

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 quilomiconemia 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-subdireccion-general-servicios-aplicados-formacion-investigacion/fd-centros-unidades/instituto-investigacion-enfermedades-raras.shtml>

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

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

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

► **Asociaciones de pacientes en España:** 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 ¹
2018	236	258	163	63%	92	36%	3	1%	169	22	28
2017	260	241	144	60%	96	40%	1	1%	138	14	15
2016	330	304	220	72%	82	27%	2	1%	209	14	14
2015	258	272	177	65%	94	35%	1	1%	190	14	21
2014	329	259	196	76%	62	24%	2	1%	187	15	16
2013	201	197	136	69%	60	30%	1	1%	136	7	8
2012	197	192	139	72%	52	27%	1	1%	148	10	12
2011	166	158	111	70%	45	29%	2	1%	107	5	5
2010	174	176	123	70%	51	29%	2	1%	128	4	4
2009	164	136	113	83%	23	17%	0	0%	106	9	9
2008	119	118	86	73%	31	26%	1	1%	73	6	7
2007	125	117	97	83%	19	16%	1	1%	98	13	13
2006	104	103	81	79%	20	19%	2	2%	80	9	11
2005	118	118	88	75%	30	25%	0	0%	88	4	4
2004	108	101	75	74%	22	22%	4	4%	73	6	6
2003	87	96	54	56%	37	40%	1	1%	55	5	5
2002	80	75	43	57%	32	42%	2	3%	49	4	4
2001	83	90	62	70%	26	29%	1	1%	64	3	3
2000	72	32	26	81%	3	10%	0	0%	14	0	0
TOTAL	3.211	3.043	2.134	71%	877	28%	27	1%	2.112	164	185

¹Indicaciones 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=WC0b01ac058002d4eb&jsenabled=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)
- **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>)