come il linfoma.

La sindrome di Wiskott-Aldrich è rara e Waskyra è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 6 giugno 2012. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Waskyra contiene il principio attivo etuvetidigene autotemcel, costituito da cellule staminali geneticamente modificate prelevate dal sangue del paziente stesso.

Come si usa Waskyra?

Waskyra può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica e deve essere somministrato in un centro di trattamento qualificato da un medico formato alla somministrazione di questo medicinale e con esperienza nel trapianto di cellule staminali.

Waskyra è prodotto specificamente per ogni paziente usando le cellule staminali prelevate dal sangue del paziente stesso e deve essere somministrato soltanto al paziente cui è destinato. Viene somministrato una volta per infusione (flebo) in vena. Prima della somministrazione di Waskyra il paziente sarà sottoposto a un trattamento di condizionamento (preparatorio) per eliminare le cellule dal midollo osseo.

Official address Domenico Scarlatilaan 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



Per maggiori informazioni sull'uso di Waskyra, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Waskyra?

Waskyra è ottenuto da cellule staminali (denominate cellule CD34+) prelevate dal sangue del paziente. Le cellule sono geneticamente modificate in laboratorio in modo che possano produrre una proteina WAS funzionale. Al momento del trapianto nel paziente, le cellule modificate migrano verso il midollo osseo, dove iniziano a produrre sangue sano e cellule immunitarie che producono una proteina WAS funzionale, contribuendo in tal modo ad alleviare i sintomi della malattia.

Quali benefici di Waskyra sono stati evidenziati negli studi?

I benefici di Waskyra sono stati evidenziati in un programma di sviluppo clinico che ha coinvolto un totale di 27 pazienti affetti dalla sindrome di Wiskott-Aldrich. Tra questi figurano 10 bambini di età compresa tra 1 e 9 anni nello studio principale e 17 pazienti di età compresa tra 1 e 35 anni provenienti da un altro studio clinico e un programma di accesso ampliato (quando alle persone con una grave affezione per la quale non esiste un trattamento autorizzato viene somministrato un medicinale sperimentale al di fuori di uno studio clinico).

Nel complesso, i dati hanno dimostrato che Waskyra è efficace nel ridurre il verificarsi di infezioni gravi ed episodi emorragici.

Il numero medio di infezioni gravi all'anno è diminuito, passando da 2,0 eventi nei 12 mesi precedenti il trattamento a 0,12 eventi nei 2-3 anni successivi al trattamento con Waskyra. Analogamente, il numero medio di episodi emorragici moderati e gravi all'anno è diminuito da 2,0 eventi nei 12 mesi precedenti il trattamento a 0,16 eventi nei 2-3 anni successivi al trattamento con Waskyra.

Quali sono i rischi associati a Waskyra?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Waskyra, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni riferiti nelle persone trattate con Waskyra erano dovuti alle procedure e ai pretrattamenti necessari per ricevere il medicinale, come il regime di condizionamento, e alle condizioni del sito di somministrazione (infezioni relative al dispositivo di infusione, sanguinamento nel sito del catetere).

Waskyra non deve essere somministrato a persone che in precedenza hanno ricevuto un trapianto di cellule staminali ematopoietiche da un donatore e che hanno ancora cellule da donatore nel loro sangue, o a persone che in precedenza hanno ricevuto una terapia genica sulle cellule staminali ematopoietiche (un trattamento in cui le cellule staminali del paziente vengono prelevate e geneticamente modificate e poi restituite al paziente).

Perché Waskyra è autorizzato nell'UE?

Le persone affette dalla sindrome di Wiskott-Aldrich per le quali è opportuno il trapianto di cellule staminali ematopoietiche, ma che non dispongono di un donatore di cellule staminali compatibile, hanno una minore aspettativa di vita. Al momento dell'autorizzazione di Waskyra vi era la necessità di trattamenti efficaci per questi pazienti.

Il trattamento con Waskyra ha determinato una riduzione sostanziale delle infezioni gravi e degli episodi di sanguinamento da moderati a gravi, che si è mantenuta a lungo. La sicurezza del medicinale

è stata considerata accettabile, ferme restando le precauzioni e le misure pertinenti per il monitoraggio descritte nelle informazioni sul prodotto. Potrebbe sussistere un rischio teorico di cancro causato da alterazioni involontarie del materiale genetico, anche se finora non sono stati riscontrati casi di questo tipo. Sono in atto misure per monitorare tali eventi nell'ambito di uno studio a lungo termine di 15 anni per caratterizzare meglio la sicurezza di Waskyra.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Waskyra sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Waskyra?

La ditta che commercializza Waskyra condurrà e fornirà i risultati di uno studio per valutare ulteriormente la sicurezza e l'efficacia a lungo termine del medicinale. La ditta fornirà inoltre agli operatori sanitari che potrebbero utilizzare il medicinale materiale informativo corredato di informazioni sulla sua sicurezza, compreso il potenziale rischio di cancro e l'importanza del monitoraggio e del follow-up a lungo termine delle persone trattate con Waskyra. Ai pazienti e a chi li assiste sarà inoltre fornito materiale informativo su quando contattare il medico in caso di dubbi o sospetti effetti indesiderati, su come segnalare gli effetti indesiderati e sull'importanza di un monitoraggio regolare e a lungo termine.

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Waskyra sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate anche nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Waskyra sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Waskyra sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Waskyra

Ulteriori informazioni su Waskyra sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.