



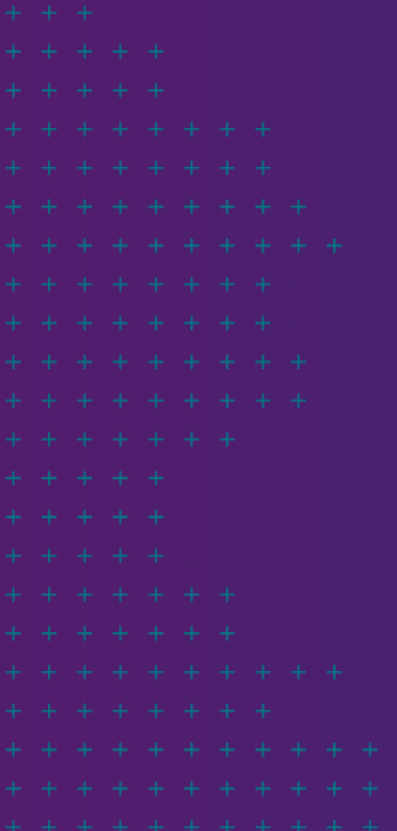
# **Etuvetidigene autotemcel (Waskyra®) para el síndrome de Wiskott-Aldrich.**

Observatorio Argentino CETSAI  
para la innovación  
farmacéutica.

Informe: 16

Versión: 01

Fecha de última actualización: Julio de 2026



**UNIVERSIDAD  
ISALUD**

**CETSAI**

CENTRO de EVALUACIÓN de TECNOLOGÍAS  
SANITARIAS, ACCESO e INNOVACIÓN



## RESUMEN

El síndrome de Wiskott-Aldrich es una inmunodeficiencia primaria rara, recesiva ligada al cromosoma X, causada por variantes patogénicas en el gen WAS, que alteran la función de la proteína WASp en células hematopoyéticas y generan un cuadro caracterizado por trombocitopenia con microplaquetas, infecciones recurrentes, eccema, autoinmunidad y mayor riesgo de neoplasias hematológicas. En los casos graves, el trasplante alogénico de células madre hematopoyéticas constituye la principal alternativa curativa, aunque su utilización puede verse limitada por la ausencia de un donante HLA compatible y por complicaciones asociadas al procedimiento.

Etuvetidigene autotemcel (Waskyra®) es una terapia génica autóloga ex vivo basada en células madre y progenitoras hematopoyéticas CD34+ del propio paciente, modificadas con un vector lentiviral que incorpora una copia funcional del gen WAS. Recientemente, la Unión Europea y los Estados Unidos de América autorizaron su comercialización para pacientes con síndrome de Wiskott-Aldrich con mutación en WAS candidatos a trasplante de células madre hematopoyéticas, en ausencia de un donante HLA emparentado compatible, posicionándola como una alternativa potencialmente curativa para una población con alta necesidad no cubierta.

La evidencia clínica incluida corresponde a estudios abiertos, no aleatorizados y de un solo brazo, además de programas de acceso expandido, en los que se observarían beneficios clínicos sostenidos, con reducción de infecciones graves, disminución de eventos hemorrágicos, injerto estable de células corregidas y mejoría de parámetros inmunológicos, aunque con persistencia de trombocitopenia residual en algunos pacientes.

No se hallaron evaluaciones económicas formales publicadas ni recomendaciones específicas para Argentina o Latinoamérica. A nivel internacional, se identificó un informe de escaneo del horizonte que describió tempranamente la tecnología como una opción emergente para pacientes sin donante compatible. Etuvetidigene autotemcel representa una innovación estratégica al constituir la primera terapia génica aprobada para el síndrome de Wiskott-Aldrich. Sus estrategias de acceso se concentran inicialmente en Estados Unidos y la Unión Europea, sin evidencia pública de planes concretos de ingreso a Argentina o América Latina hasta la fecha.

El presente trabajo es un documento de Escaneo del Horizonte priorizado, realizado y autofinanciado por el Observatorio Argentino CETSAI para la innovación farmacéutica. El Centro de Evaluación de Tecnologías Sanitarias, Acceso e Innovación (CETSAI) en la universidad ISALUD pretende adelantar información confiable al sistema de salud argentino para la toma de decisiones sobre el acceso a la innovación farmacéutica aún no disponible en el país.

