



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigenas autotemcelas*)

Waskyra apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Waskyra ir kam jis vartojamas?

Waskyra – tai vaistas, kuriuo gydomi Viskoto–Aldricho sindromu (angl. *Wiskott-Aldrich Syndrome*, WAS) sergantys 6 mėnesių ir vyresni pacientai, kuriems nustatyta WAS geno mutacija. Juo gydomi pacientai, kuriems galima persodinti kraujodaros kamienines ląsteles, bet nėra tinkamo kamieninių ląstelių donoro.

Viskoto–Aldricho sindromą sukelia geno, gaminančio WAS baltymą, kurio randama kraujo ląstelėse ir tam tikrose imuninės (organizmo natūralios apsaugos) sistemos ląstelėse, pakitimai. Viskoto–Aldricho sindromu sergantiems žmonėms lengviau susidaro kraujosrūvos ar jie kraujuoja, nes organizme yra per mažai nepakitusių trombocitų (ląstelių, padedančių kraujui krešėti); jie taip pat dažnai serga infekcijomis, nes organizme yra per mažai nepakitusių imuninių ląstelių, o tai gali sukelti sepsį (kai bakterijos ir jų toksinai patenka į kraujotaką ir pradeda kenkti organams). Be to, kyla didesnė rizika susirgti kai kurių rūšių vėžiu, pavyzdžiui, limfoma.

Viskoto–Aldricho sindromas laikomas reta liga, todėl 2012 m. birželio 6 d. Waskyra buvo priskirtas retųjų vaistų (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti [EMA interneto svetainėje](#).

Waskyra sudėtyje yra veikliosios medžiagos etuvetidigeno autotemcelo, kurį sudaro iš paties paciento kraujo paimtos genetiškai modifikuotos kamieninės ląstelės.

Kaip vartoti Waskyra?

Waskyra galima įsigyti tik pateikus receptą. Šį vaistinį preparatą patvirtintame gydymo centre turi skirti gydytojas, turintis gydymo šiuo vaistiniu preparatu ir kamieninių ląstelių persodinimo patirties.

Waskyra yra atskirai kiekvienam pacientui iš jo kraujo kamieninių ląstelių pagamintas preparatas, kuris turi būti skiriamas tik konkrečiam pacientui. Vaistas skiriamas tik kartą, infuzijos būdu (lašinamas į veną). Prieš vartojant Waskyra, pacientui taikomas kondicionavimas (parengiamasis), siekiant iš kaulų čiulpų pašalinti ląsteles.

Daugiau informacijos apie Waskyra vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

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



Kaip veikia Waskyra?

Waskyra gaminamas iš paciento kraujo surenkamų kamieninių ląstelių (vadinamųjų CD34+ ląstelių). Ląstelės laboratorijoje genetiškai modifikuojamos, kad galėtų gaminti funkcionuojantį WAS baltymą. Vėl pacientui persodintos modifikuotos ląstelės patenka į kaulų čiulpus, kur pradeda gaminti sveikas kraujo ir imunines ląsteles, kurios gamina funkcionuojantį WAS baltymą, todėl ligos simptomai palengvėja.

Kokia Waskyra nauda nustatyta tyrimų metu?

Waskyra nauda įrodyta vykdant klinikinių tyrimų programą, kurioje dalyvavo iš viso 27 Viskoto–Aldricho sindromu sergantys pacientai. Pagrindinis tyrimas atliktas su 10 vaikų nuo 1 iki 9 metų, kitas klinikinis tyrimas – su 17 pacientų nuo 1 iki 35 metų –, taip pat kai vaistinis preparatas skirtas pagal išplėstinės prieigos programą (kai tiriamasis vaistas skiriamas žmonėms, sergantiems sunkia liga, kuriai nėra registruoto gydymo, ne klinikinio tyrimo metu).

Apskritai iš duomenų matyti, kad Waskyra veiksmingai mažina sunkių infekcijų ir kraujavimo epizodų skaičių.

