



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Qalsody (tofersen)

Pregled informacija o lijeku Qalsody i zašto je odobren u EU-u

Što je Qalsody i za što se koristi?

Qalsody je lijek za liječenje odraslih osoba oboljelih od jedne vrste amiotrofične lateralne skleroze (ALS), koja je uzrokovana mutacijom (defektom) na genu za stvaranje enzima superoksida dismutaze 1 (SOD1). ALS je progresivna bolest živčanog sustava kod koje postupno odumiru živčane stanice u mozgu i kralježničnoj moždini koje kontroliraju dobrovoljne pokrete, što uzrokuje gubitak mišićne funkcije i paralizu.

ALS je rijetka bolest, a lijek Qalsody dobio je status „lijeka za rijetku bolest” 29. kolovoza 2016. ALS uzrokovan mutacijom na genu za *SOD1* pogađa oko 2 % bolesnika s ALS-om. Više informacija o statusu lijekova za rijetke bolesti dostupno je na [mrežnom mjestu EMA-e](#).

Qalsody sadrži djelatnu tvar tofersen.

Kako se Qalsody primjenjuje?

Qalsody se izdaje samo na recept. Liječenje smije započeti samo liječnik s iskustvom u liječenju ALS-a.

Qalsody se isporučuje u cerebrospinalnu tekućinu (tekućinu koja obavlja kralježničnu moždinu i mozak) injekcijom između kralježaka u donjem dijelu leđa (intratekalna injekcija).

Liječenje započinje trima dozama koje se daju u razmaku od dva tjedna, nakon čega slijedi jedna doza svaka četiri tjedna. Liječnik će redovito preispitivati potrebu za nastavkom primjene lijeka Qalsody na temelju simptoma bolesnika i odgovora na liječenje.

Za više informacija o primjeni lijeka Qalsody pročitajte uputu o lijeku odnosno obratite se liječniku ili ljekarniku.

Kako djeluje Qalsody?

Stanje nekih bolesnika s ALS-om uzrokovano je mutacijom u genu za stvaranje proteina SOD1. Zbog te mutacije abnormalni protein SOD1 u tih bolesnika toksičan je za živčane stanice, što naposljetku uzrokuje odumiranje stanica. Qalsody se sastoji od malog dijela genetskog materijala (koji se naziva protusmjerni oligonukleotid) proizvedenog u laboratoriju, koji se veže na genetski materijal proteina SOD1 u živčanim stanicama i blokira proizvodnju neispravnog proteina SOD1. Budući da lijek

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



© European Medicines Agency, 2024. Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.

smanjuje količinu neispravnog proteina SOD1, očekuje se da će ublažiti simptome ALS-a uzrokovanog mutacijom u genu za *SOD1*.

Koje su koristi od lijeka Qalsody utvrđene u ispitivanjima?

U glavnom ispitivanju koje je obuhvatilo bolesnike s ALS-om koji je bio povezan s mutacijom na genu za *SOD1*, 72 bolesnika primala su Qalsody, a 36 bolesnika primalo je placebo (prividno liječenje) tijekom 28 tjedana. Glavno mjerilo učinkovitosti bila je stopa pogoršanja simptoma bolesti u bolesnika za vrijeme ispitivanja. To je ocijenjeno primjenom standardne ljestvice za ocjenjivanje poznate kao „revidirana ljestvica za ocjenu funkcioniranja u ALS-u“ (ALSFRS-R), kojom se mjere aspekti fizičkog funkcioniranja pacijenta, kao što su poteškoće u govoru, disanju, jedenju i obavljanju drugih uobičajenih svakodnevnih aktivnosti. Ukupna ocjena kreće se u rasponu od 0 (bez funkcije) do 48 (normalna funkcija).

Nakon 28 tjedana rezultat na ljestvici ALSFRS-R pao je za 4,5 bodova u bolesnika koji su primali lijek Qalsody u usporedbi s 5,8 bodova u bolesnika koji su primali placebo. Međutim, ta razlika nije bila statistički značajna, što znači da bi mogla biti slučajna.

