



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

Qalsody (tofersen)

Sammanfattning av Qalsody och varför det är godkänt inom EU

Vad är Qalsody och vad används det för?

Qalsody är ett läkemedel för behandling av vuxna med en typ av amyotrofisk lateralskleros (ALS) som orsakas av en mutation (defekt) i den gen som ansvarar för att producera enzymet superoxiddismutas 1 (SOD1). ALS är en degenerativ sjukdom i nervsystemet vid vilken nervceller i hjärnan och ryggmärgen som kontrollerar frivilliga rörelser gradvis försämras, med förlorad muskelfunktion och förlamning som följd.

ALS är sällsynt och Qalsody klassificerades som sär läkemedel (ett läkemedel som används vid sällsynta sjukdomar) den 29 augusti 2016. Hos omkring 2 procent av patienterna med ALS orsakas sjukdomen av en mutation i SOD1-genen. Mer information om klassificeringen som sär läkemedel finns på [EMA:s webbplats](#).

Qalsody innehåller den aktiva substansen tofersen.

Hur används Qalsody?

Qalsody är receptbelagt. Behandling ska endast inledas av läkare med erfarenhet av att behandla ALS.

Qalsody tillförs i cerebrospinalvätskan (vätska som omger ryggmärgen och hjärnan) genom en injektion mellan ryggkotorna i nedre delen av ryggen (intratekal injektion).

Behandlingen inleds med tre doser som ges med två veckors mellanrum, följt av en dos var fjärde vecka. Läkaren kommer regelbundet att se över behovet av att fortsätta behandlingen med Qalsody, baserat på patienternas symtom och svaret på behandlingen.

För mer information om hur du använder Qalsody, läs bipacksedeln eller tala med läkare eller apotekspersonal.

Hur verkar Qalsody?

Hos vissa patienter med ALS orsakas deras tillstånd av en mutation i den gen som producerar proteinet SOD1. Mutationen innebär att det onormala SOD1-proteinet hos dessa patienter blir giftigt för nervceller, vilket leder till att cellerna dör. Qalsody tillverkas av en liten sträng av genetiskt material (antisens-oligonukleotid) som framställs i laboratorium. Strängen binder till SOD1-genetiskt

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



material i nervcellen och blockerar produktionen av defekt SOD1. Genom att minska mängden defekt SOD1 förväntas detta läkemedel förbättra ALS-symtom som orsakas av en mutation i SOD1-genen.

Vilka fördelar med Qalsody har visats i studierna?

I en huvudstudie på patienter med ALS som orsakas av en mutation i SOD1-genen fick 72 patienter Qalsody och 36 fick placebo (overksam behandling) i 28 veckor. Huvudeffektmåttet var hur snabbt en patients sjukdomssymtom förvärrades under studien. Detta bedömdes med hjälp av standardskalan ALSFRS-R (ALS Functional Rating Scale Revised), som mäter aspekter av en patients fysiska funktion, såsom svårigheter att tala, andas, äta och utföra andra normala dagliga aktiviteter. Totalpoängen varierar från 0 (ingen funktion) till 48 (normal funktion).

Efter 28 veckor minskade ALSFRS-R-poängen med 4,5 poäng hos patienter som fick Qalsody, jämfört med 5,8 hos patienter som fick placebo. Denna skillnad var dock inte statistiskt signifikant, vilket betyder att den kunde bero på tillfälligheter.

Andra mätningar, särskilt långtidsdata, tyder på att Qalsody kan bromsa sjukdomsförloppet. Dessutom visade resultaten minskningar i nivåerna av SOD1-protein hos patienter som fick Qalsody jämfört med dem som fick placebo, vilket bekräftar hur läkemedlet förväntas verka. Nivåerna av proteinet neurofilament lätt kedja (NfL, en indikator på nervskada) sjönk också, vilket tyder på minskad nervskada.

Vilka är riskerna med Qalsody?

En fullständig förteckning över biverkningar och restriktioner för Qalsody finns i bipacksedeln.

De vanligaste biverkningarna som orsakas av Qalsody (kan förekomma hos fler än 1 av 10 användare) är smärta i rygg, armar, ben, muskler eller leder, trötthet, ökade nivåer av protein och/eller vita blodkroppar i cerebrospinalvätskan samt feber.

De vanligaste allvarliga biverkningarna som orsakas av Qalsody är myelit (inflammation i ryggmärgen), ökat tryck runt hjärnan, papillödem (svullnad i den nerv som förbinder ögonen med hjärnan), radikulit (irritation och skada på nervrötter) och aseptisk meningit (inflammation i hinnan runt hjärnan och ryggmärgen).

Varför är Qalsody godkänt i EU?

Vid tidpunkten för godkännandet av Qalsody fanns det mycket begränsade behandlingsalternativ för patienter med ALS. Huvudresultaten från en studie på patienter med ALS som förknippas med en mutation i SOD1-genen visade visserligen inte någon effekt av läkemedlet efter 28 veckors behandling, men andra mätningar bekräftade läkemedlets förväntade funktion och visade att Qalsody kan bromsa sjukdomens förlopp.

När det gäller säkerheten kan Qalsody ge allvarliga biverkningar i nervsystemet, såsom inflammation i ryggmärgen, men dessa kan hanteras med lämplig behandling.

Europeiska läkemedelsmyndigheten (EMA) fann därför att fördelarna med Qalsody är större än riskerna och att Qalsody kan godkännas för försäljning i EU.

Qalsody har godkänts enligt reglerna om "godkännande i undantagsfall". Anledningen är att det inte varit möjligt att få fullständig information om Qalsody eftersom sjukdomen är sällsynt, i synnerhet den form av ALS som förknippas med en mutation i SOD1-genen, eftersom denna endast finns hos 2 procent av alla patienter med ALS.

Företaget som marknadsför Qalsody måste tillhandahålla ytterligare data om läkemedlets långsiktiga säkerhet och effekt hos patienter med ALS som förknippas med en mutation i SOD1-genen. Det måste också undersöka läkemedlets effekt på patienter som ännu inte har symtom. Patienter som behandlas med Qalsody måste följas i ett register och företaget måste tillhandahålla uppgifter från detta register varje år.

Europeiska läkemedelsmyndigheten kommer att granska ny information om Qalsody varje år.

Vad görs för att garantera säker och effektiv användning av Qalsody?

Rekommendationer och försiktighetsåtgärder som hälso- och sjukvårdspersonal och patienter ska iaktta för säker och effektiv användning av Qalsody har tagits med i produktresumén och bipacksedeln.

Liksom för alla läkemedel övervakas de vetenskapliga uppgifterna för Qalsody kontinuerligt. Misstänkta biverkningar som har rapporterats för Qalsody utvärderas noggrant och nödvändiga åtgärder vidtas för att skydda patienterna.

Mer information om Qalsody

Mer information om Qalsody finns på EMA:s webbplats:
ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody.