

Evolución cronológica de las clasificaciones y evaluaciones de las terapias avanzadas por la EMA

Año	Clasificación de medicamentos		Medicamentos evaluados	
	Remitidos	Adoptados	Remitidos	Favorables
2021	66	61	3	3
2020	74	87	8	3
2019	70	67	2	1
2018	55	43	3	3
2017	46	49	4	2
2016	60	87	1	2
2015	61	31	1	1
2014	28	29	2	1
2013	20	23	2	2
2012	22	16	3	1
2011	12	12	2	1
2010	19	27	1	0
2009	22	12	3	1
TOTAL	555	544	35	20

Nuevos medicamentos huérfanos

Los medicamentos huérfanos son aquéllos que sirven para diagnosticar, prevenir o tratar enfermedades raras de carácter muy grave o con riesgo para la vida. En la Unión Europea, la calificación de enfermedad rara se aplica a todas aquellas que no afectan

a más de 5 de cada 10.000 personas. La **designación** de un medicamento como huérfano no garantiza su uso en la condición designada y no implica necesariamente que el producto satisfaga los criterios de eficacia, seguridad y calidad necesarios para la

concesión de la **autorización de comercialización**. Como para cualquier medicamento, estos criterios solo pueden ser evaluados una vez que la solicitud de autorización de comercialización haya sido presentada.

Medicamentos huérfanos autorizados en los últimos doce meses

Medicamento®	Principio activo	Laboratorio	Autorización	Indicación
Ngenla	Somatrogon	Pfizer	14/02/2022	Trastornos del crecimiento por déficit de hormona de crecimiento
Voraxaze	Glucarpidasa	SERB SAS	11/01/2022	Reducción de la toxicidad plasmática de metotrexato
Tavneos	Avacopan	Vifor Fresenius Medical Care	11/01/2022	Poliangitis microscópica y poliangitis con granulomatosis activa
Lonapegsomatropin Ascendis Pharma	Lonapegsomatropina	Ascendis Pharma	11/01/2022	Secreción endógena insuficiente de hormona del crecimiento en niños de 3-18 años

Aspaveli	Pegcetacoplan	Swedish Orphan Biovitrum AB	13/12/2021	Hemoglobinuria nocturna paroxística en pacientes anémicos refractarios a un tratamiento con inhibidor de C5
Artesunate Amivas	Artesunato	Amivas Ireland	22/11/2021	Malaria grave
Qinlock	Ripretinib	Deciphera Pharmaceuticals BV	18/11/2021	Tumores gastrointestinales estromales avanzados y refractarios
Voxzogo	Vosoritida	BioMarin International Limited	26/08/2021	Acondroplasia con epífisis abiertas en pacientes de 2 años y mayores
Minjuvi	Tafasitamab	Incyte Biosciences	26/08/2021	Linfoma difuso de linfocitos B grandes
Abecma	Idecabtagén vicleucel	Celgene	18/08/2021	Mieloma múltiple en recaída y refractario
Imcivree	Setmeanotida	Rhythm Pharmaceuticals	16/07/2021	Obesidad
Skysona	Elivaldogén autotemcel	Bluebird Bio	16/07/2021	Adrenoleucodistrofia cerebral inicial
Bylvay	Odevixibat	Albireo	16/07/2021	Colestasis intrahepática familiar progresiva
Enspryng	Satralizumab	Roche	24/06/2021	Trastorno del espectro de la neuromielitis óptica (TENMO) en pacientes con anticuerpos positivos IgG frente a la acuaporina-4
Sogroya	Somapacitan	Novo Nordisk	31/03/2021	Deficiencia de la hormona del crecimiento en adultos
Pemazyre	Pemigatinib	Incyte Biosciences	26/03/2021	Colangiocarcinoma localmente avanzado o metastásico
Evrysdi	Risdiplam	Roche	26/03/2021	Atrofia muscular espinal

Instituciones y redes españolas

- **Instituto de Salud Carlos III (Ministerio de Ciencia e Innovación):**

Instituto de Investigación en Enfermedades Raras:

<https://www.isciii.es/QuienesSomos/CentrosPropios/IIER/Paginas/default.aspx>

CIBERER (Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras): <https://www.ciberer.es/>

- **Instituto de Mayores y Servicios Sociales (IMSERSO, Ministerio de Derechos Sociales y Agenda 2030):**

http://www.imserso.es/imserso_01/index.htm

- **Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER):** www.enfermedades-raras.org

- **Asociaciones de pacientes en España:** [https://enfermedades-raras.org/index.php/asociaciones/nuestros-socios](http://enfermedades-raras.org/index.php/asociaciones/nuestros-socios)

Instituciones y redes europeas

- **Agencia Europea de Medicamentos (EMA; Europea Medicines Agency).** Apartado de Medicamentos Huérfanos

(inglés): <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview>

<https://www.ema.europa.eu/en/committees/committee-orphan-medicinal-products-comp>

- **Comisión Europea:** web oficial de la Comisión Europea sobre enfermedades raras y medicamentos huérfanos (español).

http://ec.europa.eu/health/rare_diseases/policy/index_es.htm

- **Orphanet:** Portal de información oficial de la Unión Europea sobre enfermedades raras y medicamentos huérfanos (español).

<http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php?Lng=ES>

- **Eurordis:** Federación Europea de Asociaciones de Pacientes con Enfermedades Raras (español). <http://www.eurordis.org/es>

Otras instituciones y redes internacionales

- **Food & Drug Administration (FDA, Estados Unidos).** Apartado de Medicamentos Huérfanos (inglés):

<http://www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/default.htm>

- **Pharmaceuticals & Medical Devices Agency.** Agencia de Medicamentos y Dispositivos Médicos, de Japón (inglés):

<http://www.pmda.go.jp/english/index.html>

Curso Online **Sistemas Personalizados de Dosificación (SPD)**

3ª Edición
Del 20 de abril
al 20 de junio
de 2022



Dirigido a **Farmacéuticos**

Metodología

El curso se realizará a través de la Plataforma de Formación del Consejo General (<https://formacion.nodofarma.es>)



3,6 Créditos

Puede consultarse información sobre la acreditación de formación continuada sanitaria en: www.madrid.org

Programa

- 1.- Introducción
- 2.- Aspectos básicos
- 3.- Requerimientos para establecer un SPD
- 4.- Procedimiento del SPD
- 5.- Diagrama de flujo y modelos de documentación

Material

Material en formato multimedia locutado, material en formato pdf y autoevaluaciones.

Objetivo general

Dar a conocer las ventajas de este Servicio y la aplicación actual en nuestro país y facilitar a los farmacéuticos los conocimientos básicos y la forma práctica de diseñar, ofrecer e implementar la oferta al paciente de los sistemas personalizados de dosificación (SPD), para mejorar la adherencia al tratamiento farmacológico, mejorar el uso responsable de los medicamentos, optimizar los resultados en salud de los pacientes y contribuir a la sostenibilidad del sistema sanitario de nuestro país.

Plazo de inscripción:

Hasta el 17 de abril

Duración:

20 horas

PVP inscripción

10€ Colegiados



Más información e inscripción:
www.farmaceuticos.com / 91 431 26 89
Síguenos en Twitter @PNFC_CGCOF

PROGRAMA
FORMATIVO

2022
FORMACIÓN
CONTINUADA