



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Waskyra (*etuvetidigen autotemcel*)

Sammanfattning av Waskyra och varför det är godkänt inom EU

Vad är Waskyra och vad används det för?

Waskyra är ett läkemedel som används för att behandla vuxna och barn från 6 månaders ålder med Wiskott-Aldrichs syndrom (WAS) och en mutation i WAS-genen. Läkemedlet används för att behandla patienter som kan komma i fråga för en hematopoetisk stamcellstransplantation men som saknar en lämplig stamcellsdonator.

Wiskott-Aldrichs syndrom orsakas av avvikelser i den gen som producerar WAS-proteinet, vilken finns i blodkroppar och vissa celler i immunsystemet (kroppens naturliga försvar). Personer som har Wiskott-Aldrichs syndrom får lätt blåmärken och blödningar eftersom de har för få normala blodplättar (blodkomponenter som medverkar i koaguleringsprocessen). De får också ofta infektioner eftersom de har för få normala immunceller, vilket kan leda till sepsis (när bakterier och tillhörande toxiner tar sig ut i blodomloppet och börjar skada organ i kroppen). Dessutom löper dessa patienter en förhöjd risk för att utveckla vissa typer av cancer, såsom lymfom.

Wiskott-Aldrichs syndrom är sällsynt och Waskyra klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 6 juni 2012. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på [EMA:s webbplats](#).

Waskyra innehåller den aktiva substansen etuvetidigen autotemcel, som består av genetiskt modifierade stamceller som extraherats ur patientens eget blod.

Hur används Waskyra?

Waskyra är receptbelagt och måste ges vid en kvalificerad behandlingsklinik av en läkare som utbildats i att ge detta läkemedel och som har erfarenhet av stamcellstransplantationer.

Waskyra framställs individuellt för varje patient av stamceller från dennes eget blod och läkemedlet får endast ges till den patient som det framställts för. Det ges en enda gång genom infusion (dropp) i en ven. Innan Waskyra ges ska patienten få en konditioneringsbehandling (förberedande behandling) för att rensa benmärgen från celler.

För mer information om hur du använder Waskyra, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

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



Hur verkar Waskyra?

Waskyra framställs av stamceller (celler av typen CD34+) som samlas in från patientens blod. Cellerna modifieras genetiskt i laboratorium så att de kan producera normalt fungerande WAS-protein. När de modifierade cellerna transplanteras tillbaka till patienten migrerar de till benmärgen där de börjar bilda friska blod- och immunceller som producerar normalt fungerande WAS-protein, vilket bidrar till att lindra sjukdomssymtomen.

Vilka fördelar med Waskyra har visats i studierna?

Fördelarna med Waskyra visades i ett kliniskt utvecklingsprogram som omfattade sammanlagt 27 patienter med Wiskott-Aldrichs syndrom. Av dessa var 10 patienter barn mellan i åldern 1–9 år från huvudstudien, och övriga 17 patienter var i åldern 1–35 år och kom från en annan klinisk studie och ett program för utökad tillgång (när personer med ett allvarligt tillstånd för vilket det inte finns någon godkänd behandling ges ett prövningsläkemedel utanför en klinisk studie).

Totalt sett visade uppgifterna att Waskyra är effektivt när det gäller att minska förekomsten av allvarliga infektioner och blödningsepisoder.

Det genomsnittliga antalet allvarliga infektioner per år minskade från 2,0 händelser under de 12 månaderna som föregick behandlingen till 0,12 händelser under de 2–3 åren som följde efter behandling med Waskyra. På samma sätt minskade det genomsnittliga antalet måttliga och allvarliga blödningsepisoder per år från 2,0 händelser under de 12 månaderna som föregick behandlingen till 0,16 händelser under de 2–3 åren som följde efter behandlingen med Waskyra.

Vilka är riskerna med Waskyra?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Waskyra finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som rapporterades hos personer som behandlades med Waskyra orsakades av de procedurer och förbehandlingar som krävdes för att ta läkemedlet, såsom konditioneringsbehandling, och av förhållanden på administreringsstället (infektioner kopplade till infusionsenheten, blödning på kateterstället).

Waskyra får inte ges till personer som tidigare har genomgått en hematopoetisk stamcellstransplantation från en donator och som fortfarande har donatorceller i blodet, eller till personer som tidigare har fått hematopoetisk stamcellsgenterapi (en behandling där patientens stamceller samlas in, modifieras genetiskt och sedan återförs till patienten).

Varför är Waskyra godkänt i EU?

Personer med Wiskott-Aldrichs syndrom som kan komma i fråga för en hematopoetisk stamcellstransplantation men som saknar en kompatibel stamcellsdonator har en minskad förväntad livslängd. Vid tidpunkten för godkännandet av Waskyra fanns det ett behov av effektiva behandlingar för dessa patienter.

Behandling med Waskyra ledde till en betydande och långvarig minskning av allvarliga infektioner och av måttliga till allvarliga blödningsepisoder. Läkemedlets säkerhet ansågs godtagbar under förutsättning att de relevanta försiktighetsåtgärder och övervakningsåtgärder som beskrivs i produktinformationen vidtas. Det finns en teoretisk risk för cancer orsakad av oavsiktliga förändringar i det genetiska materialet. Inga sådana fall har dock påträffats än så länge. Åtgärder har vidtagits för att övervaka sådana händelser genom en långtidsstudie som ska pågå i 15 år för att bättre karakterisera Waskyras säkerhet.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Waskyra är större än riskerna och att Waskyra kan godkännas för försäljning i EU.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Waskyra?

Företaget som marknadsför Waskyra kommer att genomföra och lämna in resultatet av en studie för att ytterligare bedöma läkemedlets långsiktiga säkerhet och effekt. Företaget kommer också att tillhandahålla utbildningsmaterial för hälso- och sjukvårdspersonal som förväntas använda läkemedlet, med information om dess säkerhet, inklusive den potentiella risken för cancer och vikten av övervakning och långsiktig uppföljning av personer som behandlas med Waskyra. Patienter och vårdare kommer också att få utbildningsmaterial med information om när de bör kontakta sin läkare vid farhågor eller misstänkta biverkningar, hur man rapporterar biverkningar och vikten av regelbunden och långvarig övervakning.

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Waskyra har också tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Waskyra kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Waskyra utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Waskyra

Mer information om Waskyra finns på EMA:s webbplats:

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