

MEMORIA JUSTIFICATIVA

OBJETO

Medicamento: Tofersen (QALSODY).

PROCEDIMIENTO

Inicio de procedimiento

JUSTIFICACIÓN

La presente memoria justificativa tiene por objeto regular la licitación y adjudicación, del suministro de medicamentos de distribución exclusiva del laboratorio BIOGEN SPAIN S.L. con destino al Servicio de Farmacia Hospital Universitario La Paz, sin que su cuantía total se defina con exactitud, al tiempo de celebrar el contrato, por estar las entregas subordinadas a las necesidades de la Administración, motivo por el cual se fija un presupuesto estimado.

El medicamento a suministrar, así como sus características, se describe en el Pliego de Prescripciones Técnicas, que acompañan a la presente Memoria.

Qalsody está indicado para el tratamiento de adultos con esclerosis lateral amiotrófica (ELA) asociada a una mutación en el gen de la superóxido dismutasa 1 (SOD1). Se establecen los siguientes criterios de inicio y de discontinuación del tratamiento:

Criterios de inicio:

- Debilidad atribuible a padecer una ELA y mutación documentada en SOD1.
- Pacientes con estado funcional que admita el tratamiento (ALSFRS-R ≥ 25).
- Hombres y mujeres que estando en edad fértil, no estén embarazadas o usen métodos anticonceptivos.
- Expectativa de supervivencia superior a 6 meses debido a ELA.
- Paciente con CVF estable $\geq 45\%$ del valor predicho ajustado por sexo, edad y peso.

Criterios de discontinuación:

- Estado funcional completamente dependiente (ALSFRS-R < 20) medido tras 52 semanas de tratamiento.
- Empeoramiento significativo de la función respiratoria (CVF $< 30\%$ del valor predicho) y requerimiento de ventilación mecánica invasiva.
- Daño orgánico severo (fallo hepático con elevación marcada de enzimas hepáticas ALT o AST > 5 veces el límite superior normal [LSN] persistentes, insuficiencia renal o cardíaca que requiera el soporte de dispositivos externos).
- Problemas de coagulabilidad que contraindiquen la realización de punciones lumbares.
- Reacciones de hipersensibilidad graves (anafilaxia, angioedema).
- Reacciones adversas graves relacionadas con el tratamiento como: Meningitis química. Síndrome inflamatorio meníngeo persistente. Aumento significativo de proteínas en LCR (> 1000 mg/L) acompañado de síntomas neurológicos. Convulsiones nuevas no explicadas por ELA.
- Mujeres que comiencen estado o planificación gestacional durante el tratamiento.

Se trata de un medicamento exclusivo, prescrito por los facultativos especialistas, como la opción más adecuada para el óptimo control de la enfermedad del paciente, considerando que no existen sustitutos razonables registrados y disponibles que pudieran permitir atender a la totalidad de los pacientes para las indicaciones de tratamiento incluidas en la correspondiente ficha técnica del medicamento.

Por tanto, en determinados pacientes y situaciones, es la única alternativa farmacológica “razonable”, entendiendo como “razonable” que se trata de la más indicada en ese paciente o pacientes por razones de eficacia clínica, seguridad y reacciones adversas o contraindicaciones, coste, existencia de protocolos consensuados del Hospital o del Servicio Madrileño de Salud y política de utilización de medicamentos del SERMAS (que se traduce en los indicadores de farmacoterapia del contrato de gestión o en otras directrices institucionales).

Consultado el Centro de información online de medicamentos de la AEMPS – CIMA, con fecha del 05 de enero de 2026, el principio activo tofersen se comercializa exclusivamente en España por la empresa BIOGEN SPAIN, S.L.

Fdo: Jefe de Servicio de Farmacia