



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Qalsody (toferseen)

Ülevaade ravimist Qalsody ja ELis müügiloa väljastamise põhjendus

Mis on Qalsody ja milleks seda kasutatakse?

Qalsody on ravim täiskasvanute raviks, kellel on teatud liiki amüotroofiline lateraalskleroos (ALS), mida põhjustab ensüümi superoksiiddismutaas 1 (SOD1) tootmise eest vastutava geeni mutatsioon (defekt). Amüotroofiline lateraalskleroos on progresseeruv närvisüsteemi haigus, mille korral tahtlikke liigutusi reguleerivad pea- ja seljaaju närvirakud järk-järgult degenerereeruvad, mis põhjustab lihastalitluse vähenemist ja paralüüsi.

Amüotroofiline lateraalskleroos esineb harva ja Qalsody nimetati 29. augustil 2016 harvikravimiks. SOD1-geeni mutatsioonist põhjustatud amüotroofiline lateraalskleroos on ligikaudu 2%-l amüotroofilise lateraalskleroosiga patsientidest. Lisateave harvikravimiks nimetamise kohta on [EMA veebilehel](#).

Qalsody sisaldab toimeainet toferseeni.

Kuidas Qalsodyt kasutatakse?

Qalsody on retseptiravim. Ravi tohib alustada üksnes amüotroofilise lateraalskleroosi ravis kogenud arst.

Qalsodyt manustatakse tserebrospinaalvedelikku ehk liikvorisse (mis ümbritseb seljaaju ja peaju) süstega lülisambaluuude vahele (intratekaalne süstimine).

Ravi alustatakse 3 annusega, mis manustatakse 2-nädalase vahega, millele järgneb üks annus iga 4 nädala järel. Arst vaatab korrapäraselt läbi Qalsodyga ravi jätkamise vajaduse patsientide sümptomite ja ravivastuse alusel.

Lisateavet Qalsody kasutamise kohta saate pakendi infolehel või küsige oma arstilt või apteekrilt.

Kuidas Qalsody toimib?

Mõnel amüotroofilise lateraalskleroosiga patsientidest on nende seisund põhjustatud valgu SOD1 tootmise eest vastutava geeni mutatsioonist. Mutatsiooni tõttu on neil patsientidel ebanormaalne SOD1- Valk, mis on närvirakkudele toksiline, põhjustades lõpuks rakkude hävimise. Qalsody on toodetud laboris lühikesest geneetilise materjali ahelast (antisenss-oligonukleotiidist). See seondub närvirakkude SOD1 geneetilise materjaliga ja blokeerib defektse SOD1 tootmise. Vähendades defektse

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



SOD1 kogust, leevendab see ravim eeldatavasti *SOD1*-geeni mutatsioonist põhjustatud amüotroofilise lateraalskleroosi sümptomeid.

Mis on uuringute põhjal Qalsody kasulikkus?

Põhiuuringus, milles osalesid *SOD1*-geeni mutatsiooniga seotud amüotroofilise lateraalskleroosiga patsiendid, said 72 patsienti Qalsodyt ja 36 patsienti platseebot (näiv ravim) 28 nädala jooksul. Efektiivsuse põhinäitaja oli patsiendi haigussümptomite halvenemise määr uuringu jooksul. Seda hinnati amüotroofilise lateraalskleroosi standardse hindamisskaalaga (*ALS functional rating scale revised*, ALSFRS-R), mis mõõdab patsiendi füüsilise tegevuse aspekte, nt rääkimis-, hingamis-, söömis- ja muid raskusi tavalistes argitoimingutes. Üldskoor on vahemikus 0 (funktsioon puudub) kuni 48 (normaalne funktsioon).

28 nädala pärast vähenes ALSFRS-R-skoor Qalsodyt saanud patsientidel 4,5 punkti võrra ja platseebot saanud patsientidel 5,8 punkti võrra; see erinevus ei olnud siiski statistiliselt oluline, mis tähendab, et see võib olla juhuslik.

