



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Qalsody (*tofersen*)

Pregled zdravila Qalsody in zakaj je odobreno v EU

Kaj je zdravilo Qalsody in za kaj se uporablja?

Qalsody je zdravilo za zdravljenje odraslih z vrsto amiotrofične lateralne skleroze (ALS), ki jo povzroča mutacija (okvara) v genu, odgovornem za tvorbo encima, imenovanega superoksidna dismutaza 1 (SOD1). ALS je napredujoča bolezen živčnega sistema, pri kateri živčne celice v možganih in hrbtenjači, ki nadzorujejo prostovoljne gibe, postopoma propadajo, kar povzroči prenehanje delovanja mišic in paralizo.

Amiotrofična lateralna skleroza (ALS) je redka bolezen, zato je bilo zdravilo Qalsody 29. avgusta 2016 določeno kot „zdravilo sirota“ (zdravilo za zdravljenje redkih bolezni). ALS, ki jo povzroča mutacija gena *SOD1*, predstavlja približno 2 % bolnikov s tem obolenjem. Več informacij o zdravilih sirotah je na voljo na [spletni strani](#) agencije EMA.

Zdravilo Qalsody vsebuje učinkovino tofersen.

Kako se zdravilo Qalsody uporablja?

Predpisovanje in izdaja zdravila Qalsody je le na recept. Zdravljenje lahko uvede le zdravnik, ki ima izkušnje z zdravljenjem amiotrofične lateralne skleroze.

Zdravilo Qalsody se dovaja v cerebrospinalno tekočino (tekočino, ki obdaja hrbtenjačo in možgane) z injiciranjem med hrbtenične kosti v spodnjem delu hrbta (intratekalna injekcija).

Zdravljenje se začne s tremi odmerki, ki se dajo v razmiku dveh tednov, čemur sledi en odmerek vsake štiri tedne. Zdravnik bo redno ocenjeval potrebo po nadaljevanju zdravljenja z zdravilom Qalsody na podlagi bolnikovih simptomov in odziva na zdravljenje.

Za več informacij glede uporabe zdravila Qalsody glejte navodilo za uporabo ali se posvetujte z zdravnikom ali farmacevtom.

Kako zdravilo Qalsody deluje?

Pri nekaterih bolnikih z amiotrofično lateralno sklerozo je njihovo stanje posledica mutacije v genu, ki je odgovoren za tvorbo beljakovine SOD1. Zaradi te mutacije je nenormalna beljakovina SOD1 pri teh bolnikih toksična za živčne celice, zaradi česar te celice sčasoma odmrejo. Zdravilo Qalsody je izdelano iz majhne verige genskega materiala (imenovanega antisenzni oligonukleotid), izdelanega v

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



laboratoriju, ki se veže na genski material SOD1 v živčnih celicah in zavira tvorbo okvarjene beljakovine SOD1. To zdravilo naj bi z zmanjšanjem količine okvarjenega gena SOD1 izboljšalo simptome amiotrofične lateralne skleroze, ki jih povzroča mutacija gena *SOD1*.

Kakšne koristi zdravila Qalsody so se pokazale v študijah?

V glavni študiji, v katero so bili vključeni bolniki z amiotrofično lateralno sklerozo, povezano z mutacijo gena *SOD1*, je 72 bolnikov 28 tednov prejelo zdravilo Qalsody, 36 bolnikov pa je prejelo placebo (zdravilo brez učinkovine). Glavno merilo učinkovitosti je bila hitrost poslabšanja simptomov bolnikove bolezni med študijo. To so ocenili z uporabo standardne ocenjevalne lestvice, znane kot „dopolnjena funkcijska ocenjevalna lestvica za bolnike z ALS“ (ALSFRS-R), ki meri vidike bolnikovega fizičnega delovanja, kot so težave pri govorjenju, dihanju, prehranjevanju in opravljanju drugih običajnih dnevnih dejavnosti. Skupno število točk se giblje od 0 (brez funkcije) do 48 (običajna funkcija).

Po 28 tednih se je ocena ALSFRS-R pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Qalsody, zmanjšala za 4,5 točke v primerjavi s 5,8 točke pri bolnikih, ki so prejeli placebo, vendar ta razlika ni bila statistično pomembna, kar pomeni, da je lahko posledica naključja.

