



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Qalsody (tofersen)

En oversigt over Qalsody, og hvorfor det er godkendt i EU

Hvad er Qalsody, og hvad anvendes det til?

Qalsody er et lægemiddel til behandling af voksne med en type amyotrofisk lateral sklerose (ALS), som skyldes en mutation (defekt) i det gen, der er ansvarligt for at producere enzymet superoxiddismutase 1 (SOD1). ALS er en progressiv sygdom i nervesystemet, hvor nervecellerne i hjernen og rygmærven, der kontrollerer de frivillige bevægelser, gradvist forringes. Det medfører tab af muskelfunktion og lammelse.

ALS er sjælden, og Qalsody blev udpeget som "lægemiddel til sjældne sygdomme" den 29. august 2016. Ca. 2 % af alle ALS-patienter har den type, som skyldes en mutation i *SOD1*-genet. Der findes mere information om lægemidler til sjældne sygdomme på [EMA's websted](#).

Qalsody indeholder det aktive stof tofersen.

Hvordan anvendes Qalsody?

Qalsody fås kun på recept. Behandling bør kun indledes af en læge med erfaring inden for behandling af ALS.

Qalsody indgives i cerebrospinalvæsken (den væske, der omgiver rygmærven og hjernen) ved en indsprøjtning mellem rygmærvesknoglerne i lænden (intratekal injektion).

Behandlingen indledes med 3 doser med 2 ugers mellemrum, efterfulgt af én dosis hver 4. uge. Lægen vil regelmæssigt vurdere behovet for at fortsætte behandlingen med Qalsody på grundlag af patienternes symptomer og reaktion på behandlingen.

Hvis du ønsker mere information om anvendelsen af Qalsody, kan du læse indlægssedlen eller kontakte lægen eller apotekspersonalet.

Hvordan virker Qalsody?

Hos nogle ALS-patienter skyldes deres sygdom en mutation i det gen, der er ansvarligt for at fremstille proteinet SOD1. På grund af denne mutation er det unormale SOD1-protein hos disse patienter giftigt for nervecellerne, og får til sidst cellerne til at dø. Qalsody er fremstillet af en lille streng af laboratoriefremstillet genetisk materiale (kaldet antisense-oligonukleotid), som binder sig til det genetiske SOD1-materiale i nervecellen og blokerer produktionen af defekt SOD1. Ved at reducere

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



mængden af defekt SOD1 forventes lægemidlet at forbedre symptomerne på ALS forårsaget af en mutation i *SOD1*-genet.

Hvilke fordele viser studierne, at der er ved Qalsody?

I et hovedstudie, der omfattede patienter med ALS forbundet med en mutation i *SOD1*-genet, fik 72 patienter Qalsody, og 36 fik placebo (en uvirksom behandling) i 28 uger. Virkningen blev hovedsagelig bedømt på, hvor hurtigt patientens sygdomssymptomer blev værre i løbet af studiet. Dette blev vurderet ved hjælp af en standardskala kaldet "ALS-funktionsvurderingsskala revideret" (ALSFRS-R), som måler aspekter af patientens fysiske funktion, f.eks. besvær med at tale, trække vejret, spise og udføre andre normale daglige aktiviteter. Den samlede score varierer fra 0 (ingen funktion) til 48 (normal funktion).

Efter 28 uger faldt ALSFRS-R-scoren med 4,5 point hos patienter, der fik Qalsody, sammenlignet med 5,8 hos patienter, der fik placebo. Denne forskel var dog ikke statistisk signifikant, hvilket betyder, at den kunne skyldes tilfældigheder.

Andre målinger, navnlig langtidsdata, indikerede, at Qalsody kan bremse sygdommens fremadskriden. Desuden viste resultaterne et fald i indholdet af SOD1-proteinet hos patienter, der fik Qalsody, sammenlignet med dem, der fik placebo, hvilket bekræfter den måde, lægemidlet forventes at virke. Der sås også fald i niveauet af proteinet neurofilament light chain (NfL, en markør for nerveskade), hvilket tyder på reduceret nerveskade.

Hvilke risici er der forbundet med Qalsody?

Den fuldstændige liste over bivirkninger og begrænsninger ved Qalsody fremgår af indlægssedlen.

De mest almindelige bivirkninger ved Qalsody (som kan forekomme hos mere end 1 ud af 10 personer) omfatter smerter i ryg, arme, ben, muskler eller led, træthed, forhøjet indhold af protein og/eller hvide blodlegemer i cerebrospinalvæsken samt feber.

De mest almindelige alvorlige bivirkninger ved Qalsody er myelitis (betændelse i rygmargen), forhøjet tryk omkring hjernen, papillødem (hævelse af nerven, der forbinder øjnene med hjernen), radikulitis (irritation og beskadigelse af nerverødder) og aseptisk meningitis (betændelse i slimhinden omkring hjernen og rygmargen).

Hvorfor er Qalsody godkendt i EU?

På tidspunktet for godkendelsen af Qalsody var der meget begrænsede behandlingsmuligheder for patienter med ALS. Selvom hovedresultaterne af et studie hos patienter med ALS forbundet med en mutation i *SOD1*-genet ikke viste en virkning af lægemidlet efter 28 ugers behandling, bekræftede andre målinger, hvordan lægemidlet forventes at virke, og tydede på, at Qalsody kan bremse sygdommens fremadskriden.

Hvad sikkerheden angår, kan Qalsody have alvorlige bivirkninger, der omfatter nervesystemet, såsom betændelse i rygmargen. Disse kan dog håndteres med passende behandling.

Det Europæiske Lægemiddelagentur konkluderede derfor, at fordelene ved Qalsody opvejer risiciene, og at det kan godkendes til anvendelse i EU.

Qalsody er blevet godkendt under "særlige omstændigheder". Det skyldes, at det ikke har været muligt at indhente fyldestgørende oplysninger om lægemidlet grundet sygdommens sjældenhed og navnlig den form for ALS, der er forbundet med en mutation i *SOD1*-genet, da dette kun findes hos 2 % af alle patienter med ALS.

Den virksomhed, der markedsfører Qalsody, skal fremlægge yderligere data om lægemidlets sikkerhed og virkning på lang sigt hos patienter med ALS forbundet med en mutation i *SOD1*-genet. Den skal også se nærmere på lægemidlets virkning hos patienter, der endnu ikke har symptomer. Patienter, der behandles med Qalsody, skal følges i et register, og virksomheden skal fremlægge data fra dette register en gang om året.

Hvert år gennemgår agenturet alle nye oplysninger, der bliver tilgængelige om Qalsody.

Hvilke foranstaltninger træffes der for at sikre, at Qalsody anvendes sikkert og effektivt?

Der er anført anbefalinger og forholdsregler i produktresuméet og indlægssedlen, som patienter og sundhedspersonale skal følge for at sikre, at Qalsody anvendes sikkert og effektivt.

Som for alle lægemidler bliver data vedrørende anvendelsen af Qalsody løbende overvåget. De formodede bivirkninger ved Qalsody vurderes omhyggeligt, og der træffes de nødvendige forholdsregler for at beskytte patienterne.

Øvrig information om Qalsody

Yderligere information om Qalsody findes på agenturets websted:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.