

MEMORIA JUSTIFICATIVA

OBJETO:

Medicamento: Omaveloxolona (SKYCLARYS)

PROCEDIMIENTO:

Inicio Procedimiento.

JUSTIFICACIÓN:

La presente memoria justificativa tiene por objeto regular la licitación y adjudicación, del suministro de medicamentos de distribución exclusiva del laboratorio BIGOEN SPAIN S.L.U., 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 acompaña la presente Memoria, con las siguientes indicaciones:

Skyclarys está indicado para el tratamiento de la ataxia de Friedreich en adultos y adolescentes a partir de los 16 años de edad.

Adicionalmente, para su financiación, se establecen los siguientes criterios de inicio, de seguimiento y de discontinuación del tratamiento:

- Criterios de inicio de tratamiento:

- Edad ≥ 16 años
- Diagnóstico de ataxia de Friedreich confirmado genéticamente.
- Pacientes con mFARS basal < 80
- Pacientes que estando en edad fértil, no estén embarazadas, y siempre que usen métodos anticonceptivos.
- Diabetes mellitus controlada, $HbA1c \leq 11\%$
- Valores hepáticos no elevados: ALT y AST $\leq 1,5 \times \text{ULN}$, fosfatasa alcalina $\leq 2 \times \text{ULN}$, bilirrubina $\leq 2 \times \text{ULN}$.
- No cardiomiopatía severa: Fracción de eyección del ventrículo izquierdo $\geq 40\%$
- No daño renal: tasa de filtración glomerular estimada (eGFR ≥ 30 mL/min).
- Expectativa de supervivencia superior a 1 año debido a Ataxia de Friedrich.

- Criterios de seguimiento clínico:

- Cada mes durante los primeros 3 meses, luego cada 6 meses se deberán comprobar los niveles de enzimas hepáticas AST, ALT y bilirrubina.
- Cada 6 meses, se deberá analizar un hemograma con fórmula leucocitaria, colesterol total, LDL y HDL, tasa de filtración glomerular estimada (eGFR) y BNP (o NT/proBNP)
- Cada 12 meses, se deberán analizar el estado funcional del paciente según las escalas específicas de ataxia de Friedreich mFARS

- Criterios de discontinuación del tratamiento:

- Estado funcional muy deteriorado (mFARS ≥ 80 puntos).
- Pacientes con diabetes mellitus no controlable, $HbA1c \geq 11\%$
- Pacientes con insuficiencia hepática grave, Child-Pugh clase C.
- Pacientes con cardiomiopatía severa de acuerdo a evaluación específica por cardiólogo, NYHA Clase IV.
- Pacientes con daño renal, tasa de filtración glomerular estimada (eGFR) < 30 mL/min.

- Mujeres que comiencen estado o planificación gestacional durante el tratamiento, discontinuando al menos 28 días antes.
- Pacientes con incremento de las enzimas hepáticas ALT o AST $> 5 \times \text{ULN}$ y bilirrubina $> 2 \times \text{ULN}$, y que tras 4 semanas de descanso del tratamiento no recuperan los niveles enzimáticos normales .
- Incremento de > 2 puntos en la escala mFARS a los 12 meses.

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 6 de marzo del 2026, el principio activo de la presentación solicitada se comercializa exclusivamente en España por la empresa BIGOEN SPAIN S.L.U.

Fdo: Jefe de Servicio de Farmacia