Para citar esta publicación: Etuvetidigene autotemcel (Waskyra®) para el síndrome de Wiskott-Aldrich. Observatorio Argentino CETSAI para la innovación farmacéutica, Informe de Escaneo del Horizonte N° 16, versión 01, Buenos Aires, Argentina. Julio 2026. Disponible en: <https://cetsai.isalud.edu.ar/>

## SUMMARY

Wiskott-Aldrich syndrome is a rare, X-linked recessive primary immunodeficiency caused by pathogenic variants in the WAS gene. These variants alter the function of the WASp protein in hematopoietic cells, resulting in a clinical picture characterized by thrombocytopenia with microplatelets, recurrent infections, eczema, autoimmunity, and an increased risk of hematologic malignancies. In severe cases, allogeneic hematopoietic stem cell transplantation is the main curative option, although its use can be limited by the lack of an HLA-matched donor and by complications associated with the procedure.

Etuvetidigene autotemcel (Waskyra®) is an ex vivo autologous gene therapy based on the patient's own CD34+ hematopoietic stem and progenitor cells, modified with a lentiviral vector that incorporates a functional copy of the WAS gene. Recently, the European Union and the United States of America authorized its commercialization for patients with Wiskott-Aldrich syndrome with a WAS mutation who are candidates for hematopoietic stem cell transplantation, in the absence of a matched HLA-related donor, positioning it as a potentially curative alternative for a population with a high unmet need.

The included clinical evidence corresponds to open-label, non-randomized, single-arm studies, as well as expanded access programs, in which sustained clinical benefits were observed, with a reduction in serious infections, a decrease in bleeding events, stable engraftment of corrected cells, and improvement in immunological parameters, although with persistent residual thrombocytopenia in some patients.

No formal published economic evaluations or specific recommendations for Argentina or Latin America were found. Internationally, a Horizon Scanning report was identified that described the technology early on as an emerging option for patients without a matched donor. Etuvetidigene autotemcel represents a strategic innovation as the first approved gene therapy for Wiskott-Aldrich syndrome. Its access strategies are initially focused on the United States and the European Union, with no public evidence of concrete plans for its entry into Argentina or Latin America to date.

This work is a Horizon Scanning document prioritized, conducted and self-funded by the CETSAI Argentine Observatory for Pharmaceutical Innovation. The Center for Health Technology Assessment, Access, and Innovation (CETSAI) at ISALUD University aims to provide the Argentine healthcare system with reliable information for decision-making regarding access to pharmaceutical innovation not yet available in the country.

To cite this publication: Etuvetidigene autotemcel (Waskyra®) for Wiskott-Aldrich syndrome. Argentine Observatory for Pharmaceutical Innovation CETSAI, Horizon Scanning Report No. 16, version 01, Buenos Aires, Argentina. July 2026. Available at: <https://cetsai.isalud.edu.ar/>

## INTRODUCCIÓN

El síndrome de Wiskott-Aldrich (WAS) es una inmunodeficiencia primaria rara, recesiva ligada al cromosoma X, causada por variantes patogénicas en el gen WAS, que codifica la proteína WASp, un regulador clave de la polimerización de actina en células hematopoyéticas.<sup>1,2</sup> La deficiencia o disfunción de WASp altera la organización del citoesqueleto y compromete procesos esenciales como la activación, migración, adhesión y sinapsis inmunológica de linfocitos, células dendríticas y otras células del sistema inmune, además de afectar la formación y función plaquetaria. Como resultado, la enfermedad produce una combinación característica de trombocitopenia con microplaquetas, susceptibilidad a infecciones, eccema, autoinmunidad y mayor riesgo de neoplasias hematológicas, configurando un trastorno multisistémico con impacto clínico potencialmente grave desde edades tempranas.<sup>1-3</sup>

