



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigene autotemcel*)

Um resumo sobre Waskyra e por que está autorizado na União Europeia (UE)

O que é Waskyra e para que é utilizado?

Waskyra é um medicamento para o tratamento de pessoas com idade igual ou superior a 6 meses com síndrome de Wiskott-Aldrich (WAS) que têm uma mutação no gene WAS. É utilizado no tratamento de doentes para os quais é adequado um transplantação de células estaminais hematopoiéticas, mas para os quais não está disponível nenhum dador de células estaminais adequado.

A síndrome de Wiskott-Aldrich é causada por anomalias no gene que produz a proteína WAS, que se encontra nas células sanguíneas e em determinadas células do sistema imunitário (as defesas naturais do organismo). As pessoas com síndrome de Wiskott-Aldrich ficam com nódos negros e sangram facilmente porque têm muito poucas plaquetas normais (componentes que ajudam o sangue a coagular); também têm infeções frequentes porque têm muito poucas células imunitárias normais, o que pode conduzir a sépsis (quando as bactérias e as suas toxinas circulam no sangue e começam a danificar os órgãos). Além disso, existe um risco mais elevado de desenvolver alguns tipos de cancro, como o linfoma.

A síndrome de Wiskott-Aldrich é uma doença rara, e Waskyra foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 6 de junho de 2012. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no [sítio Web da EMA](#).

Waskyra contém a substância ativa etuvetidigene autotemcel, que consiste em células estaminais geneticamente modificadas colhidas do sangue do próprio doente.

Como se utiliza Waskyra?

Waskyra só pode ser obtido mediante receita médica e deve ser administrado num centro de tratamento qualificado por um médico com formação na administração deste medicamento e com experiência no transplante de células estaminais.

Waskyra é fabricado individualmente com células estaminais colhidas do sangue do próprio doente e só pode ser administrado ao doente para o qual foi fabricado. É administrado uma vez por perfusão (administração gota a gota) numa veia. Antes da administração de Waskyra, o doente receberá tratamento condicionante (preparatório) para eliminar as células da medula óssea.

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



Para mais informações sobre a utilização de Waskyra, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Waskyra?

Waskyra é produzido a partir de células estaminais (denominadas células CD34+) que são colhidas do sangue do doente. As células são geneticamente modificadas no laboratório para poderem produzir uma proteína WAS funcional. Quando transplantadas de volta para o doente, as células modificadas migram para a medula óssea, onde começam a produzir sangue e células imunitárias saudáveis que produzem uma proteína WAS funcional, ajudando assim a aliviar os sintomas da doença.

Quais os benefícios demonstrados por Waskyra durante os estudos?

Os benefícios de Waskyra foram demonstrados num programa de desenvolvimento clínico que incluiu um total de 27 doentes com síndrome de Wiskott-Aldrich. Entre estes incluíam-se 10 crianças com idades compreendidas entre os 1 e os 9 anos no estudo principal e 17 doentes com idades compreendidas entre os 1 e os 35 anos noutro estudo clínico e num programa de acesso alargado (quando as pessoas com uma patologia grave para a qual não existe tratamento autorizado recebem um medicamento experimental fora de um estudo clínico).

De um modo geral, os dados mostraram que Waskyra é eficaz na redução da ocorrência de infeções graves e episódios hemorrágicos.

O número médio de infeções graves por ano diminuiu de 2,0 acontecimentos nos 12 meses que antecederam o tratamento para 0,12 acontecimentos nos 2-3 anos após o tratamento com Waskyra. Do mesmo modo, o número médio de episódios hemorrágicos moderados e graves por ano diminuiu de 2,0 acontecimentos nos 12 meses anteriores ao tratamento para 0,16 acontecimentos nos 2-3 anos após o tratamento com Waskyra.

Quais são os riscos associados a Waskyra?

Para a lista completa de efeitos secundários e de restrições de utilização de Waskyra, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes comunicados nas pessoas tratadas com Waskyra deveram-se aos procedimentos e pré-tratamentos necessários para receber o medicamento, como o regime de condicionamento, e às condições no local de administração (infeções relacionadas com o dispositivo de perfusão, hemorragia no local do cateter).

O uso de Waskyra é contraindicado em pessoas que tenham recebido previamente um transplante de células estaminais hematopoiéticas de um dador e que ainda tenham células dadoras no seu sangue, e em pessoas que tenham recebido anteriormente terapia genética de células estaminais hematopoiéticas (um tratamento em que as células estaminais do doente são colhidas e geneticamente modificadas e depois devolvidas ao doente).

Por que está Waskyra autorizado na UE?

As pessoas com síndrome de Wiskott-Aldrich para as quais o transplante de células estaminais hematopoiéticas é adequado, mas que não têm dadores de células estaminais compatíveis, têm uma esperança de vida reduzida. No momento da autorização de Waskyra, existia a necessidade de tratamentos eficazes para estes doentes.

O tratamento com Waskyra resultou numa redução considerável das infeções graves e dos episódios hemorrágicos moderados a graves, que se mantêm durante muito tempo. A segurança do medicamento foi considerada aceitável, com precauções e medidas de monitorização relevantes descritas na informação do medicamento. Pode existir um risco teórico de cancro causado por alterações não intencionais no material genético, embora não tenham sido observados casos deste tipo até à data. Estão em vigor medidas para monitorizar esses eventos através de um estudo a longo prazo de 15 anos para caracterizar melhor a segurança de Waskyra.

Por conseguinte, a Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Waskyra são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Waskyra?

A empresa que comercializa Waskyra irá realizar e fornecer o resultado de um estudo para avaliar mais aprofundadamente a segurança e a eficácia a longo prazo do medicamento. A empresa fornecerá também material informativo aos profissionais de saúde que se espera venham a utilizar o medicamento com informações sobre a sua segurança, incluindo o potencial risco de cancro e a importância da monitorização e do acompanhamento a longo prazo das pessoas tratadas com Waskyra. Os doentes e os cuidadores receberão também material educacional com informações sobre quando contactar o seu médico em caso de preocupações ou de suspeita de efeitos secundários, como notificar efeitos secundários e a importância de uma monitorização regular e a longo prazo.

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram igualmente incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para uma utilização segura e eficaz de Waskyra.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Waskyra são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Waskyra são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Waskyra

Estão disponíveis mais informações sobre o medicamento no sítio Web da Agência:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.