



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Qalsody (*tofersens*)

Qalsody pārskats un kāpēc tās ir reģistrētas ES

Kas ir *Qalsody* un kāpēc tās lieto?

Qalsody ir zāles pieaugušo ar amiotrofiskās laterālās sklerozes (ALS) paveidu, ko izraisa mutācija (defekts) gēnā, kas atbildīgs par fermenta superoksīda dismutāzes 1 (SOD1) ražošanu, ārstēšanai. ALS ir nervu sistēmas slimība, kuras gadījumā pakāpeniski novājinās galvas un muguras smadzeņu nervu šūnas, kas kontrolē apzinātās kustības, un tādējādi izraisa muskuļu darbības zudumu un paralīzi.

ALS ir reta slimība, un 2016. gada 29. augustā *Qalsody* tika piešķirts reti sastopamu slimību ārstēšanai paredzētu zāļu statuss. ALS, ko izraisa mutācija *SOD1* gēnā, ir aptuveni 2 % no pacientiem ar ALS. Sīkāka informācija par retu slimību ārstēšanai paredzēto zāļu statusa piešķiršanu ir atrodama [EMA tīmekļa vietnē](#).

Qalsody satur aktīvo vielu tofersēnu.

Kā lieto *Qalsody*?

Qalsody var iegādāties tikai pret recepti. Ārstēšanu drīkst uzsākt tikai ārsts ar pieredzi ALS ārstēšanā.

Qalsody ievada arī cerebrospinālajā šķidrumā (šķidruma, kas aptver muguras smadzenes un smadzenes) ar injekciju starp mugurkaula kauliem muguras lejasdaļā (intratekāļā injekcija).

Ārstēšana sāk ar trīs devām, ko ievada ar divu nedēļu starplaiku, kam seko viena deva ik pēc četrām nedēļām. Ārsts regulāri pārskatīs vajadzību turpināt ārstēšanu ar *Qalsody*, ņemot vērā pacientu simptomus un reakciju uz ārstēšanu.

Papildu informāciju par *Qalsody* lietošanu skatīt zāļu lietošanas instrukcijā vai jautāt ārstam vai farmaceitam.

Kā *Qalsody* darbojas?

Dažiem pacientiem ar ALS šo slimību izraisa mutācija gēnā, kas ir atbildīgs par proteīna SOD1 ražošanu. Šīs mutācijas dēļ šiem pacientiem anomālais SOD1 proteīns ir toksisks nervu šūnām, galu galā izraisot šūnu bojāeju. *Qalsody* ir izgatavotas arī no neliela ģenētiskā materiāla (ko sauc par antisenses oligonukleotīdu) paveidu laboratorijā, kas saistās ar SOD1 ģenētisko materiālu nervu šūnās un bloķē defektīvās SOD1 veidošanos. Samazinot defektīvo SOD1 daudzumu, paredzams, ka šīs zāles uzlabos ALS simptomus, ko izraisa mutācija *SOD1* gēnā.

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



Kādi *Qalsody* ieguvumi atklāti pētījumos?

Pamatpētījumā, kurā piedalījās pacienti ar ALS, kas saistīta ar mutāciju *SOD1* gēnā, 72 pacienti saņēma *Qalsody*, un 36 pacienti 28 nedēļas saņēma placebo (fiktīvu ārstēšanu). Galvenais efektivitātes rādītājs bija biežums, kādā pacienta slimības simptomi pētījuma laikā saasinājās. To novērtēja, izmantojot standarta vērtēšanas skalu, ko dēvē par "pārskatīto ALS funkcionālo vērtēšanas skalu" (ALSFRS-R), kas mēra pacienta fiziskās funkcionēšanas aspektus, piemēram, grūtības runāt, elpot, ēst un veikt citas normālas ikdienas darbības. Kopējais punktu skaits ir diapazonā no 0 (nav funkcijas) līdz 48 (normāla funkcija).

Pēc 28 nedēļām ALSFRS-R rādītājs pacientiem, kuri saņēma *Qalsody*, samazinājās par 4,5 punktiem salīdzinājumā ar 5,8 punktiem pacientiem, kuri saņēma placebo, tomēr šī atšķirība nebija statistiski nozīmīga, kas nozīmē, ka tā varētu būt saistīta ar nejaušību.