Es una enfermedad rara a nivel global, con una prevalencia estimada entre 1 y 9 casos por cada 1 000 000 de habitantes y una incidencia inferior a 1 por cada 100.000 nacidos vivos, afectando casi exclusivamente a varones por su patrón recesivo ligado al cromosoma X. En registros históricos de Norteamérica se han descrito tasas aproximadas de 1–4 casos por millón de recién nacidos masculinos vivos, mientras que estudios recientes sitúan la incidencia alrededor de 1 caso por cada 100.000 nacimientos, lo que corresponde con los datos de registros europeos. En América Latina, series de inmunodeficiencias primarias reportan una proporción pequeña dentro de los síndromes de inmunodeficiencia bien definidos, con una prevalencia aproximada de 4 casos por cada millón de nacidos vivos, cifra que orienta pero probablemente subestima la carga real por sub-diagnóstico, un escenario que se considera plausible también para Argentina ante la ausencia de registros nacionales específicos y la dependencia de reportes aislados y de registros regionales.<sup>1-5</sup>

El diagnóstico del síndrome de Wiskott-Aldrich se basa en la sospecha clínica ante varones con trombocitopenia y plaquetas pequeñas, eccema e infecciones recurrentes, apoyado por estudios de laboratorio que muestran alteraciones en el recuento plaquetario, en las inmunoglobulinas séricas y en la función de los linfocitos T y B, y se confirma mediante la identificación de una mutación patogénica en el gen WAS.<sup>1</sup> El pronóstico está estrechamente ligado a la precocidad del diagnóstico y al acceso a tratamiento potencialmente curativo: sin trasplante de progenitores hematopoyéticos ni terapia génica, la esperanza de vida histórica se situaba alrededor de los 3–15 años debido a hemorragias graves, infecciones severas, autoinmunidad y neoplasias; mientras que con un manejo integral de soporte y la realización de trasplante en centros especializados la supervivencia puede extenderse más allá de la segunda década de la vida y aproximarse a valores cercanos a la población general en muchos pacientes.<sup>1,3-5</sup>

El manejo requiere un abordaje multidisciplinario y precoz, con participación coordinada de especialistas en inmunología, hematología, infectología, dermatología, genética y trasplante, debido a la combinación de inmunodeficiencia, trombocitopenia, eccema, autoinmunidad y riesgo de neoplasias asociada a la enfermedad. En la práctica, el tratamiento combina medidas de soporte para prevenir infecciones, controlar sangrados y tratar complicaciones inflamatorias, junto con la evaluación temprana de estrategias potencialmente curativas, centradas en el trasplante alogénico de progenitores hematopoyéticos y terapia génica.<sup>1,5-7</sup>

## TECNOLOGÍA

Etuvetidigene autotemcel (Waskyra®; Fondazione Telethon) es una terapia génica autóloga ex vivo compuesta por células madre y progenitoras hematopoyéticas CD34+ del propio paciente, que son recolectadas de sangre periférica movilizada y transducidas en laboratorio con un vector lentiviral que inserta una o más copias funcionales del gen humano WAS en el genoma celular.<sup>8,9</sup> Tras su reinfusión intravenosa, estas células genéticamente corregidas se injertan en la médula ósea, repueblan el compartimento hematopoyético y dan origen a linajes mieloides y linfoides capaces de expresar proteína WAS funcional, con el objetivo de corregir el defecto biológico subyacente de la enfermedad y restaurar progresivamente la función inmune y hematológica.<sup>8,9</sup>

Se administra como una única dosis por infusión intravenosa, compuesta por una suspensión de células CD34+ autólogas viables en una o más bolsas, con una dosis mínima recomendada de  $7 \times 10^6$  células CD34+/kg de peso corporal al momento de la infusión.<sup>10</sup> El volumen máximo que se debe administrar no debe superar el 20% del volumen plasmático estimado del paciente. La administración debe realizarse en un centro calificado, por vía intravenosa a través de un catéter venoso central, infundiendo una bolsa por vez, a una velocidad no mayor de 5 mL/kg/h y, en general, en aproximadamente 30 minutos por bolsa, utilizando un set de transfusión con filtro de 200 µm. Previamente se recomienda premedicación antialérgica, coordinar estrictamente el descongelamiento para administrar el producto de inmediato y completar la infusión dentro de las 2 horas posteriores al descongelado, además de monitorizar estrechamente signos vitales y síntomas antes, durante y después de la infusión por el riesgo de reacciones de hipersensibilidad relacionadas, entre otros factores, con el dimetilsulfóxido presente en la formulación.<sup>8-10</sup>

