



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Qalsody (*tofersen*)

Sintesi di Qalsody e perché è autorizzato nell'Unione europea (UE)

Cos'è Qalsody e per cosa si usa?

Qalsody è un medicinale per il trattamento di adulti affetti da un tipo di sclerosi laterale amiotrofica (SLA) causata da una mutazione (difetto) nel gene responsabile della produzione di un enzima denominato superossido dismutasi 1 (SOD1). La SLA è una malattia progressiva del sistema nervoso, in cui le cellule nervose del cervello e del midollo spinale che controllano il movimento volontario si deteriorano gradualmente, causando perdita della funzione muscolare e paralisi.

La SLA è rara e Qalsody è stato qualificato come "medicinale orfano" (medicinale utilizzato nelle malattie rare) il 29 agosto 2016. In circa il 2 % dei pazienti affetti da SLA la malattia è causata da una mutazione del gene *SOD1*. Ulteriori informazioni sulla qualifica di medicinale orfano sono disponibili sul [sito web](#) dell'EMA.

Qalsody contiene il principio attivo tofersen.

Come si usa Qalsody?

Qalsody può essere ottenuto soltanto con prescrizione medica. Il trattamento deve essere iniziato esclusivamente da un medico esperto nella gestione della SLA.

Qalsody viene somministrato nel liquido cerebrospinale (liquido che circonda il midollo spinale e il cervello) mediante un'iniezione tra le vertebre a livello lombare (iniezione intratecale).

Il trattamento inizia con 3 dosi da somministrare a distanza di 2 settimane l'una dall'altra e continua con una dose ogni 4 settimane. Il medico deve riconsiderare periodicamente la necessità di continuare la terapia con Qalsody, sulla base dei sintomi e della risposta al trattamento dei pazienti.

Per maggiori informazioni sull'uso di Qalsody, vedere il foglio illustrativo o contattare il medico o il farmacista.

Come agisce Qalsody?

In alcuni pazienti la SLA è causata da una mutazione nel gene responsabile della produzione della proteina SOD1. A causa di questa mutazione la proteina SOD1 anomala presente nei pazienti è tossica per le cellule nervose e ne provoca la morte. Qalsody è costituito da un breve frammento di materiale genetico (detto oligonucleotide antisense) prodotto in un laboratorio che si lega al materiale genetico

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 presente nella cellula nervosa e blocca la produzione di SOD1 difettoso. Riducendo la quantità di SOD1 difettoso, questo medicinale dovrebbe migliorare i sintomi della SLA causata da una mutazione del gene *SOD1*.

Quali benefici di Qalsody sono stati evidenziati negli studi?

In uno studio principale su pazienti affetti da SLA associata a una mutazione del gene *SOD1*, 72 pazienti hanno ricevuto Qalsody e 36 un placebo (un trattamento fittizio) per 28 settimane. La misura principale dell'efficacia era il tasso di peggioramento dei sintomi della malattia durante lo studio. Questo è stato valutato mediante la "scala di valutazione funzionale della sclerosi laterale amiotrofica – rivista" (ALSFRS-R), una scala standard che misura aspetti del funzionamento fisico di un paziente, come la difficoltà di parlare, respirare, mangiare e svolgere altre normali attività quotidiane. Il punteggio totale va da 0 (funzione assente) a 48 (funzione normale).

Dopo 28 settimane il punteggio sulla scala ALSFRS-R era diminuito di 4,5 punti nei pazienti trattati con Qalsody, rispetto a 5,8 nei pazienti trattati con placebo; tuttavia, questa differenza non era statisticamente significativa, ossia poteva essere dovuta al caso.

Altre misurazioni, in particolare dati a lungo termine, indicano che Qalsody potrebbe rallentare il decorso della malattia. Inoltre, alcuni risultati hanno mostrato riduzioni dei livelli della proteina SOD1 nei pazienti trattati con Qalsody, rispetto a quelli trattati con placebo, confermando l'azione attesa del medicinale. Sono state altresì osservate diminuzioni dei livelli di una proteina denominata neurofilamento a catena leggera (NfL), un indicatore del danno neuronale), che suggeriscono una riduzione del danno alle cellule nervose.

Quali sono i rischi associati a Qalsody?

Per l'elenco completo delle limitazioni e degli effetti indesiderati rilevati con Qalsody, vedere il foglio illustrativo.

Gli effetti indesiderati più comuni di Qalsody (che possono riguardare più di 1 persona su 10) comprendono dolore a schiena, braccia, gambe, muscoli o articolazioni, stanchezza, livelli aumentati di proteine e/o globuli bianchi nel liquido cerebrospinale e febbre.

Gli effetti indesiderati gravi più comuni di Qalsody comprendono mielite (infiammazione del midollo spinale), pressione aumentata intorno al cervello, papilledema (gonfiore del nervo che collega gli occhi al cervello), radicolite (irritazione e lesione delle radici nervose) e meningite asettica (infiammazione della membrana intorno al cervello e al midollo spinale).

Perché Qalsody è autorizzato nell'UE?

Al momento dell'autorizzazione di Qalsody, le opzioni terapeutiche per i pazienti affetti da SLA erano molto limitate. Sebbene i risultati principali di uno studio su pazienti con SLA associata a una mutazione del gene *SOD1* non abbiano mostrato un effetto del medicinale dopo 28 settimane di trattamento, altre misurazioni hanno confermato l'azione attesa di Qalsody e hanno indicato che il medicinale potrebbe rallentare il decorso della malattia.

In termini di sicurezza, Qalsody può avere effetti indesiderati gravi a carico del sistema nervoso, come l'infiammazione del midollo spinale; tuttavia, questi possono essere gestiti con trattamenti adeguati.

Pertanto, l'Agenzia europea per i medicinali ha deciso che i benefici di Qalsody sono superiori ai rischi e che il suo uso può essere autorizzato nell'UE.

Qalsody è stato autorizzato in "circostanze eccezionali" perché non è stato possibile ottenere informazioni complete sul medicinale a causa della rarità della malattia e, in particolare della forma associata a una mutazione del gene *SOD1*, presente solo nel 2 % di tutti i pazienti affetti da SLA.

La ditta che commercializza Qalsody deve fornire ulteriori dati sulla sicurezza e sull'efficacia a lungo termine del medicinale in pazienti con SLA associata a una mutazione del gene *SOD1*. Inoltre deve esaminare l'effetto del medicinale nei pazienti che non presentano ancora sintomi. I pazienti trattati con Qalsody devono essere inseriti in registri, i cui dati devono essere presentati dalla ditta su base annuale.

Ogni anno l'Agenzia esaminerà le nuove informazioni disponibili su Qalsody.

Quali sono le misure prese per garantire l'uso sicuro ed efficace di Qalsody?

Le raccomandazioni e le precauzioni che gli operatori sanitari e i pazienti devono osservare affinché Qalsody sia usato in modo sicuro ed efficace sono state riportate nel riassunto delle caratteristiche del prodotto e nel foglio illustrativo.

Come per tutti i medicinali, i dati sull'uso di Qalsody sono costantemente monitorati. I presunti effetti indesiderati riportati con Qalsody sono valutati attentamente e qualsiasi azione necessaria alla salvaguardia dei pazienti è intrapresa.

Altre informazioni su Qalsody

Ulteriori informazioni su Qalsody sono disponibili sul sito web dell'Agenzia:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.