Citi mērījumi, jo īpaši ilgtermiņa dati, liecināja, ka arī *Qalsody* var palēnināt slimības gaitu. Turklāt rezultāti liecināja par *SOD1* proteīna līmeņa pazemināšanos pacientiem, kuri saņēma *Qalsody*, salīdzinājumā ar pacientiem, kuri saņēma placebo, un tas apstiprināja zāļu paredzamo iedarbību. Novēroja arī proteīna, ko dēvē par neurofilamenta vieglās ķēdes (NfL, nervu bojājumu rādītājs), līmeņa pazemināšanos, kas liecina par samazinātu nervu bojājumu.

Kāds risks pastāv, lietojot *Qalsody*?

Pilnu visu ziņoto blakusparādību un ierobežojumu sarakstu, lietojot *Qalsody*, skatīt zāļu lietošanas instrukcijā.

Visbiežākās *Qalsody* blakusparādības (kas var rasties vairāk nekā 1 no 10 cilvēkiem) ir sāpes mugurā, rokās, kājās, muskuļos vai locītavās, nogurums, paaugstināts olbaltumvielu un/vai balto asins šūnu līmenis cerebrospinalajā šķidrumā un drudzis.

Visbiežākās nopietnās *Qalsody* blakusparādības ir mielīts (muguras smadzeņu iekaisums), paaugstināts spiediens ap smadzenēm, papilloedēma (nervu, kas savieno acis ar smadzenēm, pietūkums), radikulīts (nervu sakņu kairinājums un bojājums) un aseptisks meningīts (galvas un muguras smadzeņu apvalka iekaisums).

Kāpēc *Qalsody* ir reģistrētas ES?

Qalsody reģistrācijas laikā pacientiem ar ALS bija ļoti ierobežotas ārstēšanas iespējas. Lai gan pētījuma galvenie rezultāti pacientiem ar ALS, kas saistīti ar *SOD1 gēna* mutāciju, neuzrādīja zāļu iedarbību pēc 28 ārstēšanas nedēļām, citi mērījumi apstiprināja to, kā zāles darbosies, un norādīja, ka *Qalsody* var palēnināt slimības gaitu.

No drošuma viedokļa *Qalsody* var izraisīt nopietnas blakusparādības, kas saistītas ar nervu sistēmu, piemēram, muguras smadzeņu iekaisumu, tomēr tās var mazināt ar atbilstošu ārstēšanu.

Tādēļ Eiropas Zāļu aģentūra nolēma, ka ieguvums, lietojot *Qalsody*, pārsniedz šo zāļu radīto risku un zāles var reģistrēt lietošanai ES.

Qalsody ir reģistrētas "ārkārtas apstākļos". Tas ir tāpēc, ka nav bijis iespējams iegūt pilnīgu informāciju par zālēm slimības retuma dēļ un jo īpaši par ALS formu, kas saistīta ar mutāciju *SOD1* gēnā, jo tā ir konstatēta tikai 2 % no visiem ALS pacientiem.

Uzņēmumam, kas piedāvā tirgū *Qalsody*, jāiesniedz arī papildu dati par šo zāļu ilgtermiņa drošumu un efektivitāti pacientiem ar ALS, kas saistīta ar mutāciju *SOD1* gēnā. Turklāt uzņēmums pētīs šo zāļu

iedarbību uz pacientiem, kuriem vēl nav simptomu. Ar *Qalsody* ārstētie pacienti ir jānovēro reģistrā, un uzņēmumam katru gadu ir jāiesniedz šā reģistra dati.

Aģentūra katru gadu pārbaudīs visu jauniegūto informāciju, kas būs pieejama arī *Qalsody*.

Kas tiek darīts, lai garantētu drošu un efektīvu *Qalsody* lietošanu?

Turklāt zāļu aprakstā un lietošanas instrukcijā tika ietverti ieteikumi un piesardzības pasākumi, kas jāievēro veselības aprūpes speciālistiem un pacientiem, lai garantētu drošu un efektīvu *Qalsody* lietošanu.

Tāpat kā par visām zālēm, dati par *Qalsody* lietošanu tiek pastāvīgi uzraudzīti. Ziņotās ar *Qalsody* lietošanu saistītās iespējamās blakusparādības tiek rūpīgi izvērtētas, un tiek veikti visi pacientu aizsardzībai nepieciešamie pasākumi.

Cita informācija par *Qalsody*

Sīkāka informācija par *Qalsody* ir atrodama aģentūras tīmekļa vietnē:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.