



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Qalsody (tofersen)

Ħarsa ġenerali lejn Qalsody u għalfejn huwa awtorizzat fl-UE

X'inhu Qalsody u għal xiex jintuża?

Qalsody huwa medicina għat-trattament tal-adulti b'tip ta' sklerozi laterali amijotrofika (ALS) ikkawżata minn mutazzjoni (difett) fil-ġene responsabbli għall-produzzjoni ta' enzima msejha superoxide dismutase 1 (SOD1). L-ALS hija marda progressiva tas-sistema nervuża, fejn iċ-ċelloli tan-nervituri fil-moħħ u fis-sinġla tad-dahar li jikkontrollaw il-moviment volontarju jiddeterjoraw gradwalment, u jikkawżaw telfien tal-funzjoni tal-muskoli u paralizi.

ALS hija rari, u Qalsody ġie denominat bħala "medicina orfni" (medicina li tintuża f'mard rari) fid-29 ta' Awwissu 2016. ALS ikkawżata minn mutazzjoni fil-ġene *SOD1* tirrappreżenta madwar 2 % tal-pazjenti bl-ALS. Aktar informazzjoni dwar id-denominazzjoni orfni tinstab fuq is-[sit web](#) tal-EMA.

Qalsody fih is-sustanza attiva tofersen.

Kif jintuża Qalsody?

Qalsody jista' jinkiseb biss b'riċetta ta' tabib. It-trattament għandu jinbeda biss minn tabib b'esperjenza fl-immaniġġjar tal-ALS.

Qalsody jitwassal fil-fluwidu ċerebrospinali (fluwidu li jiċċirkonda is-sinġla tad-dahar u l-moħħ) permezz ta' injezzjoni bejn l-għadam spinali fin-naħa ta' isfel tad-dahar (injezzjoni intratekali).

It-trattament jibda bi 3 dozi mogħtija ġimagħtejn 'il bogħod minn xulxin, segwiti minn doża waħda kull 4 ġimgħat. It-tabib se jirrieżamina regolarment il-ħtieġa li jitkompla t-trattament b'Qalsody, abbażi tas-sintomi tal-pazjenti u r-rispons għat-trattament.

Għal iktar informazzjoni dwar l-użu ta' Qalsody, ara l-fuljett ta' tagħrif jew ikkuntattja lit-tabib jew lill-ispiżjar tiegħek.

Kif jaħdem Qalsody?

F'xi pazjenti bl-ALS, il-kundizzjoni tagħhom hija kkawżata minn mutazzjoni fil-ġene responsabbli għall-produzzjoni tal-proteina SOD1. Minħabba din il-mutazzjoni, il-proteina anormali SOD1 f'dawn il-pazjenti hija tossika għaċ-ċelloli tan-nervituri, u eventwalment tikkawża l-mewt taċ-ċelloli. Qalsody huwa magħmul minn filament żgħir ta' materjal ġenetiku (imsejjaħ antisense oligonucleotide) magħmul f'laboratorju li jehel mal-materjal ġenetiku ta' SOD1 fiċ-ċellola tan-nervituri u jimblokka l-

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



produzzjoni ta' SOD1 difettuż. Billi tnaqqas l-ammont ta' SOD1 difettuż, din il-medicina hija mistennija li ttejjeb is-sintomi tal-ALS ikkawżati minn mutazzjoni fil-gene *SOD1*.

X'inhuma l-benefiċċji ta' Qalsody li ħarġu mill-istudji?

Fi studju ewlieni li involva pazjenti b'ALS assoċjata ma' mutazzjoni fil-gene *SOD1*, 72 pazjent irċevew Qalsody u 36 irċevew placebo (trattament fint) għal 28 ġimgħa. Il-kejl ewlieni tal-effikaċja kien ir-rata li biha s-sintomi tal-marda ta' pazjent marru għall-aġġar matul l-istudju. Din ġiet ivvalutata bl-użu ta' skala ta' klassifikazzjoni standard magħrufa bħala "skala ta' klassifikazzjoni funzjonali tal-ALS riveduta" (ALSFRS-R), li tkejjel aspetti tal-funzjonament fiżiku ta' pazjent, bħal diffikultà biex jitkellem, jieħu n-nifs, jiekol u jwettaq attivitajiet normali oħra ta' kuljum. Il-punteġġ totali jvarja minn 0 (l-ebda funzjoni) sa 48 (funzjoni normali).

Wara 28 ġimgħa, il-punteġġ tal-ALSFRS-R naqas b'4.5 punti f'pazjenti li rċevew Qalsody meta mqabbel ma' 5.8 f'pazjenti li ngħataw placebo; madankollu, din id-differenza ma kinitx statistikament sinifikanti, li jfisser li setgħet tkun dovuta għal ċans.

Kejl ieħor, b'mod partikolari *data* fit-tul, indika li Qalsody jista' jnaqqas ir-ritmu tal-marda. Barra minn hekk, ir-riżultati wrew tnaqqis fil-livelli tal-proteina SOD1 f'pazjenti li rċevew Qalsody meta mqabbla ma' dawk li rċevew placebo, u dan jikkonferma l-mod kif il-medicina hija mistennija li taħdem. Kien hemm ukoll tnaqqis fil-livelli ta' proteina msejha katina tad-dawl newrofilament (NfL, indikatur ta' ħsara fin-nervituri), li jissuġġerixxi tnaqqis fil-ħsara fin-nervituri.

X'inhuma r-riskji assoċjati ma' Qalsody?

Għal-lista sħiħa tal-effetti sekondarji u r-restrizzjonijiet b'Qalsody, ara l-fuljett ta' tagħrif.

L-effetti sekondarji l-aktar komuni b'Qalsody (li jistgħu jaffettwaw aktar minn persuna 1 minn kull 10) jinkludu wġiġh fid-dahar, id-dirgħajn, ir-riġlejn, il-muskoli jew il-ġogi, għeja, żieda fil-livelli ta' proteina u/jew ta' ċelloli bojod tad-demem fil-fluwidu ċerebrospinali, u deni.

L-effetti sekondarji serji l-aktar komuni b'Qalsody jinkludu mijelite (infjammazzjoni tas-sinsla tad-dahar), żieda fil-pressurejiet madwar il-moħħ, papilloedema (nefha tan-nerv li tgħaqqad l-għajnejn mal-moħħ), radikulite (irritazzjoni u korriment tal-għeruq tan-nervituri) u meningite assetika (infjammazzjoni tar-rita madwar il-moħħ u s-sinsla tad-dahar).

Għaliex Qalsody ġie awtorizzat fl-UE?

Fiż-żmien tal-awtorizzazzjoni ta' Qalsody, kien hemm għażliet ta' trattamenti limitati ħafna għall-pazjenti bl-ALS. Għalkemm ir-riżultati ewlenin minn studju f'pazjenti bl-ALS assoċjati ma' mutazzjoni fil-gene *SOD1* naqsu milli juru effett tal-medicina wara 28 ġimgħa ta' trattament, kejl ieħor ikkonferma l-mod kif il-medicina hija mistennija li taħdem u indika li Qalsody jista' jnaqqas ir-ritmu tal-marda.

F'termini ta' sigurtà, Qalsody jista' jkollu effetti sekondarji serji li jinvolvu s-sistema nervuża, bħal infjammazzjoni tas-sinsla tad-dahar; madankollu, dawn jistgħu jiġu mmaniġġjati bi trattament xieraq.

L-Aġenzija Ewropea għall-Medicini għaldaqstant iddeċidiet li l-benefiċċji ta' Qalsody huma akbar mir-riskji tiegħu u li jista' jiġi awtorizzat għall-użu fl-UE.

Qalsody ġie awtorizzat taħt "ċirkostanzi eċċezzjonali". Dan minħabba li ma kienx possibbli li tinkiseb informazzjoni kompluta dwar il-medicina minħabba r-rarità tal-marda, u l-forma tal-ALS assoċjata ma' mutazzjoni fil-gene *SOD1* b'mod partikolari, peress li din tinstab biss fi 2 % tal-pazjenti kollha bl-ALS.

Il-kumpanija li tqiegħed Qalsody fis-suq trid ttiprovdi aktar *data* dwar is-sigurtà u l-effikaċja fit-tul tal-mediċina f'pazjenti b'ALS assoċjata ma' mutazzjoni *fil-gene* SOD1. Din trid tinvestiga wkoll l-effett tal-mediċina f'pazjenti li għad ma għandhomx sintomi. Il-pazjenti ttrattati b'Qalsody għandhom jiġu segwiti f'reġistru u l-kumpanija għandha ttiprovdi *data* minn dan ir-reġistru fuq bażi annwali.

Kull sena, l-Aġenzija se tirrieżamina kull informazzjoni ġdida li ssir disponibbli fuq Qalsody.

X'miżuri qegħdin jittieħdu biex jiġi żgurat l-użu sigur u effettiv ta' Qalsody?

Ir-rakkomandazzjonijiet u l-prekawzzjonijiet li għandhom jiġu segwiti mill-professjonisti fil-qasam tal-kura tas-saħħa u mill-pazjenti għall-użu sigur u effettiv ta' Qalsody ġew inklużi fis-sommarju tal-karatteristiċi tal-prodott u fil-fuljett ta' tagħrif.

Bħal fil-każ tal-mediċini kollha, id-*data* dwar l-użu ta' Qalsody hija ssorveljata kontinwament. L-effetti sekondarji ssuspettati rrapportati b'Qalsody huma evalwati bir-reqqa u kull azzjoni meħtieġa hi meħuda biex ttiproteġi lill-pazjenti.

Informazzjoni oħra dwar Qalsody

Aktar informazzjoni dwar Qalsody tinstab fis-sit web tal-Aġenzija:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.