



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Qalsody (tofersen)

Prezentare generală a Qalsody și motivele autorizării medicamentului în UE

Ce este Qalsody și pentru ce se utilizează?

Qalsody este un medicament pentru tratarea adulților cu un tip de scleroză laterală amiotrofică (SLA), cauzată de o mutație (defect) a (al) genei responsabile pentru producerea unei enzime numite superoxid dismutază 1 (SOD1). SLA este o boală progresivă a sistemului nervos, în care celulele nervoase din creier și din măduva spinării care controlează mișcarea voluntară se deteriorează treptat, cauzând pierderea funcției musculare și paralizie.

SLA este rară, iar Qalsody a fost desemnat „medicament orfan” (medicament utilizat în boli rare) la 29 august 2016. Aproximativ 2 % din pacienții cu SLA suferă de SLA cauzată de o mutație a genei SOD1. Mai multe informații despre medicamentele desemnate orfane se pot găsi pe [site-ul EMA](https://www.ema.europa.eu/en/orphan).

Qalsody conține substanța activă tofersen.

Cum se utilizează Qalsody?

Qalsody se poate obține numai pe bază de prescripție medicală. Tratamentul trebuie inițiat numai de un medic cu experiență în abordarea terapeutică a SLA.

Qalsody se administrează în lichidul cefalorahidian (lichid care înconjoară măduva spinării și creierul) printr-o injecție între oasele coloanei vertebrale din partea inferioară a spatelui (injecție intratecală).

Tratamentul începe cu 3 doze administrate la interval de 2 săptămâni, urmate de câte o doză o dată la 4 săptămâni. Medicul va reexamina periodic necesitatea de a continua tratamentul cu Qalsody, pe baza simptomelor pacienților și a răspunsului la tratament.

Pentru informații suplimentare cu privire la utilizarea Qalsody, citiți prospectul sau adresați-vă medicului dumneavoastră sau farmacistului.

Cum acționează Qalsody?

La unii pacienți cu SLA, afecțiunea este cauzată de o mutație a genei responsabile pentru producerea proteinei SOD1. Din cauza acestei mutații, proteina anormală SOD1 de la acești pacienți este toxică pentru celulele nervoase, cauzând în cele din urmă moartea celulelor. Qalsody este realizat dintr-un mic fragment de material genetic (numit oligonucleotidă antisens), realizat în laborator, care se leagă de materialul genetic SOD1 din celula nervoasă și blochează producția de SOD1 defectă. Prin reducerea

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



cantității de SOD1 defectă, se preconizează că acest medicament va ameliora simptomele SLA cauzate de o mutație a genei *SOD1*.

Ce beneficii a prezentat Qalsody pe parcursul studiilor?

Într-un studiu principal care a cuprins pacienți cu SLA asociată cu o mutație a genei *SOD1*, 72 de pacienți au primit Qalsody, iar 36 au primit placebo (un preparat inactiv) timp de 28 de săptămâni. Principala măsură a eficacității a fost rata de agravare a simptomelor bolii la un pacient în timpul studiului. Acest lucru a fost evaluat folosind o scală de evaluare standard intitulată „Scală de evaluare funcțională SLA – revizuită” (ALSFRS-R), care măsoară aspecte legate de funcționarea fizică a unui pacient, cum ar fi dificultatea de a vorbi, de a respira, de a mânca și de a efectua alte activități zilnice normale. Scorul total variază între 0 (nicio funcție) și 48 (funcție normală).

După 28 de săptămâni, scorul ALSFRS-R a scăzut cu 4,5 puncte la pacienții cărora li s-a administrat Qalsody, comparativ cu 5,8 puncte la pacienții cărora li s-a administrat placebo; această diferență nu a fost totuși semnificativă din punct de vedere statistic, ceea ce înseamnă că ar putea fi întâmplătoare.

Alte măsurători, în special date pe termen lung, au indicat că Qalsody poate încetini evoluția bolii. În plus, rezultatele au demonstrat reducerea nivelurilor proteinei SOD1 la pacienții cărora li s-a administrat Qalsody, comparativ cu cei cărora li s-a administrat placebo, confirmând modul în care ar trebui să acționeze medicamentul. De asemenea, au existat reduceri ale nivelurilor unei proteine numite lanț ușor neurofilamentar (NfL, un indicator al leziunilor nervoase), ceea ce sugerează o reducere a leziunilor nervoase.

Care sunt riscurile asociate cu Qalsody?

Pentru lista completă a reacțiilor adverse și a restricțiilor asociate cu Qalsody, citiți prospectul.

Cele mai frecvente reacții adverse asociate cu Qalsody (care pot afecta mai mult de 1 persoană din 10) sunt dureri în spate, brațe, picioare, mușchi sau articulații, oboseală, niveluri crescute de proteine și/sau de globule albe în lichidul cefalorahidian și febră.

Cele mai frecvente reacții adverse grave asociate cu Qalsody sunt mielită (inflamarea măduvei spinării), presiune crescută în jurul creierului, edem papilar (umflarea nervului optic de la nivelul ochiului), radiculită (iritații și leziuni ale rădăcinilor nervoase) și meningită aseptică (inflamarea mucoasei din jurul creierului și măduvei spinării).

De ce a fost autorizat Qalsody în UE?

La momentul autorizării Qalsody, opțiunile de tratament pentru pacienții cu SLA erau foarte limitate. Deși rezultatele principale ale unui studiu pe pacienți cu SLA asociată cu o mutație a genei *SOD1* nu au reușit să demonstreze un efect al medicamentului după 28 de săptămâni de tratament, alte măsurători au confirmat modul în care ar trebui să acționeze medicamentul și au indicat că Qalsody poate încetini evoluția bolii.

În ceea ce privește siguranța, Qalsody poate genera reacții adverse grave care implică sistemul nervos, cum ar fi inflamarea măduvei spinării; totuși, acestea pot fi gestionate printr-un tratament adecvat.

Prin urmare, Agenția Europeană pentru Medicamente a hotărât că beneficiile Qalsody sunt mai mari decât riscurile asociate și acest medicament poate fi autorizat pentru utilizare în UE.

Qalsody a fost autorizat în „condiții excepționale”. Aceasta înseamnă că, din cauza rarității bolii și a formei de SLA asociate cu o mutație a genei *SOD1* în special, deoarece aceasta este prezentă numai la 2 % din totalul pacienților cu SLA, nu s-au putut obține informații complete despre medicament.

Compania care comercializează Qalsody trebuie să furnizeze date suplimentare privind siguranța și eficacitatea pe termen lung a medicamentului la pacienții cu SLA asociată cu o mutație a genei *SOD1*. De asemenea, compania trebuie să investigheze efectul medicamentului la pacienții care nu prezintă încă simptome. Pacienții tratați cu Qalsody trebuie urmăriți într-un registru, iar compania trebuie să furnizeze date din acest registru în fiecare an.

În fiecare an, agenția va analiza informațiile nou apărute despre Qalsody.

Ce măsuri se iau pentru utilizarea sigură și eficace a Qalsody?

În Rezumatul caracteristicilor produsului și în prospect au fost incluse recomandări și măsuri de precauție pentru utilizarea sigură și eficace a Qalsody, care trebuie respectate de personalul medical și de pacienți.

Ca pentru toate medicamentele, datele cu privire la utilizarea Qalsody sunt monitorizate continuu. Reacțiile adverse suspectate raportate pentru Qalsody sunt evaluate cu atenție și sunt luate toate măsurile necesare pentru protecția pacienților.

Alte informații despre Qalsody

Mai multe informații despre Qalsody se pot găsi pe site-ul agenției:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.