



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH

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

## Qalsody (*tofersen*)

Información general sobre Qalsody y sobre los motivos por los que se autoriza su uso en la UE

### ¿Qué es Qalsody y para qué se utiliza?

Qalsody es un medicamento para el tratamiento de adultos con un tipo de esclerosis lateral amiotrófica (ELA) causada por una mutación (defecto) en el gen responsable de producir una enzima denominada superóxido dismutasa 1 (SOD1). La ELA es una enfermedad progresiva del sistema nervioso en la que las neuronas del cerebro y la médula espinal encargadas de controlar el movimiento voluntario experimentan un deterioro progresivo, lo que provoca la pérdida de la función muscular y parálisis.

La ELA es una enfermedad «rara», y Qalsody fue designado «medicamento huérfano» (es decir, un medicamento utilizado en enfermedades raras) el 29 de agosto de 2016. La ELA causada por una mutación en el gen *SOD1* representa aproximadamente el 2 % de los pacientes con ELA. Puede encontrar más información sobre la designación de medicamento huérfano en la [página web](#) de la EMA.

Qalsody contiene el principio activo tofersen.

### ¿Cómo se usa Qalsody?

Qalsody solo se podrá dispensar con receta médica. El tratamiento solo debe iniciarlo un médico con experiencia en el tratamiento de la ELA.

Qalsody se administra en el líquido cefalorraquídeo (líquido que rodea la médula espinal y el cerebro) mediante una inyección entre los huesos de la columna vertebral en la parte inferior de la espalda (inyección intratecal).

El tratamiento comienza con 3 dosis administradas con un intervalo de 2 semanas, seguido de una dosis cada 4 semanas. El médico revisará periódicamente la necesidad de continuar el tratamiento con Qalsody, en función de los síntomas de los pacientes y de la respuesta al tratamiento.

Si desea más información sobre el uso de Qalsody, lea el prospecto o consulte a su médico o farmacéutico.

---

**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](http://www.ema.europa.eu/how-to-find-us)

**Send us a question** Go to [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact) **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



## ¿Cómo actúa Qalsody?

En algunos pacientes con ELA, su enfermedad se debe a una mutación en el gen responsable de producir la proteína SOD1. Debido a esta mutación, la proteína SOD1 anormal en estos pacientes es tóxica para las células nerviosas, lo que finalmente provoca la muerte de las células. Qalsody está hecho de una pequeña cadena de material genético (llamado oligonucleótido antisentido) producido en un laboratorio que se une al material genético de la SOD1 en la célula nerviosa y bloquea la producción de SOD1 defectuosa. Al reducir la cantidad de SOD1 defectuosa, se espera que este medicamento mejore los síntomas de la ELA provocada por una mutación en el gen *SOD1*.

## ¿Qué beneficios ha demostrado tener Qalsody en los estudios realizados?

En un estudio principal en el que participaron pacientes con ELA asociada a una mutación en el gen *SOD1*, 72 pacientes recibieron Qalsody y 36 recibieron un placebo (un tratamiento ficticio) durante 28 semanas. El criterio principal de valoración de la eficacia fue la tasa a la que empeoraron los síntomas de la enfermedad de un paciente durante el estudio. Esto se evaluó utilizando una escala de calificación estándar conocida como «escala de calificación funcional de ALS revisada» (ALSFRS-R), que mide aspectos del funcionamiento físico de un paciente, como la dificultad para hablar, respirar, comer y realizar otras actividades diarias normales. La puntuación total oscila entre 0 (sin función) y 48 (función normal).

Al cabo de 28 semanas, la puntuación ALSFRS-R disminuyó en 4,5 puntos en los pacientes que recibieron Qalsody, en comparación con 5,8 en los pacientes que recibieron placebo; sin embargo, esta diferencia no fue estadísticamente significativa, lo que significa que podría atribuirse al azar.

Otras mediciones, en particular los datos a largo plazo, indicaron que Qalsody puede ralentizar el curso de la enfermedad. Además, los resultados mostraron reducciones de los niveles de la proteína SOD1 en los pacientes que recibieron Qalsody en comparación con los que recibieron placebo, lo que confirma la forma en que se espera que actúe el medicamento. También se observaron reducciones en los niveles de una proteína denominada cadena luminosa de neurofilamento (NfL, un indicador de lesión nerviosa), lo que sugiere una reducción de la lesión nerviosa.

## ¿Cuáles son los riesgos asociados a Qalsody?

La lista completa de efectos adversos y restricciones de Qalsody se puede consultar en el prospecto.

Los efectos adversos más frecuentes de Qalsody (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son dolor en la espalda, los brazos, las piernas, los músculos o las articulaciones, cansancio, aumento de los niveles de proteína o de glóbulos blancos en el líquido cefalorraquídeo y fiebre.

Los efectos adversos graves más frecuentes de Qalsody son mielitis (inflamación de la médula espinal), aumento de la presión alrededor del cerebro, edema papilar (hinchazón del nervio que conecta los ojos con el cerebro), radiculitis (irritación y lesión de las raíces nerviosas) y meningitis aséptica (inflamación del revestimiento que rodea el cerebro y la médula espinal).

## ¿Por qué se ha autorizado Qalsody en la UE?

En el momento de la autorización de Qalsody, las opciones de tratamiento para los pacientes con ELA eran muy limitadas. Aunque los resultados principales de un estudio en pacientes con ELA asociada a una mutación en el gen *SOD1* no demostraron un efecto del medicamento al cabo de 28 semanas de tratamiento, otras mediciones confirmaron la forma en que se espera que actúe el medicamento e indicaron que Qalsody puede ralentizar el curso de la enfermedad.

En términos de seguridad, Qalsody puede tener efectos adversos graves que afecten al sistema nervioso, como inflamación de la médula espinal; sin embargo, estos pueden tratarse con el tratamiento adecuado.

La Agencia Europea de Medicamentos decidió que los beneficios de Qalsody eran mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE.

Qalsody ha sido autorizado en «circunstancias excepcionales». Esto se debe a que no ha sido posible obtener información completa sobre el medicamento debido a la rareza de la enfermedad y, en particular, a la forma de ELA asociada a una mutación en el gen *SOD1* en particular, ya que esta solo se encuentra en el 2 % de todos los pacientes con ELA.

La compañía que comercializa Qalsody debe proporcionar más datos sobre la seguridad y la eficacia a largo plazo del medicamento en pacientes con ELA asociada a una mutación en el gen *SOD1*. También tiene que investigar el efecto del medicamento en pacientes que aún no tienen síntomas. Los pacientes tratados con Qalsody deben ser objeto de seguimiento en un registro y la empresa debe proporcionar los datos de este registro anualmente.

Cada año, la Agencia revisará cualquier nueva información disponible sobre Qalsody.

## **¿Qué medidas se han adoptado para garantizar un uso seguro y eficaz de Qalsody?**

Las recomendaciones y precauciones que deben seguir los profesionales sanitarios y los pacientes para un uso seguro y eficaz de Qalsody se han incluido en la ficha técnica o resumen de las características del producto y el prospecto.

Como para todos los medicamentos, los datos sobre el uso de Qalsody se controlan de forma continua. Los supuestos efectos adversos notificados de Qalsody se evalúan cuidadosamente, y se adoptan las medidas que pudieran resultar necesarias para proteger a los pacientes.

## **Otra información sobre Qalsody**

Puede encontrar información adicional sobre Qalsody en la página web de la Agencia: [ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody](http://ema.europa.eu/medicines/human/EPAR/qalsody).