



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Qalsody (*tofersen*)

Um resumo sobre Qalsody e porque está autorizado na UE

O que é Qalsody e para que é utilizado?

Qalsody é um medicamento para o tratamento de adultos com um tipo de esclerose lateral amiotrófica (ELA) causada por uma mutação (defeito) no gene responsável pela produção de uma enzima denominada superóxido dismutase 1 (SOD1). A ELA é uma doença progressiva do sistema nervoso, na qual as células nervosas do cérebro e da medula espinhal que controlam o movimento voluntário se deterioram gradualmente, causando perda da função muscular e paralisia.

A ELA é uma doença rara, e Qalsody foi designado medicamento órfão (medicamento utilizado em doenças raras) em 29 de agosto de 2016. A ELA causada por uma mutação no gene *SOD1* representa cerca de 2 % dos doentes com ELA. Mais informações sobre a designação de medicamento órfão podem ser encontradas no [sítio Internet](#) da EMA.

Qalsody contém a substância ativa tofersen.

Como se utiliza Qalsody?

Qalsody só pode ser obtido mediante receita médica. O tratamento só deve ser iniciado por um médico com experiência no tratamento da ELA.

Qalsody é libertado no líquido cefalorraquidiano (líquido que rodeia a medula espinhal e o cérebro) através de uma injeção entre os ossos da coluna vertebral na zona lombar (injeção intratecal).

O tratamento é iniciado com 3 doses administradas com 2 semanas de intervalo, seguidas de uma dose a cada 4 semanas. O médico irá rever regularmente a necessidade de continuar o tratamento com Qalsody, com base nos sintomas dos doentes e na resposta ao tratamento.

Para mais informações sobre a utilização de Qalsody, consulte o Folheto Informativo ou contacte o seu médico ou farmacêutico.

Como funciona Qalsody?

Em alguns doentes com ELA, a doença é causada por uma mutação no gene responsável pela produção da proteína SOD1. Devido a esta mutação, a proteína SOD1 anormal nestes doentes é tóxica para as células nervosas, acabando por provocar a morte das células. Qalsody é constituído por uma pequena vertente de material genético (denominado oligonucleótido antisense) produzido num

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



laboratório que se liga ao material genético SOD1 na célula nervosa e bloqueia a produção de SOD1 defeituosa. Ao reduzir a quantidade de SOD1 defeituosa, espera-se que este medicamento melhore os sintomas da ELA causada por uma mutação no gene *SOD1*.

Quais os benefícios demonstrados por Qalsody durante os estudos?

Num estudo principal que incluiu doentes com ELA associada a uma mutação no gene *SOD1*, 72 doentes receberam Qalsody e 36 receberam um placebo (tratamento simulado) durante 28 semanas. O principal parâmetro de eficácia foi a taxa a que os sintomas da doença de um doente se agravaram durante o estudo. Tal foi avaliado utilizando uma escala de classificação normalizada conhecida como Escala de Classificação Funcional da ELA Revista (*ALS Functional Rating Scale-Revised* - ALSFRS-R), que mede aspetos do funcionamento físico de um doente, como a dificuldade de falar, respirar, comer e realizar outras atividades diárias normais. A pontuação total varia entre 0 (sem função) e 48 (função normal).

Após 28 semanas, a pontuação ALSFRS-R diminuiu 4,5 pontos nos doentes que receberam Qalsody, em comparação com 5,8 nos doentes que receberam placebo; no entanto, esta diferença não foi estatisticamente significativa, o que significa que pode ser devida à probabilidade.

Outras medições, em particular dados a longo prazo, indicaram que Qalsody pode retardar o curso da doença. Além disso, os resultados mostraram reduções nos níveis da proteína SOD1 em doentes que receberam Qalsody em comparação com os que receberam o placebo, confirmando a forma como se espera que o medicamento funcione. Observaram-se também reduções nos níveis de uma proteína chamada neurofilamento de cadeia leve (*neurofilament light chain* - NfL, um indicador de lesões nos nervos), sugerindo uma redução das lesões nos nervos.

Quais são os riscos associados a Qalsody?

Para a lista completa de restrições de utilização e de efeitos secundários comunicados relativamente a Qalsody, consulte o Folheto Informativo.

Os efeitos secundários mais frequentes associados a Qalsody (que podem afetar mais de 1 em cada 10 pessoas) são dor nas costas, nos braços, nas pernas, nos músculos ou nas articulações, sensação de cansaço, aumento dos níveis de proteínas e/ou de glóbulos brancos no líquido cefalorraquidiano e febre.

Os efeitos secundários graves mais frequentes associados ao Qalsody incluem a mielite (inflamação da medula espinhal), o aumento da pressão à volta do cérebro, edema papilar (inchaço do nervo que liga os olhos ao cérebro), radiculite (irritação e lesão da raiz dos nervos) e a meningite asséptica (inflamação do revestimento à volta do cérebro e da medula espinhal).

Porque está Qalsody autorizado na UE?

No momento da autorização de Qalsody, as opções de tratamento para os doentes com ELA eram muito limitadas. Embora os principais resultados de um estudo em doentes com ELA associada a uma mutação no gene *SOD1* não tenham demonstrado um efeito do medicamento após 28 semanas de tratamento, outras medições confirmaram a forma como se espera que o medicamento funcione e indicaram que Qalsody pode abrandar o curso da doença.

Em termos de segurança, Qalsody pode ter efeitos secundários graves envolvendo o sistema nervoso, tais como inflamação da medula espinhal; no entanto, estes podem ser tratados com tratamento adequado.

A Agência Europeia de Medicamentos concluiu que os benefícios de Qalsody são superiores aos seus riscos e o medicamento pode ser autorizado para utilização na UE.

Qalsody foi autorizado em «circunstâncias excepcionais». Isto significa que não foi possível obter informação completa sobre o medicamento devido à raridade da doença e à forma de ELA associada a uma mutação no gene *SOD1* em particular, dado que se verifica apenas em 2 % de todos os doentes com ELA.

A empresa que comercializa Qalsody deve fornecer dados adicionais sobre a segurança e a eficácia a longo prazo do medicamento em doentes com ELA associada a uma mutação no gene *SOD1*. Tem também de investigar o efeito do medicamento em doentes que ainda não apresentam sintomas. Os doentes tratados com Qalsody devem ser acompanhados num registo e a empresa tem de fornecer anualmente dados deste registo.

Todos os anos, a Agência analisará quaisquer novas informações que fiquem disponíveis sobre Qalsody.

Que medidas estão a ser adotadas para garantir a utilização segura e eficaz de Qalsody?

No Resumo das Características do Medicamento e no Folheto Informativo foram incluídas recomendações e precauções a observar pelos profissionais de saúde e pelos doentes para a utilização segura e eficaz de Qalsody.

Tal como para todos os medicamentos, os dados sobre a utilização de Qalsody são continuamente monitorizados. Os efeitos secundários comunicados com Qalsody são cuidadosamente avaliados e são tomadas quaisquer ações necessárias para proteger os doentes.

Outras informações sobre Qalsody

Mais informações sobre Qalsody podem ser encontradas no sítio Internet da Agência: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.