Druga mjerenja, osobito dugoročni podatci, pokazala su da Qalsody može usporiti tijek bolesti. Osim toga, rezultati su upućivali na pad razine proteina SOD1 u bolesnika koji su primali lijek Qalsody u usporedbi s onima koji su primali placebo, što potvrđuje način na koji se očekuje da će lijek djelovati. Zabilježen je i pad razine proteina naziva neurofilament lakog lanca (NfL, pokazatelj oštećenja živaca), što upućuje na smanjenje oštećenja živaca.

Koji su rizici povezani s lijekom Qalsody?

Potpuni popis nuspojava i ograničenja povezanih s lijekom Qalsody potražite u uputi o lijeku.

Najčešće nuspojave lijeka Qalsody (koje se mogu javiti u više od 1 na 10 osoba) obuhvaćaju bol u leđima, rukama, nogama, mišićima ili zglobovima, umor, povišene razine bjelanjčevina i/ili bijelih krvnih stanica u cerebrospinalnoj tekućini te vrućicu.

Najčešće ozbiljne nuspojave lijeka Qalsody obuhvaćaju mijelitis (upalu kralježnične moždine), povišen tlak oko mozga, papiloedem (oticanje živca koji povezuje oči s mozgom), radikulitis (iritaciju i ozljede korijena živaca) i aseptični meningitis (upalu ovojnice oko mozga i kralježnične moždine).

Zašto je lijek Qalsody odobren u EU-u?

U trenutku izdavanja odobrenja za lijek Qalsody, mogućnosti liječenja za bolesnike s ALS-om bile su vrlo ograničene. Iako glavni rezultati ispitivanja među bolesnicima s ALS-om koji je povezan s mutacijom gena za *SOD1* nisu pokazali učinak lijeka nakon 28 tjedana liječenja, druga mjerenja potvrdila su način na koji se očekuje da će lijek djelovati i pokazala su da Qalsody može usporiti tijek bolesti.

U pogledu sigurnosti primjene, Qalsody može izazvati ozbiljne nuspojave koje zahvaćaju živčani sustav, kao što je upala kralježnične moždine. Međutim, one se mogu kontrolirati odgovarajućom terapijom.

Europska agencija za lijekove stoga je zaključila da koristi od lijeka Qalsody nadmašuju s njim povezane rizike te da lijek može biti odobren za primjenu u EU-u.

Lijek Qalsody odobren je u „iznimnim okolnostima“. Razlog tome je nemogućnost dobivanja potpunih informacija o lijeku zbog rijetkosti bolesti, a posebno oblika ALS-a povezanog s mutacijom na genu za *SOD1*, koji se javlja u samo 2 % svih bolesnika s ALS-om.

Tvrtka koja lijek Qalsody stavlja na tržište mora dostaviti dodatne podatke o dugoročnoj sigurnosti primjene i učinkovitosti lijeka u bolesnika s ALS-om povezanim s mutacijom u genu za *SOD1*. Također mora istražiti učinak lijeka u bolesnika koji još nemaju simptome. Bolesnike koji primaju lijek Qalsody potrebno je pratiti u registru te tvrtka svake godine mora dostaviti podatke iz tog registra.

Swake će godine Europska agencija za lijekove procijeniti sve nove informacije koje postanu dostupne za lijek Qalsody.

Koje se mjere poduzimaju kako bi se osigurala sigurna i učinkovita primjena lijeka Qalsody?

Preporuke i mjere opreza kojih se zdravstveni radnici i bolesnici trebaju pridržavati u cilju sigurne i učinkovite primjene lijeka Qalsody nalaze se u sažetku opisa svojstava lijeka i u uputi o lijeku.

Kao i za sve lijekove, podatci o primjeni lijeka Qalsody kontinuirano se prate. Sumnje na nuspojave prijavljene za lijek Qalsody pažljivo se procjenjuju i poduzimaju se sve potrebne mjere za zaštitu bolesnika.

Ostale informacije o lijeku Qalsody

Više informacija o lijeku Qalsody dostupno je na mrežnom mjestu Agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.