

Rapport succinct d'autorisation du 10.04.2026

Qalsody® (principe actif : tofersen)

Autorisation en Suisse pour une durée limitée : 19.12.2025

Solution injectable indiquée pour le traitement de la sclérose latérale amyotrophique (SLA) associée à une mutation du gène superoxyde dismutase 1

À propos du médicament

Qalsody, qui a pour principe actif le tofersen, est utilisé pour le traitement de patientes et patients adultes atteints de sclérose latérale amyotrophique (SLA) causée par une mutation d'un gène appelé superoxyde dismutase 1 (SOD1).

Le gène muté est responsable de l'accumulation d'une forme de la protéine SOD1 toxique pour les cellules nerveuses. Il en résulte une destruction de celles-ci dans le cerveau et la moelle épinière, qui entraîne une

faiblesse musculaire, y compris dans les muscles utilisés pour la respiration et la déglutition.

Cette maladie étant une maladie rare mettant en jeu le pronostic vital et qui touche environ 2 % des patientes et patients atteints de SLA, le médicament a été autorisé en tant que médicament orphelin (orphan drug). Les médicaments orphelins sont des médicaments contre des maladies rares.

Action

Le principe actif du médicament Qalsody, le tofersen, est constitué d'un matériel génétique fabriqué en laboratoire (oligonucléotide antisens) qui se lie au matériel génétique SOD1 des cellules nerveuses des patientes et des patients, bloquant ainsi la production de la protéine SOD1 modifiée.

En réduisant l'accumulation de la protéine SOD1 toxique, ce mécanisme d'action contribue à prévenir la destruction des cellules nerveuses et peut ralentir la perte de force musculaire.

Administration

Qalsody est un médicament soumis à ordonnance et est disponible sous forme de solution injectable.

Chaque flacon de 15 ml contient 6,7mg/ml de tofersen.

Qalsody est administré aux patientes et aux patients par ponction lombaire¹, à raison de trois doses de charge, à 14 jours d'intervalle,

par des professionnels de santé expérimentés. Une dose d'entretien doit ensuite être administrée tous les 28 jours.

Efficacité

L'efficacité de Qalsody a été évaluée dans une étude de 28 semaines menée auprès de 108 patientes et patients atteints de SLA et porteurs d'une mutation SOD1 confirmée.

Les participantes et participants à cette étude ont reçu pendant 24 semaines soit Qalsody (principe actif : tofersen) soit un médicament factice (placebo).

Dans une étude ultérieure, les patientes et les patients ont continué à être traités avec Qalsody.

Bien qu'aucune amélioration statistiquement mesurable des principaux critères d'évaluation de l'efficacité de la première étude n'ait été observée, l'ensemble des résultats des études a montré que le traitement par Qalsody apporte un bénéfice clinique aux patientes et patients et qu'il permet de ralentir la progression de la maladie.

Précautions, effets indésirables et risques

Le médicament Qalsody ne doit pas être utilisé en cas d'hypersensibilité au principe actif ou à l'un des excipients.

Les effets indésirables les plus fréquents étaient les suivants : douleurs dans le dos, les bras ou les jambes, augmentation du taux de protéines et/ou du nombre de globules blancs dans le liquide entourant le cerveau

et la moelle épinière, fatigue, douleurs musculaires et articulaires et fièvre.

Des effets indésirables graves peuvent survenir lors de l'utilisation de Qalsody. Toutes les précautions applicables ainsi que les risques et les autres effets indésirables possibles sont énumérés dans l'information destinée aux patients (notice d'emballage) ainsi que dans l'information professionnelle.

Justification de la décision d'autorisation

Lorsque l'autorisation de mise sur le marché de Qalsody a été délivrée, les options thérapeutiques disponibles pour les patientes et les patients atteints de SLA avec une mutation du gène SOD1 étaient limitées. Le besoin en médicaments efficaces pour lutter contre cette maladie est donc élevé.

Au vu des données disponibles et lorsque tous les risques et l'ensemble des mesures de précaution à respecter sont pris en considération, les bénéfices offerts par Qalsody sont supérieurs aux risques.

Comme toutes les études cliniques n'étaient pas disponibles ou terminées au moment de la procédure d'autorisation, le médicament Qalsody a été autorisé en Suisse pour une durée limitée (art. 9a LPT^h).

L'autorisation à durée limitée est impérativement liée à la soumission dans les délais des données complémentaires exigées par Swissmedic. Une fois ces charges satisfaites, l'autorisation à durée limitée peut être

¹ Ponction lombaire : Injection dans le canal rachidien, au niveau du segment lombaire de la colonne vertébrale.

transformée en autorisation sans charge spécifique si l'évaluation des résultats met en lumière un rapport bénéfice-risque positif.

Informations complémentaires sur le médicament

L'information professionnelle n'était pas encore disponible au moment de la publication du rapport succinct d'autorisation relatif à Qalsody. Dès que ce médicament sera disponible en Suisse, l'information professionnelle et l'information destinée aux patients

pourront être consultées sur le site Internet suivant : (www.swissmedicin.ch)
Les professionnels de santé sont là pour répondre à toute autre question.

Les présentes informations sont basées sur les informations disponibles à la date de publication du SwissPAR. Les nouvelles connaissances concernant le médicament autorisé ne sont pas intégrées dans le rapport succinct d'autorisation.

Les médicaments autorisés en Suisse sont sous la surveillance de Swissmedic. Swissmedic prendra les mesures qui s'imposent en cas de constatation de nouveaux effets indésirables ou en présence d'autres signaux de sécurité. De plus, Swissmedic recensera et publiera toute nouvelle connaissance susceptible d'avoir un impact sur la qualité, l'efficacité ou la sécurité d'emploi de ce médicament. Au besoin, l'information sur le médicament sera adaptée.