Vidutinis sunkių infekcijų skaičius per metus sumažėjo nuo 2,0 atvejų per 12 mėnesių laikotarpį, pasireiškusių iki taikant gydymą, iki 0,12 atvejo per 2–3 metų laikotarpį po taikyto gydymo Waskyra. Panašiai, vidutinis vidutinio sunkumo ir sunkių kraujavimo epizodų skaičius per metus sumažėjo nuo 2,0 atvejų per 12 mėnesių laikotarpį, pasireiškusių iki taikant gydymą, iki 0,16 atvejo per 2–3 metų laikotarpį po taikyto gydymo Waskyra.

Kokia rizika susijusi su Waskyra vartojimu?

Išsamų visų Waskyra šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Waskyra gydomiems žmonėms pasireiškęs šalutinis poveikis buvo susijęs su procedūromis ir parengiamuoju gydymu, taikomais, kad būtų galima skirti šį vaistą, pvz., kondicionavimo režimu, taip pat su infuzijos vietos sutrikimais (infekcijos, kurias sukėlė naudojama infuzijos priemonė, kraujavimas kateterio įvedimo vietoje).

Waskyra draudžiama skirti žmonėms, kuriems anksčiau buvo persodintos donoro kraujodaros kamieninės ląstelės ir kurių kraujyje dar yra donoro likutinių ląstelių, arba žmonėms, kuriems anksčiau buvo taikytas gydymas kraujodaros kamieninių ląstelių genų terapijos vaistu (gydymas, kai paciento kamieninės ląstelės surenkamos, genetiškai modifikuojamos ir vėl skiriamos pacientui).

Kodėl Waskyra buvo registruotas ES?

Viskoto–Aldricho sindromu sergančių žmonių, kuriems galima persodinti kraujodaros kamienines ląsteles, bet nėra giminingo kraujodaros kamieninių ląstelių donoro, tikėtina gyvenimo trukmė – trumpesnė. Tuo metu, kai Waskyra buvo registruotas, šiems pacientams buvo reikalingas veiksmingas gydymas.

Gydant Waskyra, gerokai sumažėjo sunkių infekcijų ir vidutinio sunkumo arba sunkių kraujavimo epizodų, ir šis poveikis išliko ilgą laiką. Nuspręsta, kad vaisto saugumas yra priimtinas, ir preparato informaciniuose dokumentuose aprašytos atitinkamos atsargumo ir stebėsenos priemonės. Dėl nenumatytų genetinės medžiagos pokyčių teoriškai pacientams gali kilti vėžio rizika, nors iki šiol tokių atvejų nenustatyta. Tokiems reiškiniams stebėti atliekamas 15 metų trukmės ilgalaikis tyrimas, kuriuo siekiama geriau ištirti Waskyra saugumą.

Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Waskyra nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Waskyra vartojimą?

Waskyra prekiaujanti bendrovė atliks tyrimą ir pateiks jo rezultatus, kad būtų galima toliau vertinti ilgalaikį šio vaisto saugumą ir veiksmingumą. Bendrovė taip pat parengs mokomąją medžiagą vaistą skirsiantiems sveikatos priežiūros specialistams, kurioje bus pateikta informacija apie vaisto saugumą, įskaitant galimą vėžio riziką, ir tai, kaip svarbu ilgą laiką toliau stebėti Waskyra gydomų žmonių būklę. Pacientai ir juos slaugantys asmenys taip pat gaus mokomąją medžiagą su informacija apie tai, kada, pasireiškus susirūpinimą keliančiam ar įtariamam šalutiniam poveikiui, kreiptis į gydytoją, kaip pranešti apie šalutinį poveikį ir apie tai, kaip svarbu reguliariai ir ilgą laiką stebėti paciento būklę.

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį taip pat įtrauktos saugaus ir veiksmingo Waskyra vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Waskyra vartojimo duomenys yra nuolatos stebimi. Įtariamasis Waskyra šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Waskyra

Daugiau informacijos apie Waskyra rasite Agentūros tinklalapyje adresu:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.