Muud mõõtmised, eelkõige pikaajalised andmed, tõendasid, et Qalsody võib haiguse kulgu aeglustada. Lisaks tõendasid tulemused, et Qalsodyt saanud patsientidel vähenes SOD1-valgu sisaldus võrreldes platseebot saanud patsientidega, mis kinnitas ravimi eeldatavat toimet. Samuti vähenes neurofilamendi kergets ahelaks nimetatava valgu (NFL; närvikahjustuse näitaja) sisaldus, mis viitab närvikahjustuse vähenemisele.

Mis on Qalsody riskid?

Qalsody kõrvalnähtude ja piirangute täielik loetelu on pakendi infolehel.

Qalsody kõige sagedamad kõrvalnähud (võivad esineda enam kui 1 patsiendil 10st) on näiteks selja-, käsivarre-, jala-, lihase- või liigesevalu, väsimus, valgu- ja/või leukotsüütide sisalduse suurenemine liigvoris ja palavik.

Qalsody kõige sagedamad rasked kõrvalnähud on müeliit (seljaaju põletik), koljusisese rõhu suurenemine, papilliödeem (silmi peaauga ühendava närvi turse), radikulopaatia (radikuliit ehk närvijuurte ärritus ja vigastus) ja aseptiline meningiit (pea- ja seljaajukelme põletik).

Miks Qalsody ELis heaks kiideti?

Qalsodyle müügiloo andmise ajal olid amüotroofilise lateraalskleroosiga patsientide ravivõimalused väga piiratud. Kuigi *SOD1*-geeni mutatsiooniga seotud amüotroofilise lateraalskleroosiga patsientide uuringu peamised tulemused ei tõendanud ravimi toimet pärast 28-nädalast ravi, kinnitasid teised mõõtmised ravimi eeldatavat toimet ja näitasid, et Qalsody võib haiguse kulgu aeglustada.

Ohutuse seisukohast võib Qalsody põhjustada raskeid närvisüsteemi kõrvalnähte, nt müeliiti, kuid neid saab ravida asjakohase raviga.

Euroopa Raviamet otsustas, et Qalsody kasulikkus on suurem kui sellega kaasnevad riskid ja ravimi kasutamise võib ELis heaks kiita.

Qalsody on saanud müügiloo erandlikel asjaoludel. See tähendab, et harvaesineva haiguse tõttu ei olnud võimalik saada Qalsody kohta täielikku teavet. See kehtib eelkõige *SOD1*-geeni mutatsiooniga seotud amüotroofilise lateraalskleroosi vormi kohta, sest haigus esineb ainult 2%-l kõigist amüotroofilise lateraalskleroosiga patsientidest.

Qalsody turustaja peab esitama lisaandmed ravimi pikaajalise ohutuse ja efektiivsuse kohta *SOD1*-geeni mutatsiooniga seotud amüotroofilise lateraalskleroosiga patsientidel. Ettevõtte peab uurima ka ravimi toimet patsientidel, kellel sümptomeid veel ei ole. Qalsodyga ravitud patsiente tuleb jälgida patsiendiregistris ja ettevõtte peab esitama selle registri andmed igal aastal.

Amet vaatab igal aastal läbi kogu uue teabe Qalsody kohta.

Mis meetmed võetakse, et tagada Qalsody ohutu ja efektiivne kasutamine?

Qalsody ohutu ja efektiivse kasutamise soovitusel ja ettevaatusmeetmed tervishoiutöötajatele ja patsientidele on lisatud ravimi omaduste kokkuvõttesse ja pakendi infolehele.

Nagu kõigi ravimite korral, tehakse Qalsody kasutamise kohta pidevat järelvalvet. Qalsody oletatavaid teatatud kõrvalnähte hinnatakse hoolikalt ja patsientide kaitseks võetakse vajalikke meetmeid.

Muu teave Qalsody kohta

Lisateave Qalsody kohta on ameti veebilehel: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.