

# 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 sólo 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
Xospata	gilteritinib	Astellas Pharma	24/10/2019	Leucemia mieloide aguda con mutación de FLT3
Epidyolex	Cannabidiol	GW Pharma	19/09/2019	Epilepsia asociada a los síndromes de Lennox-Gastaut o al de Dravet
Zynteglo	Células CD34+ autólogas y células madre hematopoyéticas transfectadas con el gen beta-A-T87Q-globina	Bluebird Bio	29/05/2019	Beta-talasemia
Palynziq	Pegvaliasa	Biomarin Int.	03/05/2019	Fenilcetonuria
Waylivra	Volanesorsen	Akcea Therapeutics	03/05/2019	Síndrome de quilomicronemia familiar (hiperlipoproteinemia tipo I)
Namuscla	Mexiletina	Lupin	18/12/2018	Miotonía no distrófica
Luxturna	Voretigene neparvovec	Novartis	22/11/2018	Distrofia retiniana hereditaria
Poteligeo	Mogamulizumab	Kyowa Kirin	22/11/2018	Micosis fungoide o síndrome de Sézary
Takhzyro	Lanadelumab	Shire	22/11/2018	Angioedema hereditario

## Instituciones y redes españolas

### ► Instituto de Salud Carlos III (Ministerio de Ciencia e Innovación):

**Instituto de Enfermedades Raras:** <http://www.isciii.es/ISCIII/es/contenidos/fd-el-instituto/fd-organizacion/fd-estructura-directiva/fd-subdirección-general-servicios-aplicados-formación-investigación/fd-centros-unidades/instituto-investigación-enfermedades-raras.shtml>

**CIBERER** (Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras):

[http://www.isciii.es/htdocs/centros/enfermedadesraras/enfermedadesraras\\_presentacion.jsp](http://www.isciii.es/htdocs/centros/enfermedadesraras/enfermedadesraras_presentacion.jsp)

### ► Instituto de Mayores y Servicios Sociales (IMSERSO, Ministerio de Sanidad, Política Social e Igualdad):

[http://www.imserso.es/imserso\\_01/index.htm](http://www.imserso.es/imserso_01/index.htm)

### ► Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER):

[www.enfermedades-raras.org](http://www.enfermedades-raras.org)

### ► Asociaciones de pacientes en España:

[http://www.feder.org.es/asociaciones\\_listado.php](http://www.feder.org.es/asociaciones_listado.php)

## Estadística de designación y autorización de medicamentos huérfanos en la Unión Europea

Año	Solicitudes remitidas	Solicitudes evaluadas	Opiniones positivas (%)	Solicitudes retiradas (%)	Opiniones negativas finales (%)	Designaciones	Fármacos huérfanos autorizados	Designaciones huérfanas autorizadas <sup>1</sup>
<b>2018</b>	236	258	63%	92	36%	3	1%	169
<b>2017</b>	260	241	60%	96	40%	1	1%	138
<b>2016</b>	330	304	72%	82	27%	2	1%	209
<b>2015</b>	258	272	65%	94	35%	1	1%	190
<b>2014</b>	329	259	76%	62	24%	2	1%	187
<b>2013</b>	201	197	69%	60	30%	1	1%	136
<b>2012</b>	197	192	72%	52	27%	1	1%	148
<b>2011</b>	166	158	70%	45	29%	2	1%	107
<b>2010</b>	174	176	70%	51	29%	2	1%	128
<b>2009</b>	164	136	83%	23	17%	0	0%	106
<b>2008</b>	119	118	73%	31	26%	1	1%	73
<b>2007</b>	125	117	83%	19	16%	1	1%	98
<b>2006</b>	104	103	79%	20	19%	2	2%	80
<b>2005</b>	118	118	75%	30	25%	0	0%	88
<b>2004</b>	108	101	74%	22	22%	4	4%	73
<b>2003</b>	87	96	56%	37	40%	1	1%	55
<b>2002</b>	80	75	57%	32	42%	2	3%	49
<b>2001</b>	83	90	70%	26	29%	1	1%	64
<b>2000</b>	72	32	81%	3	10%	0	0%	14
<b>TOTAL</b>	<b>3.211</b>	<b>3.043</b>	<b>71%</b>	<b>877</b>	<b>28%</b>	<b>27</b>	<b>1%</b>	<b>2.112</b>
								<b>164</b>
								<b>185</b>

<sup>1</sup>Indicaciones designadas que están incluidas en los medicamentos huérfanos autorizados.

## Instituciones y redes europeas

- ▶ **Agencia Europea de Medicamentos (EMA; European Medicines Agency).** Apartado de Medicamentos Huérfanos (inglés): [http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/special\\_topics/general/general\\_content\\_000034.jsp&murl=menus/special\\_topics/special\\_topics.jsp&mid=WCOB01ac058002d4eb&jsonabled=true](http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/special_topics/general/general_content_000034.jsp&murl=menus/special_topics/special_topics.jsp&mid=WCOB01ac058002d4eb&jsonabled=true)
- ▶ **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](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>)
- ▶ **Eurodis:** Federación Europea de Asociaciones de Pacientes con Enfermedades Raras (español). (<http://www.eurodis.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>)