



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigene autotemcel*)

Een overzicht van Waskyra en waarom het is geregistreerd in de EU

Wat is Waskyra en wanneer wordt het voorgeschreven?

Waskyra is een geneesmiddel voor de behandeling van mensen vanaf de leeftijd van 6 maanden met het Wiskott-Aldrich-syndroom (WAS) die een mutatie in het WAS-gen vertonen. Het middel wordt gebruikt om patiënten te behandelen voor wie een hematopoëtische stamceltransplantatie passend is, wanneer er evenwel geen geschikte stamceldonor beschikbaar is.

Het Wiskott-Aldrich-syndroom wordt veroorzaakt door afwijkingen in het gen dat het WAS-eiwit produceert, dat wordt aangetroffen in bloedcellen en bepaalde cellen van het immuunsysteem (de natuurlijke afweer van het lichaam). Mensen met het Wiskott-Aldrich-syndroom hebben gemakkelijk last van blauwe plekken en bloedingen door een tekort aan normale bloedplaatjes (bestanddelen die het bloed helpen stollen). Zij krijgen ook regelmatig infecties omdat ze te weinig normale immuuncellen hebben, wat kan leiden tot sepsis (waarbij bacteriën en hun toxinen in het bloed circuleren en de organen beginnen te beschadigen). Bovendien bestaat er een hoger risico op de ontwikkeling van bepaalde vormen van kanker, zoals lymfoom.

Het Wiskott-Aldrich-syndroom is zeldzaam, en Waskyra werd op 6 juni 2012 aangewezen als 'weesgeneesmiddel' (een geneesmiddel voor zeldzame aandoeningen). Meer informatie over de aanwijzing als weesgeneesmiddel is te vinden op de [website](#) van het Europees Geneesmiddelenbureau.

Waskyra bevat de werkzame stof etuvetidigene autotemcel, bestaande uit genetisch gemodificeerde stamcellen die uit het eigen bloed van de patiënt zijn genomen.

Hoe wordt Waskyra gebruikt?

Waskyra is uitsluitend op doktersvoorschrift verkrijgbaar en moet in een gekwalificeerd behandelcentrum worden toegediend door een arts die is opgeleid in het toedienen van dit geneesmiddel en ervaring heeft met stamceltransplantatie.

Waskyra wordt voor elke patiënt afzonderlijk bereid met stamcellen die uit het eigen bloed van die patiënt worden verzameld, en mag alleen worden toegediend aan de patiënt voor wie het is bereid. Het middel wordt toegediend via eenmalige infusie (indruppeling) in een ader. Voordat Waskyra wordt toegediend, ondergaat de patiënt een conditionerende (voorbereidende) behandeling om cellen uit het beenmerg te verwijderen.

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



Raadpleeg de bijsluiter of neem contact op met uw arts of apotheker voor meer informatie over het gebruik van Waskyra.

Hoe werkt Waskyra?

Waskyra wordt bereid met stamcellen ('CD34⁺-cellen') die uit het bloed van de patiënt worden gehaald. De cellen worden in het laboratorium genetisch gemodificeerd zodat ze een functioneel WAS-eiwit kunnen aanmaken. Wanneer de gemodificeerde cellen terug in het lichaam van de patiënt worden getransplanteerd, migreren zij naar het beenmerg, waar zij gezonde bloed- en immuuncellen beginnen aan te maken die een functioneel WAS-eiwit produceren. Zo helpen zij de symptomen van de ziekte te verlichten.

Welke voordelen bleek Waskyra tijdens de studies te hebben?

De voordelen van Waskyra werden aangetoond in een klinisch ontwikkelingsprogramma waarbij in totaal 27 patiënten met het Wiskott-Aldrich-syndroom betrokken waren. Aan de hoofdstudie namen 10 kinderen in de leeftijd tussen 1 en 9 jaar deel, en 17 patiënten tussen 1 en 35 jaar oud waren betrokken bij een andere klinische studie en een programma voor uitgebreide toegang (waarbij mensen met een ernstige aandoening waarvoor geen goedgekeurde behandeling bestaat buiten het kader van een klinische studie om een onderzoeksgeneesmiddel krijgen toegediend).

Over het geheel genomen bleek uit de gegevens dat Waskyra werkzaam is voor het verminderen van het aantal ernstige infecties en bloedingsepisoden.

