



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuwetydigen autotemcel*)

Przegląd wiedzy na temat leku Waskyra i uzasadnienie udzielenia pozwolenia na dopuszczenie do obrotu w UE

Czym jest lek Waskyra i w jakim celu się go stosuje

Waskyra jest lekiem stosowanym w leczeniu osób od 6. miesiąca życia z zespołem Wiskotta-Aldricha (WAS), którzy mają mutację w genie WAS. Lek stosuje się u pacjentów, u których odpowiednią strategią leczenia jest przeszczepienie krwiotwórczych komórek macierzystych, lecz w przypadku których nie jest dostępny odpowiedni dawca komórek macierzystych.

Zespół Wiskotta-Aldricha jest spowodowany nieprawidłowościami w genie wytwarzającym białko WAS, które występuje w komórkach krwi i niektórych komórkach układu odpornościowego (naturalnego mechanizmu obronnego organizmu). Osoby z zespołem Wiskotta-Aldricha mają tendencję do siniaków i krwawień ze względu na zbyt małą liczbę prawidłowych płytek krwi (składników przyczyniających się do krzepnięcia krwi); osoby te często mają zakażenia, ponieważ liczba komórek odpornościowych jest zbyt mała, co może prowadzić do posocznicy (stan, w którym bakterie i ich toksyny krążą we krwi i zaczynają uszkadzać narządy). Ponadto istnieje większe ryzyko wystąpienia niektórych rodzajów nowotworów, takich jak chłoniak.

Ze względu na to, że zespół Wiskotta-Aldricha jest chorobą rzadko występującą, w dniu 6 czerwca 2012 r. lek Waskyra uznano za lek sierocy (lek stosowany w rzadkich chorobach). Więcej informacji na temat przyznania statusu leku sierocego można znaleźć na [stronie internetowej](#) EMA.

Substancją czynną zawartą w leku Waskyra jest etuwetydigen autotemcel, który składa się ze zmodyfikowanych genetycznie komórek macierzystych pobranych z własnej krwi pacjenta.

Jak stosować lek Waskyra

Lek wydawany na receptę. Lek Waskyra musi być podawany w kwalifikowanym ośrodku leczniczym przez lekarza przeszkolonego w zakresie podawania tego leku i z doświadczeniem w przeszczepianiu komórek macierzystych.

Lek Waskyra wytwarza się indywidualnie dla każdego pacjenta z komórek macierzystych pobranych z jego krwi. Lek należy podawać wyłącznie pacjentowi, dla którego został wyprodukowany. Lek podaje się jednorazowo we wlewie dożylnym (kroplówce). Przed podaniem leku Waskyra pacjentowi podaje się kondycjonowanie (leczenie przygotowawcze) w celu oczyszczenia szpiku kostnego z komórek.

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



Więcej informacji o sposobie stosowania leku Waskyra znajduje się w Ulotce dla pacjenta lub udzieli ich lekarz lub farmaceuta.

Jak działa lek Waskyra

Lek Waskyra jest wytwarzany z komórek macierzystych (zwanymi komórkami CD34⁺) pobranych z krwi pacjenta. Komórki są modyfikowane genetycznie w laboratorium, aby mogły wytwarzać funkcjonalne białko WAS. Po ponownym przeszczepieniu u pacjenta zmodyfikowane komórki przenoszą się do szpiku kostnego, w którym zaczynają wytwarzać zdrową krew i komórki odpornościowe wytwarzające funkcjonalne białko WAS, co pomaga w ten sposób łagodzić objawy choroby.

Korzyści ze stosowania leku Waskyra wykazane w badaniach

Korzyści ze stosowania leku Waskyra wykazano w programie rozwoju klinicznego, w którym uczestniczyło łącznie 27 pacjentów z zespołem Wiskotta-Aldricha. Grupa ta obejmowała 10 dzieci w wieku 1–9 lat z badania głównego oraz 17 pacjentów w wieku 1–35 lat z innego badania klinicznego i programu rozszerzonego dostępu (w którym osobom z poważną chorobą, w przypadku której nie ma zatwierdzonego leczenia, podaje się badany lek poza badaniem klinicznym).

Ogólnie rzecz biorąc, na podstawie danych stwierdzono, że lek Waskyra skutecznie ogranicza występowanie ciężkich zakażeń i epizodów krwawienia.

