



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Qalsody (tofersenas)

Qalsody apžvalga ir kodėl jis buvo registruotas Europos Sąjungoje (ES)

Kas yra Qalsody ir kam jis vartojamas?

Qalsody – tai vaistas, kuriuo gydomi suaugusieji, sergantys šonine amiotrofine skleroze (ŠAS), kurią sukelia geno, atsakingo už fermento, vadinamo superoksido dismutaze 1 (angl. *superoxide dismutase 1*, SOD1), gamybą, mutacija (defektas). ŠAS yra progresuojanti nervų sistemos liga, kuria sergant galvos ir stuburo smegenų nervinės ląstelės, kontroliuojančios valingus judesius, laipsniškai degeneruoja, dėl to silpnėja raumenų funkcija ir išsivysto paralyžius.

ŠAS laikoma reta liga, todėl 2016 m. rugpjūčio 29 d. Qalsody buvo priskirtas „retųjų vaistų“ (retoms ligoms gydyti skirtų vaistų) kategorijai. SOD1 geno mutacijos sukelia ŠAS serga maždaug 2 proc. pacientų, kuriems diagnozuojama ŠAS. Daugiau informacijos apie priskyrimą retiesiems vaistams galima rasti EMA [interneto svetainėje](#).

Qalsody sudėtyje yra veikliosios medžiagos toferseno.

Kaip vartoti Qalsody?

Qalsody galima įsigyti tik pateikus receptą. Gydyimą gali pradėti tik ŠAS gydymo patirties turintis gydytojas.

Qalsody leidžiamas į cerebrospinalinį skystį (stuburo ir galvos smegenis supantį skystį), atliekant injekciją tarp stuburo kaulų apatinėje nugaros dalyje (injekciją į povoratinę erdmę).

Gydymas pradamas nuo 3 dozių, kurios suleidžiamas dviejų savaitių intervalais, vėliau kas 4 savaites suleidžiama po vieną vaisto dozę. Gydytojas reguliariai peržiūrės, ar reikia tęsti gydymą Qalsody, atsižvelgdamas į pacientui pasireiškiančius simptomus ir jo atsaką į gydymą.

Daugiau informacijos apie Qalsody vartojimą ieškokite pakuotės lapelyje arba kreipkitės į gydytoją arba vaistininką.

Kaip veikia Qalsody?

Kai kurių pacientų, kuriems diagnozuojama ŠAS, ligą sukelia geno, atsakingo už baltymo SOD1 gamybą, mutacija. Dėl šios mutacijos pakitęs baltymas SOD1 šių pacientų organizme yra toksiškas nervų ląstelėms ir jos galiausiai žūsta. Qalsody sudarytas iš laboratorijoje pagamintos nedidelės genetinės medžiagos gijos (vadinamojo priešprasminio oligonukleotido), kuri jungiasi su nervų ląstelėje

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



esančia SOD1 genetinė medžiaga ir slopina pakitusio SOD1 gamybą. Sumažindamas pakitusio SOD1 kiekį, šis vaistas turėtų palengvinti *SOD1* geno mutacijos sukeltus ŠAS simptomus.

Kokia Qalsody nauda nustatyta tyrimų metu?

Atliekant pagrindinį tyrimą, kuriame dalyvavo pacientai, sergantys su *SOD1* geno mutacija siejama ŠAS, 28 savaites 72 pacientai vartojo Qalsody, o 36 pacientai – placebą (netikrą vaistą). Pagrindinis veiksmingumo rodiklis buvo pacientams pasireiškiančių ligos simptomų progresavimo greitis tyrimo laikotarpiu. Tai buvo vertinama pagal standartinę vertinimo skalę, vadinamą patikslinta sergančiųjų ŠAS funkcijų vertinimo skale (angl. *ALS functional rating scale revised*, ALSFRS-R), pagal kurią vertinami tam tikri paciento fizinės funkcijos aspektai, pvz., kalbėjimo, kvėpavimo, valgymo funkcijų sutrikimai ir atliekant kasdienius darbus patiriami sunkumai. Bendras balų skaičius svyruoja nuo 0 (nėra funkcijos) iki 48 (normali funkcija).

Po 28 savaičių Qalsody gydytų pacientų vertinimas pagal ALSFRS-R sumažėjo 4,5 balo, o placebą vartojusių pacientų – 5,8 balo; tačiau šis skirtumas nebuvo statistiškai reikšmingas, o tai reiškia, kad ji galėjo lemti atsitiktinumas.

