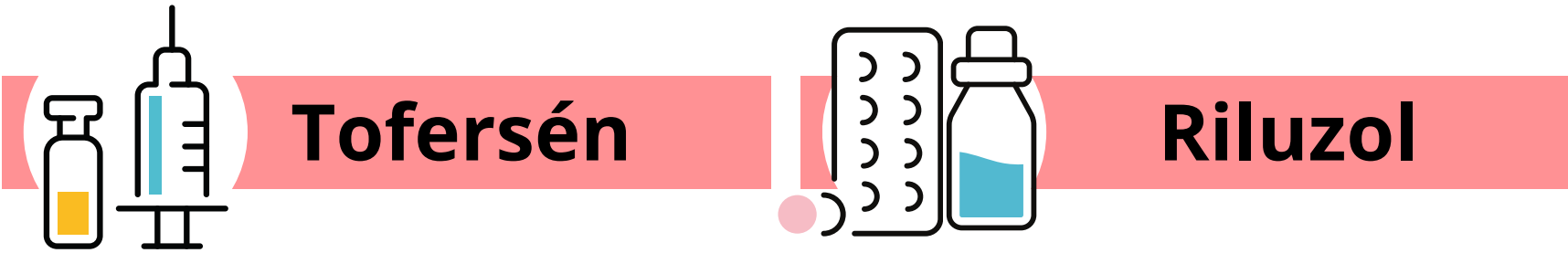


Principales opciones de **tratamiento para la ELA**

(esclerosis lateral amiotrófica)



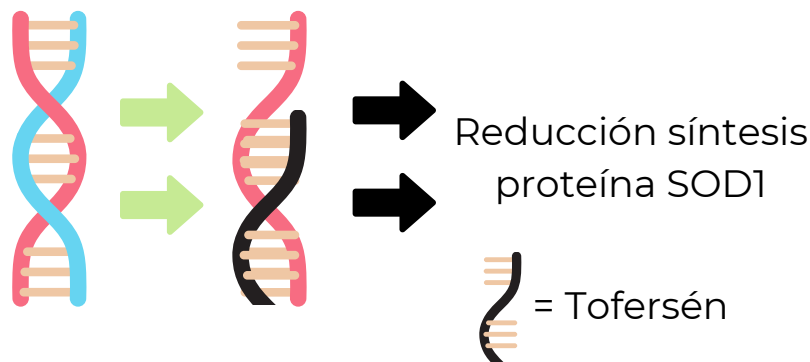
Indicación	Tratamiento de adultos con ELA asociada a una mutación en el gen de la superóxido dismutasa 1 (SOD1)	Prolongar la vida o el tiempo hasta la instauración de ventilación mecánica en pacientes con ELA
-------------------	---	--

subtipo que afecta al **2% de los pacientes** diagnosticados

Aprobación	Aprobación regulatoria específica: indicado para pacientes con mutación en el gen SOD1	Sin aprobación regulatoria específica, para pacientes con ELA
-------------------	---	---

La confirmación formal de beneficio clínico requerirá de los **datos adicionales de eficacia y seguridad maduros y de la reevaluación anual de la evidencia** que se vaya generando

Mecanismo de acción	Es un oligonucleótido antisentido que se une al ARNm y lo degrada, así que reduce la síntesis de la proteína SOD1 La acumulación de la forma tóxica de esta proteína produce lesiones axonales y neurodegeneración	El mecanismo de acción no está claro Se ha propuesto que actúa inhibiendo los procesos relacionados con el glutamato
----------------------------	--	--



Principales opciones de tratamiento para la ELA

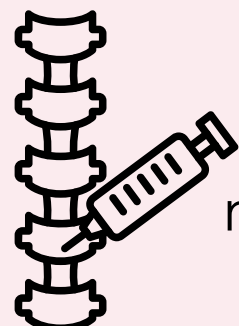
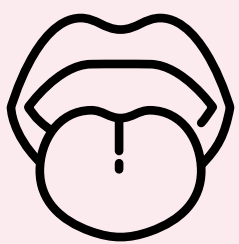
(esclerosis lateral amiotrófica)



Tofersén



Riluzol

Vía de administración	 Vía intratecal mediante punción lumbar	 Vía oral
Posología	<u>Inicio:</u> 3 dosis de carga administradas cada 14 días <u>Mantenimiento:</u> una dosis cada 28 días <u>Dosis recomendada:</u> 100 mg por tratamiento	<u>Dosis diaria recomendada:</u> 100 mg (50 mg cada 12 horas)
Efectos adversos	<u>Muy frecuentes:</u> Dolor, artralgia, fatiga, leucocitos aumentados en LCR, proteína elevada en LCR, mialgia y pirexia <u>Frecuentes:</u> Papiledema, neuralgia, meningitis aséptica, radiculitis, mielitis y rigidez musculoesquelética	<u>Muy frecuentes:</u> Hipoestesia oral, náuseas, elevación de enzimas hepáticas asociado a ictericia y astenia <u>Frecuentes:</u> Cefalea, mareos, parestesia oral, somnolencia, taquicardia, diarrea, dolor abdominal, vómitos, dolor
Contraindicaciones	Hipersensibilidad al principio activo o a alguno de los excipientes	Hipersensibilidad al principio activo o a alguno de los excipientes. Alteración hepática o valores basales de transaminasas x3LSN Embarazo o lactancia
Presentación	solución inyectable de 100 mg / 15 ml	Disponible como: • película bucodispersable 50 mg • comprimidos recubiertos 50 mg • suspensión oral 5 mg/ml