



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

EMA/93332/2024
EMA/H/C/005493

Qalsody (tofersen)

Общ преглед на Qalsody и основания за разрешаване в ЕС

Какво представлява Qalsody и за какво се използва?

Qalsody е лекарство за лечение на възрастни с вид амиотрофична латерална склероза (АЛС), причинена от мутация (дефект) в гена, който произвежда ензим, наречен супероксид дисмутаза 1 (SOD1). АЛС е прогресивно заболяване на нервната система, при което нервните клетки в главния и гръбначния мозък, които контролират съзнателното движение, постепенно се увреждат, което води до загуба на мускулна функция и парализа.

АЛС се счита за рядко заболяване и Qalsody е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, използвано при редки заболявания) на 29 август 2016 г. При около 2 % от пациентите с АЛС заболяването е причинено от мутация в гена *SOD1*. Допълнителна информация за лекарствата сираци можете да намерите на [уебсайта на ЕМА](#).

Qalsody съдържа активното вещество тоферсен (tofersen).

Как се използва Qalsody?

Qalsody се отпуска по лекарско предписание. Лечението трябва да бъде започнато от лекар с опит в лечението на АЛС.

Qalsody се въвежда в гръбначномозъчната течност (течност, която обгражда гръбначния стълб и мозъка) чрез инжекция между гръбначните кости в долната част на гърба (интратекална инжекция).

Лечението започва с 3 дози, прилагани през интервал от 2 седмици, последвани от една доза на всеки 4 седмици. Лекарят редовно преразглежда необходимостта от продължаване на лечението с Qalsody въз основа на симптомите на пациентите и повлияването от лечението.

За повече информация относно употребата на Qalsody вижте листовката или се свържете с вашия лекар или фармацевт.

Как действа Qalsody?

При някои пациенти с АЛС тяхното състояние се причинява от мутация в гена, който произвежда протеина SOD1. Поради тази мутация увреденият протеин SOD1 при тези пациенти е токсичен за нервните клетки, което в крайна сметка причинява смъртта им. Qalsody е изработен от малка

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



нишка от генетичен материал (наречен антисенс олигонуклеид), произведена в лаборатория, която се свързва с генетичния материал SOD1 в нервната клетка и блокира производството на дефектен SOD1. Като намалява количеството на дефектния SOD1, това лекарство се очаква да подобри симптомите на АЛС, причинени от мутация в гена *SOD1*.

Какви ползи от Qalsody са установени в проучванията?

В основно проучване, обхващащо пациенти с АЛС, свързана с мутация в гена *SOD1*, 72 пациенти получават Qalsody, а 36 получават плацебо (сляпо лечение) в продължение на 28 седмици. Основната мярка за ефективност е честотата на влошаване на симптомите на заболяването на пациента по време на проучването. Това е оценено по стандартна рейтингова скала, известна като „Функционална рейтингова скала за АЛС — ревизирана“ (ALSFRS-R), която измерва аспекти на физическото функциониране на пациента, например трудности при говорене, дишане, хранене и извършване на други нормални ежедневни дейности. Общият резултат варира от 0 (липса на функция) до 48 (нормална функция).

След 28 седмици резултатът по ALSFRS-R намалява с 4,5 точки при пациентите, приемали Qalsody, в сравнение с 5,8 при пациентите, приемащи плацебо; тази разлика обаче не е статистически значима, което означава, че би могла да се дължи на случайност.

Други измервания, в частност дългосрочни данни, показват, че Qalsody може да забави хода на заболяването. Освен това резултатите показват намаляване на нивата на протеина SOD1 при пациентите, приемащи Qalsody, в сравнение с пациентите, приемащи плацебо, което потвърждава начина, по който се очаква да действа лекарството. Наблюдава се и намаляване на нивата на протеин, наречен неврофиламентна лека верига (NfL, показател за увреждане на нервите), което предполага намалено увреждане на нервите.

Какви са рисковете, свързани с Qalsody?

За пълния списък на нежеланите реакции и ограниченията при Qalsody вижте листовката.

Най-честите нежелани реакции при Qalsody (които може да засегнат повече от 1 на 10 души) включват болка в гърба, ръцете, краката, мускулите или ставите, умора, повишени нива на протеин и/или бели кръвни клетки в гръбначно-мозъчната течност и повишена температура.

Най-честите сериозни нежелани реакции при Qalsody включват миелит (възпаление на гръбначния мозък), повишено налягане в околомозъчното пространство, папилоедем (подуване на нерва, който свързва очите с мозъка), радикулит (дразнене и увреждане на корените на нервите) и асептичен менингит (възпаление на обвивката на мозъка и гръбначния мозък).

Защо Qalsody е разрешен за употреба в ЕС?

Към момента на разрешаването за употреба на Qalsody съществуват много ограничени възможности за лечение на пациенти с АЛС. Въпреки че основните резултати от проучване при пациенти с АЛС, свързани с мутация в гена *SOD1*, не показват ефект от лекарството след 28 седмици на лечение, други измервания потвърждават начина, по който се очаква лекарството да действа, и показват, че Qalsody може да забави протичането на заболяването.

По отношение на безопасността Qalsody може да има сериозни нежелани реакции, свързани с нервната система, като възпаление на гръбначния мозък; те обаче могат да се овладеят с подходящо лечение.

Поради това Европейската агенция по лекарствата реши, че ползите от употребата на Qalsody са по-големи от рисковете и този продукт може да бъде разрешен за употреба в ЕС.

Qalsody е разрешен за употреба при „извънредни обстоятелства“. Това е така, защото не е било възможно да се получи пълна информация за лекарството поради редкостта на заболяването и формата на АЛС, свързана по-специално с мутация в гена *SOD1*, тъй като това се среща само при 2 % от всички пациенти с АЛС.

Фирмата, която предлага Qalsody, трябва да предостави допълнителни данни за дългосрочната безопасност и ефективност на лекарствения продукт при пациенти с ALS, свързана с мутация в гена *SOD1*. Тя също така трябва да изследва ефекта от лекарството при пациенти, които все още нямат симптоми. Пациентите, лекувани с Qalsody, трябва да бъдат проследявани с регистър и фирмата трябва да предоставя данни от този регистър всяка година.

Всяка година Агенцията ще прави преглед на всяка нова информация за Qalsody, която бъде оповестена.

Какви мерки се предприемат, за да се гарантира безопасната и ефективна употреба на Qalsody?

Препоръките и предпазните мерки за безопасната и ефективна употреба на Qalsody, които следва да се спазват от медицинските специалисти и пациентите, са включени в кратката характеристика на продукта и в листовката.

Както при всички лекарства, данните във връзка с употребата на Qalsody непрекъснато се проследяват. Съобщените нежелани реакции, свързани с употребата на Qalsody, внимателно се оценяват и се предприемат всички необходими мерки за защита на пациентите.

Допълнителна информация за Qalsody:

Допълнителна информация за Qalsody можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.