La Administración de Alimentos y Medicamentos de los Estados Unidos (FDA, su sigla del inglés *U.S. Food and Drug Administration*) autorizó la comercialización de etuvetidigene autotemcel en diciembre de 2025 mediante una Solicitud de Licencia de Biológicos, con designaciones de Medicamento Huérfano, Enfermedad Pediátrica Rara, Revisión Prioritaria y Terapia Avanzada de Medicina Regenerativa, en el marco de flexibilidad regulatoria para una enfermedad rara y potencialmente mortal, aceptando evidencia de estudios abiertos y de programas de acceso ampliado.<sup>10,11</sup> La Agencia Europea de Medicamentos (EMA, su sigla del inglés *European Medicines Agency*) otorgó la autorización de comercialización en enero de 2026 bajo el estatus de medicamento huérfano y acompañada de un plan de gestión de riesgos con requerimientos de seguimiento prolongado de seguridad y efectividad.<sup>12</sup> Para ambas agencias su autorización es para el tratamiento de pacientes pediátricos de 6 meses de edad y mayores y adultos con síndrome de Wiskott-Aldrich que tienen una mutación en el gen WAS para quienes el trasplante de células madre hematopoyéticas es apropiado y no se encuentra disponible un donante de células madre relacionado compatible con el antígeno leucocitario humano adecuado.<sup>10,12</sup>

## OBJETIVO

El objetivo del presente documento de Evaluación de Tecnología Sanitaria (ETESA) ultrarrápida de Escaneo del Horizonte es evaluar los parámetros de eficacia, seguridad, costos y recomendaciones disponibles acerca del empleo de etuvetidigene autotemcel (Waskyra®) para el síndrome de Wiskott-Aldrich ajustados a las necesidades, valores y preferencias del sistema de salud de Argentina.

## MÉTODOS

Los informes del Observatorio Argentino CETSAI para la innovación farmacéutica siguen los lineamientos de la Comisión Nacional de Evaluación de Tecnologías Sanitarias y Excelencia Clínica (CONETEC) en el Ministerio de Salud de la Nación (Resolución Ministerial 2092/23; Disponible en: <https://www.boletinoficial.gob.ar/detalleAviso/primera/294474/20230920>) y la Red Internacional EuroScan (EuroScan International Network, A toolkit for the identification and assessment of new and emerging health technologies, 2014, EuroScan International Network: Birmingham. Disponible en: <https://www.euroscan.org/methods/methods-toolkit/>).

Se realizó una estrategia de búsqueda bibliográfica en los repositorios de PUBMED, LILACS, BRISA, COCHRANE, TRIPDATABASE, ClinicalTrials.gov., y la Plataforma de Registro Internacional de Ensayos Clínicos. Se buscó específicamente en las página web del Observatorio de Innovación del Instituto Nacional de Investigación en Salud (NIHR Innovation Observatory, su sigla del inglés *National Institute for Health Research Innovation Observatory*) de la Universidad de Newcastle y de la HealthTechScan internacional. Se complementó la misma con una búsqueda en Google Académico y Perplexity (Perplexity, 2026. Perplexity.ai. Disponible en: <https://www.perplexity.ai/>) para el recupero de literatura gris publicada por productores de la tecnología, organizaciones de pacientes, sociedades científicas, agencias reguladoras, financiadores de salud y organismos de ETESA.

Para comprender las necesidades, valores y preferencias del sistema de salud de Argentina se publicó un formulario de consulta pública para toda la sociedad en la web del CETSAI. El formulario estuvo disponible con anterioridad a la publicación de este informe y por un período de 7 (siete) días corridos con preguntas específicas que colaboraron a comprender el contexto argentino.

Se priorizó la inclusión de artículos para Argentina y Latinoamérica, revisiones sistemáticas con meta-análisis, ensayos clínicos controlados aleatorizados; así como también estudios de la vida real, informes de ETESA, evaluaciones económicas y recomendaciones para la práctica clínica y de cobertura.

La fecha de búsqueda de información fue hasta el 9 de Julio de 2026. Para la búsqueda en Pubmed se utilizó la siguiente estrategia de búsqueda: etuvetidigene autotemcel [Supplementary Concept] OR etuvetidigene autotemcel [tiab] OR Waskyra[tiab] OR Etu-cel[tiab] OR OTL-103[tiab]

## EVIDENCIA CLÍNICA

A continuación se resumen las características de la evidencia seleccionada.

