



Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de tofersén (Qalsody®) para el tratamiento de adultos con esclerosis lateral amiotrófica (ELA) asociada a una mutación en el gen de la superóxido dismutasa 1 (SOD1).

Fecha de publicación: 21 de julio de 2025

¿Qué es tofersén y para qué se utiliza?

Qalsody® es un medicamento que contiene el principio activo tofersén. El titular de la autorización de comercialización en la Unión Europea y el laboratorio ofertante en España es Biogen.

Qalsody® es un medicamento para el tratamiento de adultos con un tipo de esclerosis lateral amiotrófica (ELA) causada por una mutación en el gen responsable de la producción de una enzima llamada superóxido dismutasa 1 (SOD1). La ELA es una enfermedad progresiva del sistema nervioso en la que las células nerviosas del cerebro y la médula espinal que controlan el movimiento voluntario se deterioran gradualmente, causando pérdida de la función muscular y parálisis.

¿Cómo funciona tofersén?

La proteína SOD1 anormal presente en estos pacientes es tóxica para las neuronas, provocando eventualmente su muerte. Qalsody® está compuesto por una pequeña cadena de material genético (llamada oligonucleótido antisentido) producida en laboratorio que se une al material genético de la SOD1 en la neurona y bloquea la producción de la SOD1 defectuosa. Al reducir la cantidad de SOD1 defectuosa, se espera que este medicamento mejore los síntomas de la ELA causada por una mutación en el gen SOD1.

Información básica sobre la autorización

Qalsody® está autorizado a través del procedimiento centralizado, es decir, tiene una autorización válida para toda la Unión Europea, concedida el 29 de mayo de 2024 por la Comisión Europea tras la opinión favorable del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) el 22 de febrero de 2024¹.

Este medicamento se autorizó en circunstancias excepcionales, ya 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, debido a que esta solo se encuentra en el 2 % de todos los pacientes con ELA.

La ELA es una enfermedad poco frecuente y Qalsody® fue designado «medicamento huérfano» (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.

Conclusiones de la evaluación comparada de Qalsody®

Qalsody® se investigó en un estudio principal con pacientes con ELA asociada a una mutación en el gen SOD1, 72 pacientes recibieron Qalsody® y 36 recibieron placebo (un tratamiento ficticio) durante 28 semanas. El principal criterio de valoración de la eficacia fue la velocidad de empeoramiento de los síntomas de la enfermedad durante el estudio. Esto se evaluó mediante una escala de valoración estándar conocida como «Escala de valoración funcional de la ELA revisada» (ALSFRS-R), que mide aspectos del funcionamiento físico del paciente, como la dificultad para hablar, respirar, comer y

¹Puede consultar la información en el siguiente enlace:
<https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/qalsody#overview>



realizar otras actividades cotidianas. La puntuación total oscila entre 0 (sin función) y 48 (función normal).

Después de 28 semanas, la puntuación ALSFRS-R disminuyó 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 no se puede descartar que el efecto sea por al azar.

Otras mediciones, en particular los datos a largo plazo indicaron que Qalsody® podría ralentizar la evolución de la enfermedad. Además, los resultados mostraron reducciones en los niveles de la proteína SOD1 en los pacientes que recibieron Qalsody® en comparación con los que recibieron placebo, lo que confirma la eficacia prevista del medicamento. También se observaron reducciones en los niveles de una proteína llamada cadena ligera de neurofilamentos (NfL, un indicador de daño nervioso), lo que sugiere una reducción del daño nervioso.

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) ha publicado el Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT) de Qalsody®², concluyendo que tofersén es una opción terapéutica para el tratamiento de adultos con esclerosis lateral amiotrófica (ELA), asociada a una mutación en el gen de la proteína superóxido dismutasa 1 (SOD1) que ha demostrado efecto en biomarcadores relacionados con su mecanismo de acción.

Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos, en su sesión de 21 de mayo de 2025, acordó proponer a la Dirección General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia la inclusión en la prestación farmacéutica del SNS de este medicamento y su financiación para el para el tratamiento de adultos con esclerosis lateral amiotrófica (ELA) asociada a una mutación en el gen de la superóxido dismutasa 1(SOD1).

Adicionalmente, 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 (ALSFERS-R \geq 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 (ALSFERS-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 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.

²Puede consultar la información en el siguiente enlace:

<https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2025/IPT-369-Qalsody-tofersen.pdf>



Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

Su financiación se limita a la población descrita en el apartado anterior.

Se ha establecido un techo máximo de gasto de 3 años de duración para todo el Sistema Nacional de Salud (incluidas las Mutualidades: MUFACE, MUGEJU e ISFAS, así como Sanidad Penitenciaria) a contar desde el mes de entrada en el Nomenclátor y su puesta en el mercado.

La financiación de Qalsody® cuenta con el establecimiento de un coste máximo por paciente.

Asimismo, se ha acordado la devolución del diferencial entre el precio del medicamento suministrado a través de la aplicación de Medicamentos en Situaciones Especiales de la AEMPS y el precio financiado.

Más información

La situación de financiación de los medicamentos puede consultarse a través del buscador BIFIMED, accesible a través de la página del Ministerio de Sanidad, en el siguiente link:

<https://www.sanidad.gob.es/profesionales/medicamentos.do>

La búsqueda puede realizarse por principio activo, nombre del medicamento o código nacional.

Una vez se accede al medicamento en cuestión en el apartado "Más información" aparecen las indicaciones que están financiadas, las que no lo están, así como la fecha de alta en la financiación, entre otros.