



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Qalsody (*toferseeni*)

Yleistiedot Qalsody-valmisteesta sekä siitä, miksi se on hyväksytty EU:ssa

Mitä Qalsody on ja mihin sitä käytetään?

Qalsody on lääke, jolla hoidetaan aikuisten amyotrofista lateraaliskleroosia (ALS), joka johtuu mutaatiosta (virheestä) geenissä, joka vastaa superoksididismutaasi 1 (SOD1) -nimisen entsyymin tuotannosta. ALS on etenevä hermostosairaus, jossa tahdonalaisia liikkeitä ohjaavat aivojen ja selkärangan hermosolut rappeutuvat vähitellen. Tämä johtaa lihasten toimintakyvyn menetykseen ja halvaantumiseen.

ALS on harvinainen sairaus, ja Qalsody nimettiin harvinaislääkkeeksi (harvinaisten sairauksien hoidossa käytettävä lääke) 29. elokuuta 2016. Noin kahdella prosentilla ALS-potilaista on SOD1-geenin mutaatiosta johtuva ALS. Lisätietoa harvinaislääkkeeksi nimeämisestä on EMAn [verkkosivustolla](#).

Qalsodyn vaikuttava aine on toferseeni.

Miten Qalsody-valmistetta käytetään?

Qalsody-valmistetta saa vain lääkärin määräyksestä. Hoidon saa aloittaa ainoastaan lääkäri, jolla on kokemusta ALS-oireyhtymän hoidosta.

Qalsody annetaan injektiona aivo-selkäydinnesteeseen (neste, joka ympäröi selkäydintä ja aivoja) nikamien väliin alaselkään (selkäydinkanavan sisäisenä injektiona).

Hoito alkaa kolmella annoksella, jotka annetaan kahden viikon välein, minkä jälkeen annetaan yksi annos neljän viikon välein. Lääkäri arvioi Qalsody-hoidon jatkamisen tarvetta säännöllisesti potilaan oireiden ja hoitovasteen perusteella.

Lisätietoja Qalsodyn käytöstä saa pakkausselosteesta, lääkäriltä tai apteekista.

Miten Qalsody vaikuttaa?

Joillakin ALS-potilailla sairaus johtuu mutaatiosta SOD1-proteiinin tuotannosta vastaavassa geenissä. Mutaation vuoksi epänormaali SOD1-proteiini näillä potilailla on toksinen hermosoluille, minkä vuoksi solut lopulta kuolevat. Qalsody sisältää pienen säikeen geneettistä materiaalia (ns. antisense-oligonukleotidin), joka on valmistettu laboratoriossa ja joka sitoutuu SOD1-proteiinin geneettiseen materiaaliin hermosolussa ja estää viallisen SOD1-proteiinin tuotannon. Vähentämällä viallisen SOD1-



proteiinin määrää tämän lääkkeen odotetaan parantavan *SOD1*-geenin mutaatiosta johtuvia ALS-taudin oireita.

Mitä hyötyä Qalsodysta on havaittu tutkimuksissa?

Päätutkimuksessa, johon osallistui ALS-potilaita, joilla oli *SOD1*-geenin mutaatio, potilaista 72 sai Qalsodya ja 36 lumelääkettä 28 viikon ajan. Tehon pääasiallisena mittana oli se, kuinka nopeasti potilaan sairauden oireet pahenivat tutkimuksen aikana. Tätä arvioitiin käyttämällä standardiluokitusasteikkoa, joka tunnetaan nimellä tarkistettu ALS-toimintakykyluokitus (ALSFRS-R). Sen avulla mitataan potilaan fyysisen toimintakyvyn, kuten puhumisen, hengittämisen, syömisen ja muiden tavanomaisten päivittäisten toimintojen suorittamisen vaikeutta. Kokonaispisteet vaihtelevat välillä 0–48 (0 pistettä: ei fyysistä toimintakykyä; 48 pistettä: normaali toimintakyky).

28 viikon jälkeen ALSFRS-R-pisteet laskivat 4,5 pistettä Qalsodya saaneilla potilailla ja 5,8 pistettä lumelääkettä saaneilla potilailla. Ero ei kuitenkaan ollut tilastollisesti merkitsevä, mikä tarkoittaa, että se on voinut johtua sattumasta.