Tabla 1. Resumen de la evidencia seleccionada.

| Estudios                                               | Diseño                                                                                                                                                          | Población                                                                                                                                                                                                                                                                    | Intervención y comparador                                                                                                                                                                                                                             | Desenlaces                                                                                                                                |
|--------------------------------------------------------|-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|-------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------|
| <b>Ferrua y cols, 2025 (preprint)</b> <sup>13–15</sup> | Análisis integrado de 2 ensayos prospectivos abiertos (fase I/II TIGET-WAS, n=8; fase III OTL-103-4, n=10) y un EAP, n=9 tratados; 10 enrolados, 1 no tratado). | 27 pacientes con WAS tratados con etuvetidigene autotemcel; mediana de edad 2,6 años (rango 1,0–35,1), 66,7% menores de 5 años, mayoría con enfermedad severa y mutación clase II; sin donante HLA idéntico relacionado disponible. Seguimiento mediano 5,7 años (0,4–13,3). | Etuvetidigene autotemcel autólogo IV tras rituximab y acondicionamiento de intensidad reducida con busulfán ajustado por peso/farmacocinética y fludarabina.<br><br>Sin grupo control concurrente; comparación pre- y post-tratamiento intrapaciente. | Primarios: SG; tasa de infecciones severas entre 6–18 meses; tasa de sangrados moderados/severos en los primeros 12 meses postratamiento. |

\* EAP: programa de acceso expandido; HLA: antígeno leucocitario humano; IV: intravenoso; SG: supervivencia global; WAS: síndrome de Wiskott-Aldrich.

Ferrua y cols. en el año 2025 comunicaron en un preprint un análisis integrado de la evidencia clínica de etuvetidigene autotemcel en pacientes con síndrome de Wiskott-Aldrich, con el objetivo de estimar su eficacia y seguridad a largo plazo a partir del programa completo de desarrollo clínico.<sup>13</sup> El análisis combinó datos de dos estudios prospectivos abiertos —un ensayo fase I/II (TIGET-WAS; n=8) y un ensayo fase III multicéntrico (OTL-103-4; n=10)— junto con un programa de acceso expandido, alcanzando un total de 27 pacientes tratados con seguimiento prolongado.<sup>14,15</sup>

Los criterios de inclusión contemplaron pacientes con diagnóstico molecular confirmado de síndrome de Wiskott-Aldrich, sin donante relacionado HLA idéntico disponible, y con al menos uno de los siguientes criterios de gravedad: mutación severa, ausencia de expresión de WASP y/o puntaje clínico severo. La mediana de edad al tratamiento fue de 2,6 años (rango 1,0 a 35,1), la mayoría de los pacientes presentaba enfermedad clínicamente grave, y el



seguimiento mediano fue de 5,7 años, con observaciones de hasta 13,3 años. La intervención consistió en una única infusión intravenosa de etuvetidigene autotemcel luego de rituximab y acondicionamiento de intensidad reducida con busulfán ajustado por peso/farmacocinética y fludarabina.

En los resultados integrados, la supervivencia global fue de 96% al año y a los 5 años, registrándose una única muerte temprana en un paciente del programa de acceso expandido por deterioro de una condición neurológica preexistente, considerada no relacionada con etuvetidigene autotemcel. La tasa de infecciones severas disminuyó de 2,00 a 0,15 eventos por paciente-año entre el período previo al tratamiento y los 6–18 meses posteriores, mientras que la tasa de sangrados moderados o severos descendió de 2,00 a 0,80 eventos por paciente-año durante el primer año postratamiento. Además, se reportó injerto multilineal sostenido de células corregidas, aumento de la expresión de WASP en linfocitos y plaquetas, mejoría de la función de células T, incremento persistente del recuento plaquetario y resolución o mejoría marcada de eccema, autoinmunidad y necesidad de tratamientos de soporte como inmunoglobulinas, antimicrobianos y transfusiones plaquetarias.

