



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigen avtotemcel*)

Pregled zdravila Waskyra in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Waskyra in za kaj se uporablja?

Waskyra je zdravilo za zdravljenje ljudi, starih šest mesecev in več, z Wiskott-Aldrichovim sindromom (WAS), ki imajo mutacijo v genu WAS. Uporablja se za zdravljenje bolnikov, pri katerih je presaditev hematopoetskih matičnih celic primerna, vendar zanje ni na voljo ustreznega darovalca.

Wiskott-Aldrichov sindrom povzroča nepravilnosti v genu, ki proizvaja beljakovino WAS, prisotno v krvnih celicah in nekaterih celicah imunskega sistema (naravnega obrambnega mehanizma telesa). Osebe z Wiskott-Aldrichovim sindromom zlahka dobijo podplutbe in krvavijo, ker imajo premalo normalnih trombocitov (sestavin, ki pomagajo pri strjevanju krvi); pogosto se tudi okužijo, ker imajo premalo normalnih imunskih celic, kar lahko povzroči sepso (ko bakterije in njihovi toksini krožijo v krvi in začnejo škodovati organom). Poleg tega obstaja večje tveganje za razvoj nekaterih vrst raka, kot je limfom.

Wiskott-Aldrichov sindrom je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Waskyra 6. junija 2012 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Waskyra vsebuje učinkovino etuvetidigen avtotemcel, ki jo sestavljajo gensko spremenjene matične celice, odvzete iz bolnikove lastne krvi.

Kako se zdravilo Waskyra uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Waskyra je le na recept, dajati pa ga mora v kvalificiranem zdravstvenem centru zdravnik, ki je usposobljen za dajanje tega zdravila in ima izkušnje s presajanjem matičnih celic.

Zdravilo Waskyra je izdelano za vsakega bolnika posebej iz matičnih celic, pridobljenih iz njegove lastne krvi, zato se sme dati samo bolniku, za katerega je bilo izdelano. Daje se enkrat z infundiranjem (kapalno infuzijo) v veno. Pred dajanjem zdravila Waskyra bo bolnik prejel (pripravljalno) zdravljenje za odstranitev celic iz kostnega mozga.

Za več informacij glede uporabe zdravila Waskyra glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

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



Kako zdravilo Waskyra deluje?

Zdravilo Waskyra se proizvaja iz matičnih celic (imenovanih celice CD34+), ki se odvzamejo iz bolnikove krvi. Celice se v laboratoriju gensko spremenijo, tako da lahko proizvedejo funkcionalno beljakovino WAS. Po presaditvi se spremenjene celice selijo v kostni mozeg, kjer začnejo tvoriti zdravo kri in imunske celice, ki proizvajajo funkcionalno beljakovino WAS, s čimer pomagajo lajšati simptome bolezni.

Kakšne koristi zdravila Waskyra so se pokazale v študijah?

Koristi zdravila Waskyra so se pokazale v programu kliničnega razvoja, v katerega je bilo vključenih 27 bolnikov s Wiskott-Aldrichovim sindromom. V glavno študijo je bilo vključenih 10 otrok, starih od enega do devet let, in 17 bolnikov, starih od enega do 35 let, iz druge klinične študije in razširjenega programa dostopa (kadar osebe z resnim obolenjem, za katero ni odobrenega zdravljenja, prejmejo zdravilo v preskušanju zunaj klinične študije).

Na splošno so podatki pokazali, da je zdravilo Waskyra učinkovito pri zmanjševanju pojavnosti hudih okužb in epizod krvavitev.

Povprečno število hudih okužb na leto se je zmanjšalo z 2,0 dogodka v 12 mesecih pred zdravljenjem na 0,12 dogodka v 2–3 letih po zdravljenju z zdravilom Waskyra. Podobno se je povprečno število zmernih in hudih krvavitev na leto zmanjšalo z 2,0 dogodka v 12 mesecih pred zdravljenjem na 0,16 dogodka v 2–3 letih po zdravljenju z zdravilom Waskyra.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Waskyra?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Waskyra glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki, o katerih so poročali pri osebah, zdravljenih z zdravilom Waskyra, so bili posledica postopkov in predhodnih zdravljenj, potrebnih za prejem zdravila, kot je režim kondicioniranja, ter pogojev na mestu aplikacije (okužbe, povezane z infuzijskim pripomočkom, krvavitve na mestu katetra).

Zdravilo Waskyra se ne sme dajati osebam, ki so predhodno prejele krvotvorne matične celice darovalca in imajo v krvi še vedno njegove celice, ali osebam, ki so predhodno prejele gensko zdravljenje s krvotvornimi matičnimi celicami (zdravljenje, pri katerem se odvzamejo bolnikove matične celice, gensko spremenijo ter nato vrnejo bolniku).

Zakaj je bilo zdravilo Waskyra odobreno v EU?

Za osebe z Wiskott-Aldrichovim sindromom, za katere je presaditev hematopoetskih matičnih celic primerna, vendar nimajo združljivega darovalca, pričakovana življenjska doba krajša. V času odobritve zdravila Waskyra je obstajala potreba po učinkovitem zdravljenju za te bolnike.

Po prejemu zdravila Waskyra se je znatno in dolgotrajno zmanjšalo število hudih okužb in zmernih do hudih krvavitev. Varnost zdravila je bila ocenjena kot sprejemljiva z ustreznimi previdnostnimi ukrepi in ukrepi za spremljanje, opisanimi v informacijah o zdravilu. Obstaja sicer teoretično tveganje za raka, ki bi ga povzročile nenamerne spremembe genskega materiala, čeprav takšnih primerov do zdaj niso opazili. Vzpostavljeni so ukrepi za spremljanje tovrstnih dogodkov s 15-letno dolgoročno študijo za boljšo opredelitev varnosti zdravila Waskyra.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Waskyra večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Waskyra?

Podjetje, ki trži zdravilo Waskyra, bo izvedlo in zagotovilo rezultate študije za nadaljnjo oceno dolgoročne varnosti in učinkovitosti zdravila. Podjetje bo zagotovilo tudi izobraževalno gradivo za zdravstvene delavce, za katere se pričakuje, da bodo uporabljali zdravilo, z informacijami o njegovi varnosti, vključno z morebitnim tveganjem za nastanek raka ter pomenom nadzora in dolgoročnega spremljanja oseb, zdravljenih z zdravilom Waskyra. Bolniki in negovalci bodo prejeli tudi izobraževalno gradivo z informacijami o tem, kdaj se posvetovati z zdravnikom v primeru pomislekov ali domnevnih neželenih učinkov, kako poročati o neželenih učinkih ter o pomenu rednega in dolgoročnega spremljanja.

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Waskyra upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni tudi v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Waskyra stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Waskyra, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Waskyra

Nadaljnje informacije za zdravilo Waskyra so na voljo na spletni strani agencije:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/waskyra.