



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigén autotemcel*)

Prehľad o lieku Waskyra a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Waskyra a na čo sa používa?

Waskyra je liek na liečbu osôb vo veku od 6 mesiacov a starších s Wiskottovým-Aldrichovým syndrómom (WAS), ktoré majú mutáciu v géne WAS. Používa sa na liečbu pacientov, u ktorých je vhodná transplantácia hematopoetických kmeňových buniek, ale pre ktorých nie je k dispozícii vhodný darca kmeňových buniek.

Wiskottový-Aldrichový syndróm je spôsobený abnormalitami génu, ktorý produkuje proteín WASnachádzajúci sa v krvných bunkách a určitých bunkách imunitného systému (prirodzenej obrany tela). U ľudí s Wiskottovým-Aldrichovým syndrómom ľahko dochádza k tvorbe podliatín a krvácaniu, pretože majú príliš málo normálnych krvných doštičiek (zložiek, ktoré pomáhajú pri zrážaní krvi). Majú aj časté infekcie, pretože majú príliš málo normálnych imunitných buniek, čo by mohlo viesť k sepe (keď baktérie a ich toxíny cirkulujú v krvi a začínajú poškodzovať orgány). Okrem toho existuje vyššie riziko vzniku niektorých druhov rakoviny, ako je lymfóm.

Wiskottový-Aldrichový syndróm sa vyskytuje zriedkavo, a preto bol liek Waskyra 6. júna 2012 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke EMA](#).

Liek Waskyra obsahuje liečivo etuvetidigén autotemcel, ktoré pozostáva z geneticky modifikovaných kmeňových buniek odobratých z vlastnej krvi pacienta.

Ako sa liek Waskyra používa?

Výdaj lieku Waskyra je viazaný na lekársky predpis a liek musí podávať v kvalifikovanom liečebnom centre lekár, ktorý je vyškolený na podávanie tohto lieku a má skúsenosti s transplantáciou kmeňových buniek.

Liek Waskyra sa vyrába pre každého pacienta zvlášť z kmeňových buniek odobratých z jeho krvi a smie sa podať iba tomu pacientovi, pre ktorého bol pripravený. Liek sa podáva jedenkrát formou infúzie (na kvapkanie) do žily. Pred podaním lieku Waskyra pacient podstúpi kondicionálnu (prípravnú) liečbu na vyčistenie kostnej drene od buniek.

Viac informácií o používaní lieku Waskyra si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

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



Akým spôsobom liek Waskyra účinkuje?

Liek Waskyra sa vyrába z kmeňových buniek (nazývaných CD34+ bunky), ktoré sa odoberajú z krvi pacienta. Bunky sú v laboratóriu geneticky modifikované, aby mohli produkovať funkčný proteín WAS. Po transplantácii pacientovi upravené bunky migrujú do kostnej drene, kde začnú vytvárať zdravé krvné bunky a leukocyty, ktoré produkujú funkčný proteín WAS, čo pomáha zmierniť príznaky ochorenia.

Aké prínosy lieku Waskyra boli preukázané v štúdiách?

Prínosy lieku Waskyra sa preukázali v klinickom vývojovom programe, na ktorom sa zúčastnilo celkovo 27 pacientov s Wiskottovým-Aldrichovým syndrómom. Do hlavnej štúdie bolo zahrnutých 10 detí vo veku od 1 do 9 rokov a 17 pacientov vo veku od 1 do 35 rokov z inej klinickej štúdie a programu rozšíreného prístupu (keď sa osobám so závažným ochorením, pre ktoré neexistuje povolená liečba, podáva skúšaný liek mimo klinickej štúdie).

Na základe údajov sa celkovo preukázalo, že liek Waskyra je účinný pri znižovaní výskytu závažných infekcií a epizód krvácania.

Priemerný počet závažných infekcií za rok sa znížil z 2,0 udalostí v priebehu 12 mesiacov pred liečbou na 0,12 udalostí v priebehu 2 – 3 rokov po liečbe liekom Waskyra. Podobne sa priemerný počet stredne závažných a závažných epizód krvácania za rok znížil z 2,0 udalostí počas 12 mesiacov pred liečbou na 0,16 udalostí počas 2 – 3 rokov po liečbe liekom Waskyra.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Waskyra?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Waskyra a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky hlásené u osôb liečených liekom Waskyra boli spôsobené postupmi a predbežnými liečbami potrebnými na podávanie lieku, ako je režim kondicionovania, a podmienkami v mieste podania (infekcie súvisiace s infúznym zariadením, krvácanie v mieste katétra).

Liek Waskyra sa nesmie podávať osobám, ktoré predtým podstúpili transplantáciu hematopoetických kmeňových buniek od darcu a stále majú v krvi darcovské bunky, ani osobám, ktoré predtým podstúpili génovú terapiu obsahujúcu hematopoetické kmeňové bunky (liečbu, pri ktorej sa kmeňové bunky pacienta odoberajú a geneticky modifikujú a následne sa vrátia pacientovi).

Prečo bol liek Waskyra povolený v EÚ?

Ľudia s Wiskottovým-Aldrichovým syndrómom, pre ktorých je vhodná transplantácia hematopoetických kmeňových buniek, ktorí však nemajú kompatibilného darcu kmeňových buniek, majú zníženú strednú dĺžku života. V čase povolenia lieku Waskyra bola pre týchto pacientov potrebná účinná liečba.

Liečba liekom Waskyra viedla k značnému a dlhodobému zníženiu závažných infekcií a stredne závažných až závažných epizód krvácania. Bezpečnosť lieku sa považovala za prijateľnú spolu s príslušnými preventívnymi opatreniami a opatreniami na monitorovanie, ktoré sú opísané v informáciách o lieku. Mohlo by existovať teoretické riziko rakoviny spôsobenej neúmyselnými zmenami genetického materiálu, hoci doteraz sa nepozorovali žiadne takéto prípady. Boli zavedené opatrenia na monitorovanie takýchto udalostí prostredníctvom 15-ročnej dlhodobej štúdie s cieľom lepšie charakterizovať bezpečnosť lieku Waskyra.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Waskyra sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek môže byť povolený na používanie v EÚ.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Waskyra?

Spoločnosť, ktorá liek Waskyra uvádza na trh, uskutoční štúdiu na ďalšie posúdenie dlhodobej bezpečnosti a účinnosti lieku a predloží jej výsledky. Spoločnosť takisto poskytne vzdelávacie materiály pre zdravotníckych pracovníkov, od ktorých sa očakáva, že budú liek používať, s informáciami o jeho bezpečnosti vrátane potenciálneho rizika rakoviny a význame monitorovania a dlhodobého sledovania osôb liečených liekom Waskyra. Pacienti a opatrovatelia dostanú tiež vzdelávací materiál s informáciami o tom, kedy sa obrátiť na svojho lekára v prípade obáv alebo podozrenia na vedľajšie účinky, ako hlásiť vedľajšie účinky a o dôležitosti pravidelného a dlhodobého monitorovania.

Na bezpečné a účinné používanie lieku Waskyra boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté aj odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Waskyra sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Waskyra sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Waskyra

Ďalšie informácie o lieku Waskyra sa nachádzajú na webovej stránke agentúry:

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