En términos de seguridad, no se reportaron eventos adversos atribuidos al producto, ni evidencia de lentivirus replicativo, respuesta inmune contra la proteína transgénica, proliferación clonal anormal u oncogénesis insercional. Los eventos adversos serios ocurrieron principalmente en los primeros 6 meses y estuvieron mayormente vinculados al período de reconstitución hematológica y a infecciones relacionadas con dispositivos, en un contexto clínico esperable para pacientes sometidos a acondicionamiento e infusión de progenitores hematopoyéticos.<sup>13</sup>



## **COSTOS**

No se hallaron evaluaciones económicas publicadas para Argentina y el Mundo que mencionen el medicamento en la indicación evaluada. Tampoco se hallaron precios de adquisición oficiales para la tecnología. Una fuente farmacológica europea estimó que el costo de una única terapia con etuvetidigene autotemcel se situaría alrededor de 2,5 millones de euros (ARS 4.375.000.000 / Julio 2026), sin desglosar si se trata de precio de lista, costo hospitalario o estimación basada en otros productos comparables.<sup>16,17</sup>

## **RECOMENDACIONES**

No se hallaron recomendaciones que mencionen el medicamento en la indicación evaluada.

El Observatorio de Innovación del Instituto Nacional de Investigación en Salud y Atención Médica de Reino Unido publicó un informe breve de escaneo del horizonte que describe esta terapia génica autóloga lentiviral para el síndrome de Wiskott-Aldrich, detallando su mecanismo de acción, el contexto de alta necesidad no cubierta en pacientes sin donante HLA idéntico, y los datos interinos de un estudio fase I/II abierto, al tiempo que señala la ausencia de recomendaciones del Instituto Nacional para la Excelencia en la Salud y la Atención específicas y la incertidumbre sobre costos y posición terapéutica definitiva al momento del análisis.<sup>18</sup>

## INNOVACIÓN ESTRATÉGICA

Etuvetidigene autotemcel (Waskyra®) representa una innovación estratégica porque es la primera terapia génica ex vivo aprobada para el síndrome de Wiskott-Aldrich, basada en la corrección de células madre hematopoyéticas autólogas mediante un vector lentiviral con el gen WAS, lo que ofrece una alternativa potencialmente curativa para pacientes sin donante HLA compatible y evita riesgos clásicos del trasplante alogénico como la enfermedad injerto contra huésped. Los programas clínicos con vectores lentivirales y promotores fisiológicos han mostrado hasta ahora un perfil de seguridad favorable, con injerto estable, corrección inmune y reducción marcada de infecciones graves y sangrados sin señales de oncogénesis insercional en seguimientos prolongados.

## ESTRATEGIAS DE ACCESO

No se hallaron políticas de cobertura o estrategias de acceso para Argentina y el Mundo que mencionen específicamente la tecnología en la indicación evaluada.

Según las fuentes relevadas, la estrategia de acceso de Fondazione Telethon se apoyaría en un modelo de comercialización no tradicional para enfermedades ultra-raras, en el que una organización sin fines de lucro conserva la titularidad regulatoria del producto y articula la producción con socios especializados, con el objetivo declarado de sostener un esquema de precio más responsable que el de otras terapias génicas comerciales.<sup>19,20</sup>

En la práctica, el ingreso inicial al mercado se concentró en Estados Unidos de América y la Unión Europea, donde la terapia ya obtuvo aprobación regulatoria y donde existen centros con capacidad para recolección celular, acondicionamiento, infusión y seguimiento prolongado de terapias avanzadas. No se hallaron anuncios públicos de presentaciones regulatorias, acuerdos comerciales o programas nominados de acceso temprano para América Latina o Argentina.

