



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Qalsody (*tofersen*)

Prehľad o lieku Qalsody a prečo bol povolený v EÚ

Čo je liek Qalsody a na čo sa používa?

Qalsody je liek na liečbu dospelých s typom amyotrofickej laterálnej sklerózy (ALS) zapríčinennej mutáciou (poruchou) v géne, ktorý je zodpovedný za tvorbu enzýmu nazývaného superoxiddismutáza-1 (SOD1). ALS je progresívne ochorenie nervovej sústavy, pri ktorom nervové bunky v mozgu a mieche, ktoré riadia mimovoľný pohyb, postupne degenerujú, čo spôsobuje stratu svalovej funkcie a paralýzu.

ALS je zriedkavé ochorenie, a preto bol liek Qalsody 29. augusta 2016 označený za tzv. liek na ojedinelé ochorenia. ALS spôsobená mutáciou v géne *SOD1* predstavuje približne 2 % pacientov s ALS. Ďalšie informácie o označení lieku za liek na ojedinelé ochorenia sa nachádzajú na [webovej stránke EMA](#).

Liek Qalsody obsahuje liečivo tofersen.

Ako sa liek Qalsody používa?

Výdaj lieku Qalsody je viazaný na lekársky predpis. Liečbu má začať iba lekár, ktorý má skúsenosti s liečbou ALS.

Liek Qalsody sa podáva do mozgovomiechového moku (tekutiny, ktorá obklopuje miechu a mozog) prostredníctvom injekcie medzi kosti chrbtice v dolnej časti chrbta (intratekálnej injekcie).

Liečba sa začína tromi dávkami podanými v dvojtýždňovom odstupe, a potom sa podáva jedna dávka každé štyri týždne. Lekár bude na základe symptómov pacientov a odpovede na liečbu pravidelne prehodnocovať potrebu pokračovať v liečbe liekom Qalsody.

Viac informácií o používaní lieku Qalsody si prečítajte v písomnej informácii pre používateľa alebo kontaktujte svojho lekára alebo lekárničku.

Akým spôsobom liek Qalsody účinkuje?

U niektorých pacientov s ALS je ochorenie spôsobené mutáciou génu zodpovedného za tvorbu proteínu SOD1. Z dôvodu tejto mutácie je abnormálny proteín SOD1 u týchto pacientov toxický pre nervové bunky, čo v konečnom dôsledku spôsobuje odumretie buniek. Liek Qalsody je vytvorený z malého reťazca genetického materiálu (nazývaného protismerný (antisense) oligonukleotid) vytvoreného

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



v laboratóriu, ktoré sa viaže na genetický materiál SOD1 v nervových bunkách a blokuje tvorbu chybných SOD1. Predpokladá sa, že znížením množstva chybných SOD1 tento liek zlepši príznaky ALS spôsobené mutáciou génu *SOD1*.

Aké prínosy lieku Qalsody boli preukázané v štúdiách?

V hlavnej štúdii, na ktorej sa zúčastnili pacienti s ALS spojenou s mutáciou génu *SOD1*, 72 pacientov dostávalo liek Qalsody a 36 dostávalo placebo (zdanlivý liek) počas 28 týždňov. Hlavným meradlom účinnosti bola miera zhoršenia príznakov ochorenia pacienta v priebehu štúdie. Hodnotilo sa na základe štandardnej hodnotiacej stupnice známej ako tzv. revidovanej funkčnej hodnotiacej škály ALS (ALSFRS-R), ktorou sa merajú aspekty fyzických funkcií pacienta, napríklad ťažkosti pri rozprávaní, dýchaní, jedení a vykonávaní iných bežných každodenných činností. Celkové skóre sa pohybuje od 0 (bez funkcie) do 48 (normálna funkcia).

Po 28 týždňoch sa skóre ALSFRS-R znížilo o 4,5 bodu u pacientov, ktorí dostávali liek Qalsody, v porovnaní s 5,8 bodu u pacientov, ktorí dostávali placebo. Tento rozdiel však nebol štatisticky významný, čo znamená, že mohol byť náhodný.