Druge meritve, zlasti dolgoročni podatki, so pokazale, da lahko zdravilo Qalsody tudi upočasni potek bolezni. Poleg tega so rezultati pokazali znižanje ravni beljakovine SOD1 pri bolnikih, ki so prejeli zdravilo Qalsody, v primerjavi s tistimi, ki so prejeli placebo, kar potrjuje pričakovan način delovanja zdravila. Prišlo je tudi do znižanja ravni beljakovine, imenovane nevofilamentna svetlobna veriga (NfL, pokazatelj poškodbe živcev), kar kaže na zmanjšano poškodbo živcev.

Kakšna tveganja so povezana z zdravilom Qalsody?

Za celoten seznam neželenih učinkov in omejitev pri uporabi zdravila Qalsody glejte navodilo za uporabo.

Najpogostejši neželeni učinki zdravila Qalsody (ki se lahko pojavijo pri več kot 1 od 10 bolnikov) so bolečine v hrbtu, rokah, nogah, mišicah ali sklepih, utrujenost, zvišane ravni beljakovin in/ali belih krvnih celic v cerebrospinalni tekočini ter povišana telesna temperatura.

Najpogostejši resni neželeni učinki zdravila Qalsody vključujejo mielitis (vnetje hrbtenjače), povečan pritisk okrog možganov, papiledem (otekanje živca, ki povezuje oči z možgani), radikulitis (draženje in poškodbe živčnih korenin) in aseptični meningitis (vnetje sluznice okrog možganov in hrbtenjače).

Zakaj je bilo zdravilo Qalsody odobreno v EU?

V času izdaje dovoljenja za promet z zdravilom Qalsody so bile možnosti zdravljenja bolnikov z amiotrofično lateralno sklerozo zelo omejene. Čeprav glavni rezultati študije pri bolnikih z amiotrofično lateralno sklerozo, povezano z mutacijo gena *SOD1*, po 28 tednih zdravljenja niso pokazali učinka zdravila, so druge meritve potrdile način, kako naj bi zdravilo delovalo, in pokazale, da lahko zdravilo Qalsody upočasni potek bolezni.

Z vidika varnosti ima lahko zdravilo Qalsody resne neželene učinke na živčni sistem, kot je vnetje hrbtenjače, vendar jih je mogoče z ustreznim zdravljenjem obvladovati.

Evropska agencija za zdravila je zato zaključila, da so koristi zdravila Qalsody večje od z njim povezanih tveganj in da se lahko odobri za uporabo v EU.

Zdravilo Qalsody je pridobilo dovoljenje za promet v „izjemnih okoliščinah“. To pomeni, da zaradi redkosti bolezni in oblike amiotrofične lateralne skleroze, povezane z mutacijo v genu *SOD1*, ni bilo

mogoče pridobiti vseh podatkov o zdravilu, saj je ta mutacija ugotovljena le pri 2 % vseh bolnikov s tem obolenjem.

Podjetje, ki trži zdravilo Qalsody, mora predložiti dodatne podatke o dolgoročni varnosti in učinkovitosti zdravila pri bolnikih z amiotrofično lateralno sklerozo, povezano z mutacijo *gena* SOD1. Prav tako mora raziskati učinek zdravila pri bolnikih, ki še nimajo simptomov. Bolnike, ki se zdravijo z zdravilom Qalsody, je treba spremljati v registru, podjetje pa mora vsako leto predložiti podatke iz tega registra.

Agencija bo vsako leto ponovno pregledala vse nove podatke, ki bodo na voljo o zdravilu Qalsody.

Kateri ukrepi se izvajajo za zagotovitev varne in učinkovite uporabe zdravila Qalsody?

Priporočila in previdnostni ukrepi, ki jih morajo za varno in učinkovito uporabo zdravila Qalsody upoštevati zdravstveni delavci in bolniki, so vključeni v povzetek glavnih značilnosti zdravila in navodilo za uporabo.

Tako kot za vsako zdravilo se tudi podatki o uporabi zdravila Qalsody stalno spremljajo. Neželeni učinki, o katerih so poročali pri zdravilu Qalsody, se skrbno ovrednotijo in po potrebi se sprejmejo ukrepi za zaščito bolnikov.

Druge informacije o zdravilu Qalsody

Nadaljnje informacije za zdravilo Qalsody so na voljo na spletni strani agencije: ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.