



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigēna autotemcels*)

Waskyra pārskats, un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Waskyra* un kāpēc tās lieto?

Waskyra ir zāles, ko lieto, lai ārstētu cilvēkus no sešu mēnešu vecuma ar Viskota-Oldriča sindromu (WAS), kuriem ir mutācija *WAS* gēnā. Tās lieto, lai ārstētu pacientus, kuriem ir piemērota hematopoētisko cilmes šūnu transplantācija, bet kuriem nav pieejams piemērots cilmes šūnu donors.

Viskota-Oldriča sindromu izraisa anomālijas gēnā, kas ražo *WAS* proteīnu, kurš atrodams asins šūnās un dažās imūnsistēmas (organisma dabiskās aizsargsistēmas) šūnās. Cilvēkiem ar Viskota-Oldriča sindromu viegli rodas zilumi un asiņošana, jo viņiem ir pārāk maz normālu trombocītu (sastāvdaļu, kas palīdz asinīm sarecēt); viņiem ir arī biežas infekcijas, jo ir pārāk maz normālu imūnsistēmas šūnu, kas var izraisīt sepsi (kad baktērijas un to toksīni cirkulē asinīs un sāk bojāt orgānus). Turklāt pastāv lielāks risks saslimt ar dažiem vēža veidiem, piemēram, limfomu.

Viskota-Oldriča sindroms ir "reta slimība", un 2012. gada 6. jūnijā *Waskyra* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama [EMA tīmekļa vietnē](#).

Waskyra satur aktīvo vielu etuvetidigēna autotemcelu, kas sastāv no ģenētiski modificētām cilmes šūnām, kuras ņemtas no paša pacienta asinīm.

Kā lieto *Waskyra*?

Waskyra var iegādāties tikai pret recepti, un tās jāievada kvalificētā ārstēšanas centrā ārstam, kurš ir apmācīts šo zāļu lietošanā un kuram ir pieredze cilmes šūnu transplantācijā.

Waskyra katram pacientam tiek gatavotas individuāli no cilmes šūnām, kas savāktas no viņa asinīm, un tās ir jāievada tikai tam pacientam, kuram tās ir gatavotas. Šīs zāles tiek ievadītas vienreiz infūzijas veidā vēnā (pa pilienam). Pirms *Waskyra* ievadīšanas pacients saņem kondicionējošu (sagatavošanas) terapiju kaulu smadzeņu atbrīvošanai no šūnām.

Papildu informāciju par *Waskyra* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

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



Kā *Waskyra* darbojas?

Waskyra ir izgatavotas no cilmes šūnām (ko dēvē par CD34+ šūnām), kas tiek savāktas no pacienta asinīm. Laboratorijā šūnas ir ģenētiski modificētas, lai tās varētu ražot funkcionālu *WAS* proteīnu. Kad pārveidotās šūnas tiek transplantētas atpakaļ pacientā, tās migrē uz kaulu smadzenēm, kur sāk veidot veselīgas asins un imūnās šūnas, kas ražo funkcionālu *WAS* proteīnu, tādējādi palīdzot mazināt slimības simptomus.

Kādi *Waskyra* ieguvumi atklāti pētījumos?

Waskyra ieguvumi tika pierādīti klīniskās izstrādes programmā, kurā piedalījās kopumā 27 pacienti ar Viskota-Oldriča sindromu. Pamatpētījumā piedalījās desmit bērni vecumā no viena līdz deviņiem gadiem un 17 pacienti vecumā no viena līdz 35 gadiem no cita klīniskā pētījuma un plašākas piekļuves programmas (kad cilvēkiem ar smagu slimību, kuras ārstēšanai nav reģistrēta ārstēšana, ārpus klīniskā pētījuma tiek ievadītas pētāmās zāles).

Kopumā dati liecināja, ka *Waskyra* efektīvi samazina smagu infekciju un asiņošanas epizožu biežumu.

Vidējais smagu infekciju skaits gadā samazinājās no 2,0 notikumiem 12 mēnešos pirms ārstēšanas līdz 0,12 notikumiem divos līdz trijos gados pēc ārstēšanas ar *Waskyra*. Līdzīgi arī vidējais vidēji smagu un smagu asiņošanas epizožu skaits gadā samazinājās no 2,0 epizodēm 12 mēnešos pirms ārstēšanas līdz 0,16 epizodēm 2–3 gados pēc ārstēšanas ar *Waskyra*.

Kāds risks pastāv, lietojot *Waskyra*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Waskyra*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās blakusparādības, par kurām ziņots ar *Waskyra* ārstētiem cilvēkiem, bija saistītas ar procedūrām un iepriekšēju ārstēšanu, kas nepieciešama zāļu saņemšanai, piemēram, sagatavošanas terapijas režīmu, un ievadīšanas vietas apstākļiem (infekcijām saistībā ar infūzijas ierīci, asiņošanu katetra ievadīšanas vietā).

Waskyra nedrīkst ievadīt cilvēkiem, kuri iepriekš ir saņēmuši asinsrades cilmes šūnu transplantāciju no donora un kuriem joprojām ir donora šūnas asinīs, vai cilvēkiem, kuri iepriekš ir saņēmuši asinsrades cilmes šūnu gēnu terapiju (ārstēšanu, kurā pacienta cilmes šūnas tiek savāktas un ģenētiski modificētas un pēc tam ievadītas atpakaļ pacientā).

Kāpēc *Waskyra* ir reģistrētas ES?

Cilvēkiem ar Viskota-Oldriča sindromu, kuriem ir piemērota hematopoētisko cilmes šūnu transplantācija, bet kuriem nav saderīga cilmes šūnu donora, ir īsāks paredzamais dzīvildze. *Waskyra* reģistrācijas laikā šiem pacientiem bija nepieciešama efektīva ārstēšana.

Ārstēšana ar *Waskyra* nodrošināja ievērojamu smagu infekciju un vidēji smagu līdz smagu asiņošanas epizožu samazinājumu, kas saglabājas ilgu laiku. Zāļu drošums tika uzskatīts par pieņemamu, ievērojot attiecīgos piesardzības pasākumus un uzraudzības pasākumus, kas aprakstīti zāļu aprakstā. Varētu būt teorētisks risks saslimt ar vēzi, ko izraisa neparedzētas izmaiņas ģenētiskajā materiālā, lai gan līdz šim šādi gadījumi nav konstatēti. Ir ieviesti pasākumi šādu notikumu uzraudzībai, izmantojot 15 gadu ilgtermiņa pētījumu, lai labāk raksturotu *Waskyra* drošumu.

Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Waskyra*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Waskyra* lietošanu?

Uzņēmums, kas piedāvā tirgū *Waskyra*, veiks pētījumu un iesniegs tā rezultātus, lai turpinātu novērtēt zāļu ilgtermiņa drošumu un efektivitāti. Uzņēmums arī nodrošinās izglītojošus materiālus veselības aprūpes speciālistiem, kuri varētu lietot šīs zāles, ar informāciju par to drošumu, tostarp par iespējamo vēža risku un to, cik svarīga ir ar *Waskyra* ārstēto cilvēku uzraudzība un ilgtermiņa pēckontrole. Pacienti un aprūpētāji saņems arī izglītojošu materiālu ar informāciju par to, kad sazināties ar ārstu bažu vai iespējamu blakusparādību gadījumā, kā ziņot par blakusparādībām un kāda ir regulāras un ilgtermiņa uzraudzības nozīme.

Zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Waskyra* lietošanu.

Tāpat kā visām zālēm dati par *Waskyra* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Waskyra* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Waskyra*

Sīkāka informācija par *Waskyra* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:

ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.