



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigene autotemcel*)

Ħarsa ġenerali lejn Waskyra u għalfajn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Waskyra u għal xiex jintuża?

Waskyra huwa mediċina għat-trattament ta' persuni minn 6 xhur 'il fuq bis-sindromu ta' Wiskott-Aldrich (WAS) li jkollhom mutazzjoni fil-gene WAS. Jintuża għat-trattament ta' pazjenti li għalihom trapjant ta' ċelloli staminali ematopojetici huwa xieraq, iżda li għalihom ma jkun disponibbli l-ebda donatur xieraq taċ-ċelloli staminali.

Is-sindromu ta' Wiskott-Aldrich huwa kkawżat minn anormalitajiet fil-gene li jipproduċi l-proteina WAS, li tinsab fiċ-ċelloli tad-demm u f'ċerti ċelloli tas-sistema immunitarja (id-difiżi naturali tal-ġisem). Persuni bis-sindromu ta' Wiskott-Aldrich jitbenġu u jkollhom fsada faċilment minħabba li jkollhom ftit wisq pjastrini normali (komponenti li jgħinu lid-demm jagħqad); ikollhom ukoll infezzjonijiet frekwenti minħabba li jkollhom ftit wisq ċelloli immunitarji normali, li jistgħu jwasslu għal sepsi (meta l-batterji u t-tossini tagħhom jiċċirkolaw fid-demm u jibdeu jagħmlu ħsara lill-organi). Barra minn hekk, hemm riskju ogħla li jiġu żviluppati xi tipi ta' kanċer, bħal-limfoma.

Is-sindromu ta' Wiskott-Aldrich huwa rari, u Waskyra ġie denominat bħala "mediċina orfni" (mediċina li tintuża f'mard rari) fis-6 ta' Ġunju 2012. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab fuq is-[sit web](#) tal-EMA.

Waskyra fih is-sustanza attiva etuvetidigene autotemcel, li tikkonsisti minn ċelloli staminali ġenetikament modifikati meħuda mid-demm tal-pazjent innifsu.

Kif jintuża Waskyra?

Waskyra jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib u għandu jingħata f'ċentru ta' trattament kwalifikat minn tabib imħarreġ fl-għoti ta' din il-mediċina u b'esperjenza fit-trapjant taċ-ċelloli staminali.

Waskyra huwa magħmul individwalment għal kull pazjent minn ċelloli staminali miġbura mid-demm tiegħu, u għandu jingħata biss lill-pazjent li għalih ikun sar. Jingħata darba permezz ta' infużjoni (dripp) fil-vina. Qabel ma jingħata Waskyra, il-pazjent se jingħata trattament ta' kundizzjonament (preparatorju) sabiex jitneħħew iċ-ċelloli mill-mudullun tiegħu.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Waskyra, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

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



Kif jaħdem Waskyra?

Waskyra huwa magħmul minn ċelloli staminali (imsejġha ċelloli CD34+) li jingabru mid-demmm tal-pazjent. Iċ-ċelloli huma ġenetikament modifikati fil-laboratorju sabiex ikunu jistgħu jipproduċu proteina WAS funzjonali. Meta jiġu trapjantati lura fil-pazjent, iċ-ċelloli modifikati jemigraw lejn il-mudullun fejn jibdew jipproduċu demm u ċelloli immunitarji b'saħħithom li jipproduċu proteina WAS funzjonali, u b'hekk jgħinu biex jittaffew is-sintomi tal-marda.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Waskyra li ħarġu mill-istudji?

Il-benefiċċji ta' Waskyra ntwerew fi programm ta' żvilupp kliniku li jinvolvi total ta' 27 pazjent bis-sindromu ta' Wiskott-Aldrich. Dawn kienu jinkludu 10 itfal ta' bejn sena u 9 snin fl-istudju ewlieni, u 17-il pazjent ta' bejn sena u 35 sena minn studju kliniku ieħor u programm ta' aċċess estiż (meta persuni b'kundizzjoni serja li għalihom ma hemm l-ebda trattament awtorizzat jingħataw medicina investigattiva barra minn studju kliniku).

B'mod ġenerali, id-*data* wriet li Waskyra huwa effettiv fit-tnaqqis tal-okkorrenza ta' infezzjonijiet severi u episodji ta' fsada.