Średnia liczba poważnych zakażeń rocznie zmniejszyła się z 2,0 zdarzeń w ciągu 12 miesięcy przed leczeniem do 0,12 zdarzeń w ciągu 2–3 lat po stosowaniu leku Waskyra. Podobnie średnia liczba epizodów krwawienia o umiarkowanym i ciężkim nasileniu rocznie spadła z 2,0 w ciągu 12 miesięcy przed leczeniem do 0,16 w ciągu 2–3 lat po zastosowaniu leku Waskyra.

Ryzyko związane ze stosowaniem leku Waskyra

Pełny wykaz działań niepożądanych i ograniczeń związanych ze stosowaniem leku Waskyra znajduje się w Ulotce dla pacjenta.

Najczęstsze działania niepożądane zgłaszane u osób przyjmujących lek Waskyra wynikały z procedur i leczenia wstępnego wymaganych do podania leku, takich jak schemat kondycjonowania, oraz warunków panujących w miejscu podania (zakażenia związane z urządzeniem do infuzji, krwawienia w miejscu wprowadzenia cewnika).

Leku Waskyra nie wolno podawać osobom, które zostały wcześniej poddane przeszczepowi krwiotwórczych komórek macierzystych od dawcy i które nadal mają komórki dawcy we krwi, ani osobom, które były wcześniej poddane terapii genowej za pomocą krwiotwórczych komórek macierzystych (leczeniu, w którym komórki macierzyste pacjenta są pobierane i modyfikowane genetycznie, a następnie oddawane pacjentowi).

Podstawy dopuszczenia do obrotu leku Waskyra w UE

U osób z zespołem Wiskotta-Aldricha, u których odpowiednią strategią leczenia jest przeszczepienie krwiotwórczych komórek macierzystych, lecz u których nie ma pasującego dawcy komórek macierzystych, średni okres przeżycia jest skrócony. W momencie dopuszczenia leku Waskyra do obrotu istniała potrzeba zapewnienia tym pacjentom skutecznych metod leczenia.

Terapia lekiem Waskyra doprowadziła do znacznego zmniejszenia liczby ciężkich zakażeń i epizodów krwawienia o nasileniu od umiarkowanego do ciężkiego, które utrzymuje się przez długi czas. Bezpieczeństwo stosowania leku uznano za dopuszczalne, przy zachowaniu odpowiednich środków

ostrożności i środków monitorowania opisanych w drukach informacyjnych. Może istnieć teoretyczne ryzyko wystąpienia choroby nowotworowej spowodowanej niezamierzonymi zmianami materiału genetycznego, chociaż do tej pory nie zaobserwowano takich przypadków. Wprowadzono środki mające na celu monitorowanie takich zdarzeń w ramach 15-letniego badania długoterminowego, którego celem jest lepsze określenie bezpieczeństwa stosowania leku Waskyra.

Europejska Agencja Leków uznała zatem, że korzyści płynące ze stosowania leku Waskyra przewyższają ryzyko i może on być dopuszczony do stosowania w UE.

Środki podejmowane w celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Waskyra

Firma, która wprowadza lek Waskyra do obrotu, przeprowadzi badanie w celu dalszej oceny długoterminowego bezpieczeństwa stosowania i skuteczności leku oraz przedstawi jego wyniki. Firma dostarczy także materiały edukacyjne dla personelu medycznego, który ma podawać lek, zawierające informacje na temat bezpieczeństwa jego stosowania, w tym na temat potencjalnego ryzyka wystąpienia choroby nowotworowej oraz znaczenia monitorowania i długoterminowej obserwacji osób, którym podaje się lek Waskyra. Pacjenci i opiekunowie otrzymają również materiały edukacyjne zawierające informacje o tym, kiedy należy skontaktować się z lekarzem w przypadku wątpliwości lub podejrzenia wystąpienia działań niepożądanych, jak zgłaszać działania niepożądane oraz na temat znaczenia regularnego i długoterminowego monitorowania.

W celu zapewnienia bezpiecznego i skutecznego stosowania leku Waskyra w Charakterystyce Produktu Leczniczego i w Ulotce dla pacjenta zawarto również zalecenia i środki ostrożności przeznaczone dla personelu medycznego i pacjentów.

Tak jak w przypadku wszystkich produktów leczniczych, dane na temat stosowania produktu Waskyra są stale monitorowane. Podejrzewane działania niepożądane produktu Waskyra są starannie oceniane i podejmowane są wszelkie czynności konieczne do ochrony pacjentów.

Inne informacje dotyczące leku Waskyra

Dalsze informacje dotyczące leku Waskyra znajdują się na stronie internetowej Agencji pod adresem: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.