



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Qalsody (*tofersen*)

Přehled pro přípravek Qalsody a proč byl přípravek registrován v EU

Co je přípravek Qalsody a k čemu se používá?

Qalsody je léčivý přípravek určený k léčbě dospělých s typem amyotrofické laterální sklerózy (ALS), který je způsoben mutací (defektem) genu zodpovědného za produkci enzymu zvaného superoxid dismutáza 1 (SOD1). ALS je progresivní onemocnění nervového systému, kdy se funkce nervových buněk v mozku a míše, které ovládají volní pohyby, postupně zhoršuje, což způsobuje ztrátu funkce svalů a paralýzu (ochrnutí).

ALS je vzácné onemocnění a přípravek Qalsody byl označen dne 29. srpna 2016 jako „léčivý přípravek pro vzácná onemocnění“. ALS způsobená mutací v genu SOD1 představuje asi 2 % pacientů s ALS. Další informace o tomto vzácném onemocnění naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

Přípravek Qalsody obsahuje účinnou látku tofersen.

Jak se přípravek Qalsody používá?

Výdej přípravku Qalsody je vázán na lékařský předpis. Léčbu by měl zahájit pouze lékař se zkušenostmi s léčbou ALS.

Přípravek Qalsody se podává do mozkomíšního moku (tekutina, která obklopuje míchu a mozek) injekcí mezi páteřní kosti v dolní části zad (intratekální injekce).

Léčba se zahajuje 3 dávkami podávanými s odstupem 2 týdnů, poté následuje jedna dávka každé 4 týdny. Lékař bude pravidelně přezkoumávat potřebu pokračovat v léčbě přípravkem Qalsody na základě pacientových příznaků a reakce na léčbu.

Více informací o používání přípravku Qalsody naleznete v příbalové informaci nebo se obraťte na svého lékaře či lékárníka.

Jak přípravek Qalsody působí?

U některých pacientů s ALS je příčinou jejich onemocnění mutace genu zodpovědného za produkci proteinu SOD1. V důsledku této mutace je abnormální protein SOD1 u těchto pacientů toxický pro nervové buňky, což nakonec způsobí jejich odumření. Přípravek Qalsody je tvořen malým vláknem genetického materiálu (tzv. antisense oligonukleotidem) vyrobeným v laboratoři, který se váže na genetický materiál SOD1 v nervové buňce a blokuje produkci defektního SOD1. Očekává se, že tento

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



léčivý přípravek sníží množství defektního SOD1, a zlepší tak příznaky ALS způsobené mutací v genu SOD1.

Jaké přínosy přípravku Qalsody byly prokázány v průběhu studií?

V hlavní studii zahrnující pacienty s ALS spojenou s mutací v genu SOD1 dostávalo 72 pacientů přípravek Qalsody a 36 pacientů placebo (neúčinný přípravek) po dobu 28 týdnů. Hlavním měřítkem účinnosti byla míra, s jakou se během studie zhoršily příznaky onemocnění pacienta. To bylo hodnoceno pomocí standardní hodnotící škály známé jako „revidovaná stupnice funkčního hodnocení amyotrofické laterální sklerózy“ (ALSFRS-R), která měří aspekty fyzického fungování pacienta, jako jsou potíže s mluvením, dýcháním, jídlem a prováděním dalších běžných denních činností. Celkové skóre se pohybuje od 0 (žádná funkce) do 48 (normální funkce).

Po 28 týdnech se skóre ALSFRS-R snížilo o 4,5 bodu u pacientů, kterým byl podáván přípravek Qalsody, ve srovnání s 5,8 bodu u pacientů, kterým bylo podáváno placebo. Tento rozdíl však nebyl statisticky významný, což znamená, že mohl být způsoben náhodou.

Další měření, zejména dlouhodobé údaje, naznačily, že přípravek Qalsody může zpomalit průběh onemocnění. Kromě toho výsledky ukázaly snížení hladiny proteinu SOD1 u pacientů, kteří dostávali přípravek Qalsody, ve srovnání s pacienty, kteří dostávali placebo, což potvrzuje způsob, jakým by měl léčivý přípravek působit. Snížily se také hladiny proteinu zvaného lehký řetězec neurofilament (NFL, ukazatel poškození nervů), což naznačuje snížení poškození nervů.

Jaká rizika jsou spojena s přípravkem Qalsody?

Úplný seznam nežádoucích účinků a omezení přípravku Qalsody je uveden v příbalové informaci.

Mezi nejčastější nežádoucí účinky přípravku Qalsody (které mohou postihnout více než 1 z 10 osob) patří bolest zad, rukou, nohou, svalů nebo kloubů, únava, zvýšená hladina bílkovin a/nebo bílých krvinek v mozkomíšním moku a horečka.

Mezi nejčastější závažné nežádoucí účinky přípravku Qalsody patří myelitida (zánět míchy), zvýšený tlak v okolí mozku, edém papily (otok nervu, který spojuje oči s mozkem), radikulitida (podráždění a poškození nervových kořenů) a aseptická meningitida (zánět výstelky kolem mozku a míchy).

Na základě čeho byl přípravek Qalsody registrován v EU?

V době schválení přípravku Qalsody byly možnosti léčby pacientů s ALS velmi omezené. Přestože hlavní výsledky studie u pacientů s ALS spojenou s mutací v genu SOD1 neprokázaly účinek léčivého přípravku po 28 týdnech léčby, další měření potvrdila předpokládaný způsob účinku léčivého přípravku a naznačila, že přípravek Qalsody může zpomalit průběh onemocnění.

Z hlediska bezpečnosti může mít přípravek Qalsody závažné nežádoucí účinky týkající se nervového systému, jako je zánět míchy, které však lze vhodnou léčbou zvládnout.

Evropská agentura pro léčivé přípravky proto rozhodla, že přínosy přípravku Qalsody převyšují jeho rizika, a může tak být registrován k použití v EU.

Přípravek Qalsody byl registrován za „výjimečných okolností“, neboť vzhledem ke vzácné povaze tohoto onemocnění a zejména formě ALS spojené s mutací v genu SOD1, která se vyskytuje pouze u 2 % všech pacientů s ALS, nebylo možné o přípravku získat úplné informace.

Společnost, která přípravek Qalsody uvádí na trh, musí poskytnout další údaje o dlouhodobé bezpečnosti a účinnosti léčivého přípravku u pacientů s ALS spojenou s mutací v genu SOD1. Musí také

zkoumat účinek léčivého přípravku u pacientů, kteří ještě nemají příznaky. Pacienti léčení přípravkem Qalsody musí být sledováni v registru a společnost musí každoročně poskytovat údaje z tohoto registru.

Agentura každoročně vyhodnotí jakékoli nové informace o přípravku Qalsody.

Jaká opatření jsou uplatňována k zajištění bezpečného a účinného používání přípravku Qalsody?

Do souhrnu údajů o přípravku a příbalové informace byla zahrnuta doporučení a opatření pro bezpečné a účinné používání přípravku Qalsody, která by měla být dodržována zdravotnickými pracovníky i pacienty.

Jako u všech léčivých přípravků jsou údaje o používání přípravku Qalsody průběžně sledovány. Podezření na nežádoucí účinky nahlášená v souvislosti s přípravkem Qalsody jsou pečlivě hodnocena a jsou učiněna veškerá nezbytná opatření, aby bylo chráněno zdraví pacientů.

Další informace o přípravku Qalsody

Další informace o přípravku Qalsody jsou k dispozici na internetových stránkách agentury na adrese ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.