



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigen autotemcel*)

Prezentare generală a Waskyra și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Waskyra și pentru ce se utilizează?

Waskyra este un medicament utilizat pentru tratarea persoanelor cu vârsta de 6 luni și peste cu sindrom Wiskott-Aldrich (WAS) care au o mutație a genei WAS. Se utilizează pentru tratarea pacienților pentru care transplantul de celule stem hematopoietice este adecvat, dar pentru care nu este disponibil niciun donator compatibil de celule stem.

Sindromul Wiskott-Aldrich este cauzat de anomalii ale genei care produce proteina WAS, care se găsește în celulele sanguine și în anumite celule ale sistemului imunitar (mecanismul natural de apărare al organismului). Persoanele cu sindrom Wiskott-Aldrich fac vânătăi și sângerează ușor, deoarece au prea puține trombocite normale (componente care ajută la coagularea sângelui). De asemenea, au infecții frecvente, deoarece au prea puține celule imunitare normale, ceea ce poate duce la septicemie (când în sânge circulă bacterii și toxine care încep să afecteze organele). În plus, există un risc mai mare de apariție a anumitor tipuri de cancer, cum ar fi limfomul.

Sindromul Wiskott-Aldrich este rar, iar Waskyra a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 6 iunie 2012. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul EMA](https://www.ema.europa.eu/en/about-us/orphan).

Waskyra conține substanța activă etuvetidigen autotemcel, care constă în celule stem modificate genetic prelevate din sângele pacientului.

Cum se utilizează Waskyra?

Waskyra se poate obține numai pe bază de prescripție medicală și trebuie administrat într-un centru de tratament autorizat, de către un medic instruit în administrarea acestui medicament și cu experiență în transplantul de celule stem.

Waskyra se prepară individual pentru fiecare pacient, din propriile celulele stem prelevate din sânge și trebuie administrat doar pacientului pentru care a fost preparat. Se administrează o singură dată prin perfuzie intravenoasă (picurare în venă). Înainte de administrarea Waskyra, pacientul va primi tratament de condiționare (pregătire) pentru a-i curăța măduva de celule.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Waskyra, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

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](https://www.ema.europa.eu/en/how-to-find-us)

Send us a question Go to [www.ema.europa.eu/contact](https://www.ema.europa.eu/en/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



Cum acționează Waskyra?

Waskyra este produs din celule stem (numite celule CD34+) care sunt prelevate din sângele pacientului. Celulele sunt modificate genetic în laborator astfel încât să poată produce o proteină WAS funcțională. Când sunt transplantate înapoi pacientului, celulele modificate migrează în măduvă, unde încep să producă sânge și celule imunitare sănătoase care produc o proteină WAS funcțională, contribuind astfel la ameliorarea simptomelor bolii.

Ce beneficii a prezentat Waskyra pe parcursul studiilor?

Beneficiile Waskyra au fost demonstrate într-un program de dezvoltare clinică la care au participat în total 27 de pacienți cu sindrom Wiskott-Aldrich. Dintre aceștia, 10 au fost copii cu vârsta între 1 și 9 ani în studiul principal și 17 pacienți cu vârsta între 1 și 35 de ani din alt studiu clinic și dintr-un program de acces extins (când persoanelor cu o afecțiune gravă pentru care nu există niciun tratament autorizat li se administrează un medicament de investigație clinică în afara unui studiu clinic).

În general, datele au arătat că Waskyra este eficace în reducerea apariției infecțiilor severe și a episoadelor de sângerare.

Numărul mediu anual de infecții severe a scăzut de la 2,0 evenimente în cele 12 luni anterioare tratamentului la 0,12 evenimente în cei 2-3 ani după tratamentul cu Waskyra. În mod similar, numărul mediu anual de episoade de sângerare moderată și severă a scăzut de la 2,0 evenimente în cele 12 luni anterioare tratamentului la 0,16 evenimente în cei 2-3 ani după tratamentul cu Waskyra.

Care sunt riscurile asociate cu Waskyra?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Waskyra, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse raportate la persoanele tratate cu Waskyra s-au datorat procedurilor și tratamentelor prealabile necesare pentru administrarea medicamentului, cum ar fi regimul de condiționare, precum și condițiilor de la locul de administrare (infecții asociate dispozitivului de perfuzie, sângerare la locul de introducere al cateterului).

Waskyra este contraindicat la persoanele care au primit anterior un transplant de celule stem hematopoietice de la un donator și care au încă celule donatoare în sânge sau la cele care au primit anterior terapie genică cu celule stem hematopoietice (un tratament în care celulele stem ale pacientului sunt colectate și modificate genetic și apoi returnate pacientului).

De ce a fost autorizat Waskyra în UE?

Persoanele cu sindrom Wiskott-Aldrich pentru care este adecvat transplantul de celule stem hematopoietice, dar care nu au donator compatibil de celule stem, au o speranță de viață redusă. La momentul autorizării Waskyra, era nevoie de tratamente eficace pentru acești pacienți.

Tratamentul cu Waskyra a dus la o reducere considerabilă a infecțiilor severe și a episoadelor hemoragice moderate până la severe, care se menține pentru o perioadă lungă. Siguranța medicamentului a fost considerată acceptabilă, cu precauțiile și măsurile de monitorizare relevante descrise în informațiile referitoare la medicament. Ar putea exista un risc teoretic de cancer cauzat de modificări neintenționate ale materialului genetic, deși până în prezent nu s-au observat asemenea cazuri. Sunt instituite măsuri de monitorizare pentru asemenea evenimente printr-un studiu pe termen lung de 15 ani pentru a caracteriza mai bine siguranța Waskyra.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Waskyra sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Waskyra?

Compania care comercializează Waskyra va efectua și va furniza rezultatul unui studiu pentru a evalua în continuare siguranța și eficacitatea pe termen lung a medicamentului. De asemenea, compania va furniza materiale educaționale pentru personalul medical care se preconizează că va utiliza medicamentul, cu informații privind siguranța acestuia, inclusiv riscul potențial de cancer și importanța monitorizării și urmăririi pe termen lung a persoanelor tratate cu Waskyra. Pacienții și îngrijitorii vor primi, de asemenea, materiale educaționale cu informații despre momentul în care trebuie să se adreseze medicului în caz de motive de îngrijorare sau reacții adverse suspectate, modul de raportare a reacțiilor adverse și importanța monitorizării regulate și pe termen lung.

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse, de asemenea, recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Waskyra, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Waskyra sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Waskyra sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Waskyra

Mai multe informații despre Waskyra se pot găsi pe site-ul agenției:

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