L-għadd medju ta' infezzjonijiet severi fis-sena naqas minn 2.0 avveniment fit-12-il xahar qabel it-trattament għal 0.12 avveniment fit-2–3 snin wara t-trattament b'Waskyra. Bl-istess mod, l-għadd medju ta' episodji ta' fsada moderati u severi fis-sena naqas minn 2.0 avveniment fit-12-il xahar qabel it-trattament għal 0.16 avveniment fit-2–3 snin wara t-trattament b'Waskyra.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Waskyra?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Waskyra, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni rrapportati f'persuni ttrattati b'Waskyra kienu dovuti għall-proċeduri u l-pretrattamenti meħtieġa biex tingħata l-medicina, bħall-kors ta' kundizzjonament, u għall-kundizzjonijiet tas-sit tal-ġotti (infezzjonijiet relatati mal-apparat tal-infużjoni, fsada fis-sit tal-kateter).

Waskyra ma għandux jingħata lil persuni li fil-passat kienu rċevew trapjant taċ-ċelloli staminali ematopojetici minn donatur u li għad għandhom ċelloli donaturi fid-demmm tagħhom, jew lil dawk li fil-passat kienu ngħataw terapija tal-ġene taċ-ċelloli staminali ematopojetici (trattament li fih iċ-ċelloli staminali tal-pazjent jingabru u jiġu modifikati ġenetikament u mbagħad jiġu rritornati lill-pazjent).

Għaliex Waskyra ġie awtorizzat fl-UE?

Persuni bis-sindromu ta' Wiskott-Aldrich li għalihom trapjant ta' ċelloli staminali ematopojetici huwa xieraq iżda li ma għandhomx donatur kompatibbli taċ-ċelloli staminali għandhom stennija tal-ghomor imnaqqsa. Fiż-żmien tal-awtorizzazzjoni ta' Waskyra, kien hemm bżonn ta' trattamenti effettivi għal dawn il-pazjenti.

It-trattament b'Waskyra rriżulta fi tnaqqis konsiderevoli fl-infezzjonijiet severi u fl-episodji ta' fsada minn moderati sa severi li jinżamm għal żmien twil. Is-sigurtà tal-medicina kienet ikkunsidrata aċċettabbli, bil-prekawżjonijiet u l-miżuri rilevanti għall-monitoraġġ deskritti fl-informazzjoni dwar il-prodott. Jista' jkun hemm riskju teoretiku ta' kanċer ikkawżat minn bidliet mhux intenzjonati fil-materjal ġenetiku, għalkemm s'issa għadhom ma ġewx irrapportati każijiet bħal dawn. Hemm miżuri fis-sehħ għall-monitoraġġ ta' avvenimenti bħal dawn permezz ta' studju fit-tul fuq 15-il sena biex tiġi kkaratterizzata aħjar is-sigurtà ta' Waskyra.

L-Aġenzija Ewropea għall-Mediċini għaldaqstant iddeċidiet li l-benefiċċji ta' Waskyra huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

X'miżuri qegħdin jittiehdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Waskyra?

Il-kumpanija li tqiegħed Waskyra fis-suq se twettaq u tipprovdi r-riżultat ta' studju biex tkompli tivvaluta s-sigurtà u l-effikaċja fit-tul tal-mediċina. Il-kumpanija se tipprovdi wkoll materjal edukattiv għall-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa li mistennija jużaw il-mediċina b'informazzjoni dwar is-sigurtà tagħha, inkluż ir-riskju potenzjali ta' kanċer u l-importanza tal-monitoraġġ u s-segwitu fit-tul ta' persuni ttrattati b'Waskyra. Il-pazjenti u dawk li jieħdu ħsiebhom se jirċievu wkoll materjal edukattiv b'informazzjoni dwar meta għandhom jikkuntattjaw lit-tabib tagħhom f'każ ta' tħassib jew effetti sekondarji suspettati, kif għandhom jiġu rrapportati l-effetti sekondarji u l-importanza ta' monitoraġġ regolari u fit-tul.

Fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif ġew inklużi wkoll ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Waskyra.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Waskyra hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Waskyra huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex tipproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Waskyra

Aktar informazzjoni dwar Waskyra tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:

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