



Informe público sobre la decisión de inclusión en la prestación farmacéutica de elosulfasa alfa (Vimizim®) en pacientes con mucopolisacaridosis tipo IV (síndrome de Morquio A)

Fecha de publicación: 22 de diciembre de 2025

¿Qué es elosulfasa alfa y para qué se utiliza?

Vimizim® es un medicamento que contiene el principio activo elosulfasa alfa. Está indicado para tratar pacientes con mucopolisacaridosis tipo IVA (MPS IVA, también conocida como síndrome de Morquio A). La enfermedad está causada por la falta de una enzima denominada N-acetilgalactosamina-6-sulfatasa, que es necesaria para descomponer unas sustancias específicas en el organismo llamadas glucosaminoglucanos (GAG). Si la enzima no está presente, o lo está solo en cantidades muy pequeñas, los GAG no pueden ser degradados y se acumulan en huesos y órganos. Esto provoca los signos de la enfermedad, fundamentalmente huesos cortos, dificultad de movimiento, problemas para respirar, opacidad de los ojos y pérdida de audición. El tratamiento con Vimizim® debe estar supervisado por un médico con experiencia en MPS IVA o enfermedades similares. Este medicamento solo se podrá dispensar con receta médica y deberá prescribirlo un profesional sanitario adecuadamente capacitado.

¿Cómo funciona elosulfasa alfa?

Es una terapia enzimática sustitutiva. La terapia enzimática sustitutiva suministra a los pacientes la enzima que les falta. El principio activo de Vimizim®, elosulfasa alfa, es una copia de la enzima humana N-acetilgalactosamina-6-sulfatasa. La enzima sustitutiva ayuda a degradar los GAG e impide que se acumulen en las células, lo que mejora los síntomas de la MPS IVA. La elosulfasa alfa se produce mediante un método conocido como «tecnología de ADN recombinante»: la fabrican células a las que se ha implantado un gen (ADN) que las capacita para producir la enzima.

Información básica sobre la autorización

Vimizim® fue autorizado mediante procedimiento centralizado, es decir, su aprobación fue concedida por la Comisión Europea el 27 de abril de 2014, y es válida en todos los países de la Unión Europea (UE), tras la opinión favorable del Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA), que decidió que sus beneficios son mayores que sus riesgos y recomendó autorizar su uso en la UE¹.

El CHMP concluyó que, tras 6 meses de tratamiento, Vimizim® demostró ser eficaz para mejorar la distancia que los pacientes podían caminar en 6 minutos, lo que se acompañaba de otros efectos, incluida la mejora de la capacidad para realizar las actividades de la vida diaria. El comité también consideró que el perfil de seguridad de Vimizim® es aceptable y que los efectos adversos graves son infrecuentes, aunque debe obtenerse más información sobre la seguridad a largo plazo.

Se trata de un medicamento huérfano, es decir, un medicamento utilizado en una enfermedad rara (se entiende como enfermedad rara en Europa a aquella patología con una prevalencia inferior a 5 casos por cada 10.000 habitantes) para la que la EMA ha considerado que el medicamento aportará un beneficio.

¹ Puede consultar la información en el siguiente enlace:

https://www.ema.europa.eu/es/documents/overview/vimizim-epar-summary-public_es.pdf

Conclusiones de la evaluación comparada de Vimizim®

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios publicó el Informe de Posicionamiento Terapéutico de Vimizim®²

La enfermedad de Morquio o MPS tipo IV A es una enfermedad grave y muy debilitante para la cual actualmente no se dispone de tratamiento específico y su abordaje se basa en el control y corrección de los signos y síntomas asociados a esta condición.

Elosulfasa alfa es el primer tratamiento autorizado para la mucopolisacaridosis tipo IV A, enfermedad grave y debilitante que actualmente se trata de manera sintomática. Los principales resultados de eficacia se refieren a variables relacionadas con la movilidad (aumento de 22,5m en el T6M respecto a placebo), sin que se disponga de datos de ellosulfasa alfa sobre variables robustas (tiempo de inicio de necesidad de silla de ruedas, dependencia de ventilación mecánica, mortalidad). En el momento de elaboración de este informe, la eficacia de ellosulfasa no ha sido evaluada en pacientes en fases avanzadas de la enfermedad e incapaces de deambular, así como tampoco en pacientes menores de 5 años de edad (donde el beneficio del tratamiento podría ser potencialmente mayor), por lo que no es posible sacar conclusiones sobre el posible impacto del fármaco en estos grupos de pacientes. Se hace necesaria la recogida de información sobre variables de seguimiento que permitan arrojar más luz sobre las incertidumbres existentes con el tratamiento con ellosulfasa alfa con el fin de identificar aquellas poblaciones que más puedan beneficiarse del tratamiento con ellosulfasa alfa. El tratamiento con ellosulfasa alfa deberá reevaluarse individualmente en caso de:

- pacientes que no respondan al tratamiento según parámetros de movilidad, función respiratoria, cardiovasculares, y de calidad de vida.
- ausencia de mejoría en el T6M al año de tratamiento y/o la progresión de la afectación ósea hacia la necesidad de silla de ruedas en aquellos pacientes en los que el tratamiento se haya iniciado por criterios de afectación de la movilidad.
- en caso de reacción anafiláctica recurrente, no fácilmente controlable con la medicación habitual. Dicha valoración debería realizarse por un comité de expertos dada la naturaleza de la enfermedad. Sería recomendable la determinación periódica de anticuerpos anti-elosulfasa para intentar establecer o refutar una relación de los mismos con la eficacia terapéutica, sobre todo en aquellos pacientes en los que no se aprecie una respuesta esperada.

Decisión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

La Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos, en su sesión de 22 de octubre 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 en el tratamiento de la mucopolisacaridosis, tipo IVA (síndrome de Morquio A, MPS IVA) en pacientes de todas las edades.

Información específica sobre restricciones o condiciones de financiación especiales

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.

²La última versión de 24 de junio de 2024 se puede consultar en el siguiente enlace:

<https://www.aemps.gob.es/medicamentosUsoHumano/informesPublicos/docs/IPT-elosulfasa-alfa-Vimizim-Mucopolisacaridosis.pdf>



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.