Kiti rodikliai, visų pirma ilgalaikiai duomenys, rodo, kad Qalsody taip pat gali sulėtinti ligos progresavimą. Be to, iš rezultatų matyti, kad, palyginti su placebą vartojusiais pacientais, Qalsody vartojusių pacientų organizme sumažėjo baltymo SOD1 kiekis, o tai patvirtina, kad vaistas veikia taip, kaip jis turėtų veikti. Be to, sumažėjo baltymo, vadinamo neurafilamentų lengvąja grandine (angl. *neurofilament light chain*, NFL), kiekis (nervų pažeidimo rodiklis), o tai rodo mažesnę nervų pažeidimą.

Kokia rizika susijusi su Qalsody vartojimu?

Išsamų visų Qalsody šalutinio poveikio reiškinių ir apribojimų sąrašą galima rasti pakuotės lapelyje.

Dažniausias Qalsody šalutinis poveikis (galintis pasireikšti daugiau kaip 1 žmogui iš 10) yra nugaros, rankų, kojų, raumenų arba sąnarių skausmas, nuovargis, padidėjęs baltymo ir (arba) baltųjų kraujo ląstelių kiekis cerebrospinaliniame skystyje ir karščiavimas.

Dažniausias sunkus Qalsody šalutinis poveikis yra mielitas (stuburo smegenų uždegimas), padidėjęs spaudimas aplink galvos smegenis, papildoma (akį ir galvos smegenis jungiančio nervo paburkimas), radikulitas (nervų šaknelių sudirginimas ir pažeidimas) ir aseptinis meningitas (galvos ir stuburo smegenų dangalų uždegimas).

Kodėl Qalsody buvo registruotas ES?

Qalsody registracijos procedūros metu ŠAS sergantys pacientai turėjo labai mažai vaistų pasirinkimo galimybių. Nors pagrindiniais rezultatais, kurie gauti atlikus tyrimą su pacientais, sergančiais su *SOD1* geno mutacija siejama ŠAS, vaisto veiksmingumo po 28 gydymo savaičių nepavyko įrodyti, kiti rodikliai patvirtino, kad vaistas veikia taip, kaip tikėtasi, ir rodo, kad Qalsody gali sulėtinti šios ligos progresavimą.

Kalbant apie saugumą, Qalsody gali sukelti sunkų šalutinį poveikį nervų sistemai, pvz., stuburo smegenų uždegimą, tačiau tokius reiškinius galima kontroliuoti atitinkamu gydymu.

Todėl Europos vaistų agentūra nusprendė, kad Qalsody nauda yra didesnė už jo keliamą riziką ir jis gali būti registruotas vartoti ES.

Qalsody registruotas išimtinėmis aplinkybėmis, nes dėl ligos ir ypač dėl šios su *SOD1* geno mutacija siejamos ŠAS formos retumo – ji nustatoma tik 2 proc. visų ŠAS sergančių pacientų – nebuvo įmanoma gauti visos informacijos apie šį vaistą.

Be to, Qalsody prekiaujanti bendrovė privalo pateikti daugiau duomenų apie vaisto ilgalaikį saugumą ir veiksmingumą gydant su *SOD1* geno mutacija siejama ŠAS sergančius pacientus. Bendrovė taip pat turi ištirti vaisto poveikį pacientams, kuriems dar nepasireiškia ligos simptomai. Qalsody gydyti pacientai turi būti įtraukti į registrą, o bendrovė turi kasmet pateikti šio registro duomenis.

Agentūra kasmet peržiūrės visą naujai gautą informaciją apie Qalsody.

Kokios priemonės taikomos siekiant užtikrinti saugų ir veiksmingą Qalsody vartojimą?

Į preparato charakteristikų santrauką ir pakuotės lapelį įtrauktos saugaus ir veiksmingo Qalsody vartojimo rekomendacijos ir atsargumo priemonės, kurių turi imtis sveikatos priežiūros specialistai ir pacientai.

Kaip ir visų vaistų, Qalsody vartojimo duomenys nuolatos stebimi. Įtariamas Qalsody šalutinis poveikis yra kruopščiai vertinamas ir imamasi visų reikiamų priemonių pacientams apsaugoti.

Kita informacija apie Qalsody

Daugiau informacijos apie Qalsody rasite Agentūros tinklalapyje adresu:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.