Muut mittaukset, erityisesti pitkän aikavälin tiedot osoittivat, että Qalsody voi hidastaa sairauden etenemistä. Lisäksi tulokset osoittivat *SOD1*-proteiinin pitoisuuden alenevan Qalsodya saaneilla potilailla lumelääkettä saaneisiin potilaisiin verrattuna. Tämä vahvisti lääkkeen odotetun vaikutustavan. Myös neurofilamentin kevytketjuksi kutsutun proteiinin (NFL, hermovaurion indikaattori) määrä väheni, mikä viittaa hermovaurioiden vähenemiseen.

Mitä riskejä Qalsody-valmisteeseen liittyy?

Pakkausselosteessa on luettelo kaikista Qalsodyn ilmoitetuista haittavaikutuksista ja rajoituksista.

Qalsodyn yleisimmät haittavaikutukset (joita saattaa aiheutua useammalle kuin yhdelle potilaalle kymmenestä) ovat kipu selässä, käsivarsissa, säärisä, lihaksissa tai nivelissä, väsymys, kohonnut proteiinin ja/tai valkosolujen pitoisuudet aivo-selkäydinnesteessä sekä kuume.

Qalsodyn yleisimmät vakavat haittavaikutukset ovat selkäytimen tulehdus, kohonnut paine aivojen alueella, turvotus silmät aivoihin yhdistävässä hermossa (papilledema), tulehdus hermojuuressa (hermojuuren ärsytys ja vaurioituminen) ja viruksen aiheuttama aivokalvontulehdus (aivoja ja selkäydintä ympäröivän kalvon tulehdus).

Miksi Qalsody on hyväksytty EU:ssa?

Qalsodyn myyntiluvan myöntämisen aikaan ALS-potilailla oli hyvin vähän hoitovaihtoehtoja. Vaikka tärkeimmät tulokset tutkimuksesta ALS-potilailla, joiden sairauteen liittyi *SOD1*-geenin mutaatio, eivät osoittaneet lääkkeen tehoa 28 viikon hoidon jälkeen, muut mittaukset vahvistivat lääkkeen odotetun vaikutustavan ja osoittivat, että Qalsody voi hidastaa sairauden kulkua.

Turvallisuuden osalta Qalsody voi aiheuttaa vakavia hermostoon liittyviä haittavaikutuksia, kuten selkäytimen tulehdusta. Haittavaikutuksia voidaan kuitenkin hallita asianmukaisella hoidolla.

Euroopan lääkevirasto katsoi näin ollen, että Qalsody-valmisteesta saatava hyöty on sen riskejä suurempi ja että sille voidaan myöntää myyntilupa EU:ssa.

Qalsody on saanut myyntiluvan ns. poikkeuksellisisissa olosuhteissa. Tämä johtuu siitä, että sairauden harvinaisuuden vuoksi lääkkeestä ei ole ollut mahdollista saada täydellisiä tietoja. Lisäksi ALS-taudin muotoa, johon liittyy mutaatio *SOD1*-geenissä, on vain 2 prosentilla kaikista ALS-potilaista.

Qalsodya markkinoivan yhtiön on toimitettava lisätietoja lääkkeen pitkäaikaisesta turvallisuudesta ja tehosta potilailla, joilla on ALS:ään liittyvä mutaatio *SOD1*-geenissä. Sen on myös tutkittava lääkkeen vaikutusta potilailla, joilla ei ole vielä oireita. Qalsodylla hoidettavia potilaita on seurattava rekisterin avulla, ja yhtiön on toimitettava vuosittain tietoja tästä rekisteristä.

Euroopan lääkevirasto tarkastaa vuosittain mahdollisesti saataville tulevat uudet tiedot Qalsody-valmisteesta.

Miten voidaan varmistaa Qalsodyn turvallinen ja tehokas käyttö?

Suositukset ja varotoimet, joita terveydenhuollon ammattilaisten ja potilaiden on syytä noudattaa, jotta Qalsodyn käyttö olisi turvallista ja tehokasta, sisältyvät valmisteyhteenvedoon ja pakkausselosteeseen.

Kuten kaikkien lääkkeiden, myös Qalsodyn käyttöä koskevia tietoja seurataan jatkuvasti. Qalsody-valmisteesta ilmoitetut haittavaikutukset arvioidaan huolellisesti ja kaikki tarvittavat toimet suoritetaan potilaiden suojelemiseksi.

Muita tietoja Qalsody-valmisteesta

Lisätietoja Qalsody-valmisteesta on viraston verkkosivustolla osoitteessa ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.