## REFERENCIAS

1. Buchbinder D, Nugent DJ, Fillipovich AH. Wiskott-Aldrich syndrome: diagnosis, current management, and emerging treatments. *Appl Clin Genet*. 2014;7:55-66. doi:10.2147/TACG.S58444
2. Síndrome de Wiskott-Aldrich - Inmunología y trastornos alérgicos. Manual MSD versión para profesionales. Accessed July 9, 2026. <https://www.msdmanuals.com/es/professional/inmunología-y-trastornos-alérgicos/inmunodeficiencias/síndrome-de-wiskott-aldrich>
3. Blancas-Galicia L, Escamilla-Quiroz C, Yamazaki-Nakashimada MA. Síndrome De Wiskott-Aldrich; revisión actualizada. *Rev Alerg México*. 2011;58(4):213-218. Accessed July 9, 2026. <http://www.elsevier.es/es-revista-revista-alergia-mexico-336-articulo-sindrome-de-wiskott-aldrich-revision-actualizada-X000251511190572X>
4. Espejo AG, Dols ST, Gestal MC. Síndrome de Wiskott-Aldrich en España: incidencia, mortalidad y sesgo de género durante 21 años. *Rev Clin Esp*. 2023;223(5):262-269. doi:10.1016/j.rce.2023.02.008
5. Trasplante de médula ósea haploidéntico en un paciente pediátrico con síndrome de Wiskott-Aldrich. A propósito de un caso. *Arch Argent Pediatr*. 2024;122(1). doi:10.5546/aap.2023-10061
6. Hospital Universitario Vall d'Hebron. Síndrome Wiskott-Aldrich: manejo multidisciplinar. 2021. Accessed July 9, 2026. <https://share.google/K0dDB4O5GfvePLG2T>
7. Hosahalli Vasanna S, Pereda MA, Dalal J. Clinical Features, Cancer Biology, Transplant Approach and Other Integrated Management Strategies for Wiskott-Aldrich Syndrome. *J Multidiscip Healthc*. 2021;14:3497-3512. doi:10.2147/JMDH.S295386
8. Blair HA. Etuvetidigene Autotemcel: First Approval. *Mol Diagn Ther*. 2026;30(3):539-543. doi:10.1007/s40291-026-00843-8
9. Ochs HD. FDA approves gene therapy for Wiskott-Aldrich syndrome. *J Allergy Clin Immunol*. 2026;157(6):1256-1257. doi:10.1016/j.jaci.2026.04.003
10. Research C for BE and. U.S. Food and Drug Administration. WASKYRA. FDA. Published online 2026. Accessed July 9, 2026. <https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/waskyra>
11. Commissioner O of the. FDA Approves First Gene Therapy Treatment for Wiskott-Aldrich Syndrome. FDA. September 12, 2025. Accessed July 9, 2026. <https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-first-gene-therapy-treatment-wiskott-aldrich-syndrome>
12. European Medicines Agency (EMA). Waskyra. November 14, 2025. Accessed July 9, 2026. <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/waskyra>

13. Ferrua F, Cenciarelli S, Giannelli S, et al. Etuvetidigene autotemcel for the treatment of Wiskott-Aldrich Syndrome. *Hematology*. Preprint posted online December 4, 2025. doi:10.64898/2025.11.25.25340584
14. Fondazione Telethon. *A Single Arm, Open-Label Clinical Trial of Hematopoietic Stem Cell Gene Therapy With Cryopreserved Autologous CD34+ Cells Transduced With Lentiviral Vector Encoding WAS cDNA in Subjects With Wiskott-Aldrich Syndrome (WAS)*. clinicaltrials.gov; 2025. Accessed July 9, 2026. <https://clinicaltrials.gov/study/NCT03837483>
15. Fondazione Telethon. *A Phase I/II Clinical Trial of Hematopoietic Stem Cell Gene Therapy for the Wiskott-Aldrich Syndrome*. clinicaltrials.gov; 2025. Accessed July 9, 2026. <https://clinicaltrials.gov/study/NCT01515462>
16. DocCheck M bei. Etuvetidigen-Autotemcel. DocCheck Flexikon. Accessed July 9, 2026. <https://flexikon.doccheck.com/de/Etuvetidigen-Autotemcel>
17. Banco de la Nación Argentina. Accessed July 9, 2026. <https://bna.com.ar/Personas>
18. OTL-103 for Wiskott-Aldrich syndrome. NIHR Innovation Observatory. Accessed July 9, 2026. <https://io.nihr.ac.uk/news/tech-briefings/otl-103-for-wiskott-aldrich-syndrome/>
19. Martz L, Director E, Intelligence B. A non-profit brought an abandoned rare disease gene therapy to market. Can the model scale? BioCentury. Accessed July 9, 2026. <https://www.biocentury.com/article/657913/a-non-profit-brought-an-abandoned-rare-disease-gene-therapy-to-market-can-the-model-scale>
20. Mirasol F. FDA-Approved WAS Gene Therapy Hits Market in Nonprofit Model | BioPharm International. July 10, 2026. Accessed July 9, 2026. <https://www.biopharminternational.com/view/fda-approved-was-gene-therapy-hits-market-in-nonprofit-model>



CENTRO de EVALUACIÓN de TECNOLOGÍAS  
SANITARIAS, ACCESO e INNOVACIÓN

[cetsai.isalud.edu.ar](http://cetsai.isalud.edu.ar)