Iné merania, najmä dlhodobé údaje, naznačujú, že liek Qalsody môže spomaliť priebeh ochorenia. Okrem toho sa na základe výsledkov preukázalo zníženie hladiny proteínu SOD1 u pacientov, ktorí dostávali liek Qalsody, v porovnaní s pacientmi, ktorí dostávali placebo, čo potvrdzuje spôsob, akým má liek účinkovať. Došlo aj k zníženiu hladiny proteínu nazývaného ľahký reťazec neurofilamentov (NfL, ukazovateľa poškodenia nervov), čo naznačuje zníženie poškodenia nervov.

Aké riziká sa spájajú s používaním lieku Qalsody?

Zoznam všetkých vedľajších účinkov pozorovaných pri používaní lieku Qalsody a zoznam všetkých obmedzení sa nachádza v písomnej informácii pre používateľa.

Najčastejšie vedľajšie účinky lieku Qalsody (ktoré môžu postihnúť viac ako 1 osobu z 10) sú bolesť v chrbte, rukách, nohách, svaloch alebo kĺboch, únava, zvýšená hladina proteínu a/alebo bielych krviniek v mozgovomiechovom moku a horúčka.

Najčastejšie závažné vedľajšie účinky lieku Qalsody sú myelitída (zápal miechy), zvýšený tlak v okolí mozgu, papiledém (opuch nervu, ktorý spája oči s mozgom), radikulitída (podráždenie a poškodenie nervových koreňov) a aseptická meningitída (zápal výstelky okolo mozgu a miechy).

Prečo bol liek Qalsody povolený v EÚ?

Pacienti s ALS mali v čase povolenia lieku Qalsody veľmi obmedzené možnosti liečby. Aj keď hlavné výsledky štúdie u pacientov s ALS spojenou s mutáciou génu *SOD1* nepreukázali účinok lieku po 28 týždňoch liečby, iné merania potvrdili spôsob, akým má liek účinkovať a naznačili, že liek Qalsody môže spomaliť priebeh ochorenia.

Pokiaľ ide o bezpečnosť, liek Qalsody môže mať závažné vedľajšie účinky postihujúce nervovú sústavu, napríklad zápal miechy, tieto vedľajšie účinky však možno kontrolovať vhodnou liečbou.

Európska agentúra pre lieky preto rozhodla, že prínosy lieku Qalsody sú väčšie ako riziká spojené s jeho používaním a že liek byť povolená na používanie v EÚ.

Liek Qalsody bol povolený za tzv. výnimočných okolností. Dôvodom je, že nebolo možné získať úplné informácie o lieku z dôvodu zriedkavosti ochorenia a formy ALS spojennej s mutáciou najmä v géne *SOD1*, keďže existuje len u 2 % všetkých pacientov s ALS.

Spoločnosť, ktorá uvádza liek Qalsody na trh, musí poskytnúť ďalšie údaje o dlhodobej bezpečnosti a účinnosti lieku u pacientov s ALS spojenou s mutáciou génu *SOD1*. Musí tiež preskúmať účinok lieku u pacientov, ktorí ešte nemajú príznaky. Pacienti liečení liekom Qalsody sa musia sledovať v registri a spoločnosť musí každoročne poskytnúť údaje z tohto registra.

Agentúra každý rok prehodnotí všetky nové dostupné informácie o lieku Qalsody.

Aké opatrenia sa prijímajú na bezpečné a účinné používanie lieku Qalsody?

Na bezpečné a účinné užívanie lieku Qalsody boli do súhrnu charakteristických vlastností lieku a písomnej informácie pre používateľa zahrnuté odporúčania a opatrenia, ktoré majú zdravotnícki pracovníci a pacienti dodržiavať.

Tak ako pri všetkých liekoch, aj údaje o používaní lieku Qalsody sa neustále kontrolujú. Podozrenia na vedľajšie účinky hlásené pri lieku Qalsody sa dôkladne hodnotia a zabezpečujú sa akékoľvek nevyhnutné kroky na ochranu pacientov.

Ďalšie informácie o lieku Qalsody

Ďalšie informácie o lieku Qalsody sa nachádzajú na webovej stránke agentúry: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.