

Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de omaveloxolona (Skyclarys®) para el tratamiento de la ataxia de Friedreich en adultos y adolescentes a partir de los 16 años de edad.

Fecha de publicación: 29 de abril de 2026

¿Qué es omaveloxolona y para qué se utiliza?

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

Skyclarys® es un medicamento para el tratamiento de adultos y adolescentes a partir de los 16 años de edad con ataxia de Friedreich, una enfermedad hereditaria que causa daños en el sistema nervioso, provocando dificultades de coordinación, equilibrio y movimiento, fatiga, dificultad para hablar, así como un mayor riesgo de miocardiopatía (daño al músculo cardíaco) y diabetes.

La ataxia de Friedreich es una enfermedad rara, y Skyclarys® fue designado como «medicamento huérfano» (un medicamento utilizado para enfermedades raras) el 27 de junio de 2018.

El medicamento se presenta en cápsulas duras para administración oral una vez al día.

¿Cómo funciona omaveloxolona?

Se desconoce el mecanismo por el que omaveloxolona ejerce su efecto terapéutico en pacientes con Ataxia de Friedreich. Sin embargo, se ha demostrado que activa la vía Nrf2, ayudando a las células a responder al estrés oxidativo (una condición que puede ocurrir cuando hay demasiados radicales libres en el cuerpo y no suficientes antioxidantes para eliminarlos, lo que puede provocar daño celular y tisular). Existe evidencia de que los niveles y la actividad de Nrf2 están suprimidos en las células de pacientes con ataxia de Friedreich.

Información básica sobre la autorización

Skyclarys® está autorizado a través del procedimiento centralizado, es decir, tiene una autorización válida para toda la Unión Europea, concedida el 9 de febrero 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 14 de diciembre de 2023¹.

Este medicamento fue designado como medicamento huérfano. Esto significa que se desarrolló para tratar una enfermedad rara, potencialmente mortal o crónicamente debilitante. En el momento de su aprobación, existía una importante necesidad médica no cubierta para los pacientes con ataxia de Friedreich, dado que no había otros medicamentos autorizados para el tratamiento de la enfermedad.

Conclusiones de la evaluación comparada de Skyclarys®

Skyclarys® se investigó en un estudio principal en el que participaron 103 personas con ataxia de Friedreich de entre 16 y 40 años. Una parte de los pacientes recibieron Skyclarys® y el resto recibieron placebo (un tratamiento ficticio) durante 48 semanas, demostrando Skyclarys® ser más eficaz en la reducción del deterioro físico.

La escala de calificación de ataxia de Friedreich modificada (mFARS), que consta de una serie de evaluaciones del examen físico, se utilizó para evaluar la gravedad de los síntomas neurológicos

¹Puede consultar la información en el siguiente enlace:

https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/skyclarys-epar-public-assessment-report_en.pdf



(relacionados con los nervios o el sistema nervioso) de la ataxia de Friedreich. Si la puntuación de la mFARS disminuye, significa que hay una reducción del deterioro físico.

El pie cavo es una deformidad del pie que a menudo se observa como una complicación de la ataxia de Friedreich. Dado que no existe un método estandarizado para clasificar la gravedad del pie cavo y debido al posible impacto de esta afección en la puntuación mFARS, los pacientes con pie cavo no se incluyeron en los análisis primarios.

En 82 pacientes sin pie cavo, aquellos que recibieron Skyclarys® experimentaron una reducción de alrededor de 1,6 en su puntuación mFARS en comparación con un aumento de alrededor de 0,9 en aquellos que recibieron placebo.

El estudio también evaluó el impacto del tratamiento en la puntuación FA-ADL de los pacientes, una medida utilizada para evaluar la capacidad de las personas con ataxia de Friedrich para realizar actividades de la vida diaria, como vestirse, bañarse y comer, donde las puntuaciones más altas indican mayores niveles de discapacidad. De los 82 pacientes sin pie cavo, aquellos que recibieron Skyclarys experimentaron una reducción de alrededor de 0,2 en su puntuación FA-ADL, en comparación con un aumento de alrededor de 1,1 en aquellos que recibieron placebo.

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) ha publicado el Informe de Posicionamiento Terapéutico (IPT) de Skyclarys®.²

Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos, en su sesión de 28 de enero de 2026, 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 la ataxia de Friedreich en adultos y adolescentes a partir de los 16 años de edad.

Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

Adicionalmente, 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 $\geq 30 \text{ mL/min}$)
- 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 $\geq 11\%$

² Puede consultar la información en el siguiente enlace:

<https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/2024/IPT-301-Skyclarys-omaveloxolona.pdf>



- 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 x ULN y bilirrubina >2 x 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 ha establecido un techo máximo de gasto de 3 años de duración extensible a 4 años 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.

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.