

Rapporto sintetico di omologazione del 10.04.2026

## Qalsody® (principio attivo: tofersen)

Omologazione temporanea in Svizzera: 19.12.2025

Soluzione iniettabile per il trattamento della sclerosi laterale amiotrofica (SLA) associata a una mutazione nel gene per la superossido dismutasi 1

---

### Informazioni sul medicamento

Qalsody contiene il principio attivo tofersen ed è utilizzato per il trattamento di persone adulte con sclerosi laterale amiotrofica (SLA) causata da un'alterazione (mutazione) del gene per la superossido dismutasi 1 (SOD1).

Il gene modificato porta all'accumulo della proteina SOD1, tossica per le cellule nervose. Ciò comporta una perdita di cellule nervose nel cervello e nel midollo spinale e, di conseguenza, una debolezza dei muscoli, compresi

quelli coinvolti nella respirazione e nella deglutizione.

Poiché si tratta di una malattia rara e pericolosa per la vita che interessa circa il 2% delle/dei pazienti con SLA, il medicamento Qalsody è stato omologato come «medicamento orfano». Sono definiti «orfani» i medicinali per le malattie rare.

---

### Meccanismo d'azione

Il principio attivo di Qalsody è costituito da materiale genetico prodotto in laboratorio (un cosiddetto oligonucleotide antisense), che si lega al gene per SOD1 nelle cellule nervose delle/dei pazienti, bloccando così la formazione della proteina SOD1 modificata.

Questo meccanismo d'azione riduce l'eccessivo accumulo della proteina SOD1. Ciò contribuisce a prevenire la perdita di cellule nervose e può rallentare la perdita di forza muscolare.

---

### Impiego

Qalsody è soggetto a prescrizione medica ed è disponibile in soluzione iniettabile.

Un flaconcino da 15 ml contiene 6,7 mg/ml del principio attivo tofersen.

Qalsody viene somministrato alle pazienti e ai pazienti mediante puntura lombare<sup>1</sup>, da operatrici e operatori sanitari esperti, tre

volte a intervalli di 14 giorni. In seguito il trattamento viene somministrato ogni 28 giorni.

---

## Efficacia

---

L'efficacia di Qalsody è stata valutata in uno studio di 28 settimane su un totale di 108 persone con SLA portatrici di una mutazione confermata di SOD1.

Le/i pazienti partecipanti allo studio hanno ricevuto per 24 settimane Qalsody, contenente il principio attivo tofersen, o un trattamento fittizio (placebo).

In uno studio successivo, le/i pazienti hanno proseguito il trattamento con Qalsody.

Sebbene i parametri decisivi considerati nel primo studio non fossero migliorati in misura statisticamente significativa a favore dell'efficacia del trattamento, la valutazione complessiva dei risultati degli studi ha dimostrato che le/i pazienti possono trarre beneficio dal trattamento con Qalsody e che l'ulteriore progressione della malattia può rallentare.

---

## Misure precauzionali, effetti indesiderati e rischi

---

Il medicamento Qalsody non deve essere usato in caso di ipersensibilità al principio attivo o a una qualsiasi delle sostanze ausiliarie.

Gli effetti indesiderati più comuni sono dolore dorsale, dolore alle braccia o alle gambe, aumento della quantità di proteine e/o del numero di globuli bianchi nel liquido che circonda il cervello e il midollo spinale,

stanchezza, dolori muscolari e articolari nonché febbre.

Durante l'uso di Qalsody possono manifestarsi effetti collaterali gravi. Tutte le misure precauzionali, i rischi e altri possibili effetti indesiderati sono elencati nell'informazione destinata alle/ai pazienti (foglietto illustrativo) e nell'informazione professionale.

---

## Motivazione della decisione di omologazione

---

Al momento dell'omologazione di Qalsody, le opzioni terapeutiche per le persone affette da SLA con una mutazione nel gene SOD1 erano limitate. La necessità clinica di medicinali efficaci è quindi elevata.

Tenendo conto di tutti i rischi e di tutte le misure precauzionali, e sulla base dei dati disponibili, i benefici di Qalsody superano i rischi.

Il medicamento Qalsody ha ottenuto un'omologazione temporanea in Svizzera

(art. 9a LATer) perché al momento dell'omologazione non erano ancora disponibili o conclusi tutti gli studi clinici.

L'omologazione temporanea è necessariamente vincolata alla presentazione tempestiva dei dati supplementari richiesti da Swissmedic. Una volta soddisfatte le condizioni per l'omologazione, l'omologazione temporanea potrà essere convertita in un'omologazione senza oneri particolari se la valutazione rischi-benefici dei risultati è positiva.

---

<sup>1</sup> Puntura lombare: iniezione nel canale spinale a livello di tratto lombare della colonna vertebrale.

---

## Maggiori informazioni sul medicamento

---

Al momento della pubblicazione del Rapporto sintetico di omologazione su Qalsody non sono ancora disponibili l'informazione professionale e l'informazione destinata ai pazienti relative al medicamento. Non appena il medicamento sarà in vendita in Svizzera, l'informazione professionale e l'informazione destinata ai pazienti saranno messe

a disposizione sul seguente sito Internet:  
[www.swissmedicinfo.ch](http://www.swissmedicinfo.ch)

Per altre domande, rivolgersi alle/ai professioniste/i della salute.

Lo stato di questa informazione corrisponde a quello dello SwissPAR. Le nuove conoscenze acquisite sul medicamento omologato non sono incluse nel Rapporto sintetico di omologazione.

I medicinali omologati in Svizzera sono monitorati da Swissmedic. In caso di nuovi effetti indesiderati riscontrati o di altri segnali rilevanti per la sicurezza, Swissmedic adotterà le misure necessarie. Swissmedic si occuperà di registrare e pubblicare qualsiasi nuova conoscenza acquisita concernente aspetti che potrebbero compromettere la qualità, l'efficacia o la sicurezza di questo medicamento. Se necessario, l'informazione sul medicamento sarà modificata.