Het gemiddelde aantal ernstige infecties per jaar daalde van 2,0 voorvallen in de twaalf maanden vóór de behandeling tot 0,12 voorvallen in de twee tot drie jaar na de behandeling met Waskyra. Evenzo daalde het gemiddelde aantal matige en ernstige bloedingsepisoden per jaar van 2,0 voorvallen in de twaalf maanden vóór de behandeling tot 0,16 voorvallen in de twee tot drie jaar na de behandeling met Waskyra.

Welke risico's houdt het gebruik van Waskyra in?

Zie de bijsluiter voor het volledige overzicht van de bijwerkingen van en beperkende voorwaarden voor Waskyra.

De meest voorkomende bijwerkingen die bij behandeling met Waskyra werden gemeld, waren te wijten aan de noodzakelijke procedures en voorbereidende behandelingen voor de toediening van het geneesmiddel, zoals het conditioneringsschema, alsook aan omstandigheden op de toedieningslocatie (infecties in verband met het infusiehulpmiddel, bloedingen op de katheterplaats).

Waskyra mag niet worden toegediend aan mensen die eerder een hematopoëtische stamceltransplantatie van een donor hebben ondergaan en nog donorcellen in hun bloed hebben, of die in het verleden hematopoëtische stamcelgentherapie hebben gekregen (een behandeling waarbij de stamcellen van de patiënt worden verzameld, genetisch gemodificeerd en vervolgens aan de patiënt worden teruggegeven).

Waarom is Waskyra geregistreerd in de EU?

Mensen met het Wiskott-Aldrich-syndroom voor wie een hematopoëtische stamceltransplantatie passend is, maar voor wie er geen compatibele stamceldonor beschikbaar is, hebben een verminderde levensverwachting. Ten tijde van de goedkeuring van Waskyra bestond er behoefte aan doeltreffende behandelingen voor deze patiënten.

De behandeling met Waskyra leidde tot een aanzienlijke vermindering van het aantal ernstige infecties en matige tot ernstige bloedingsepisoden, die bovendien lange tijd aanhield. De veiligheid van het geneesmiddel werd aanvaardbaar geacht, zolang de relevante voorzorgs- en monitoringmaatregelen worden genomen zoals beschreven in de productinformatie. Er zou een theoretisch risico kunnen bestaan op kanker veroorzaakt door onbedoelde veranderingen in het genetische materiaal, hoewel tot dusver geen gevallen daarvan zijn waargenomen. Er zijn maatregelen getroffen om dergelijke voorvallen onder toezicht te houden door middel van een langetermijnstudie van 15 jaar ter nadere bepaling van de veiligheid van Waskyra.

Het Europees Geneesmiddelenbureau heeft daarom geconcludeerd dat de voordelen van Waskyra groter zijn dan de risico's en dat dit middel geregistreerd kan worden voor gebruik in de EU.

Welke maatregelen worden er genomen om een veilig en doeltreffend gebruik van Waskyra te waarborgen?

Het bedrijf dat Waskyra in de handel brengt, zal een studie verrichten om de veiligheid en werkzaamheid van het geneesmiddel op lange termijn verder te beoordelen en de resultaten daarvan overleggen. Het bedrijf zal ook voorlichtingsmateriaal verstrekken voor professionele zorgverleners die het geneesmiddel naar verwachting zullen gebruiken, met informatie over de veiligheid ervan, waaronder het potentiële risico op kanker en het belang van maatregelen om met Waskyra behandelde personen onder toezicht te houden en op lange termijn te volgen. Patiënten en verzorgers zullen daarnaast voorlichtingsmateriaal ontvangen met informatie over wanneer zij contact moeten opnemen met hun arts in geval van bezorgdheid of vermoedelijke bijwerkingen, hoe zij bijwerkingen moeten melden en waarom regelmatig en langdurig toezicht zo belangrijk is.

Aanbevelingen en voorzorgsmaatregelen die professionele zorgverleners en patiënten in acht moeten nemen voor een veilig en doeltreffend gebruik van Waskyra, zijn ook opgenomen in de samenvatting van de productkenmerken en de bijsluiter.

Zoals voor alle geneesmiddelen worden gegevens over het gebruik van Waskyra continu gevolgd. Vermoedelijke bijwerkingen waargenomen voor Waskyra worden nauwkeurig geëvalueerd en indien nodig worden maatregelen getroffen om patiënten te beschermen.

Overige informatie over Waskyra

Meer informatie over Waskyra is te vinden op de website van het Europees Geneesmiddelenbureau: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.