

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

Año	Clasificación de medicamentos		Medicamentos evaluados	
	Remitidos	Adoptados	Remitidos	Favorables
2020	11	10	2	0
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	426	406	26	15

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
Polivy	Polatuzumab vedotina	Roche	16/01/2020	Linfoma difuso de células grandes B refractario o recurrente
Isturisa	Osilodrostat	Novartis	09/01/2020	Síndrome de Cushing
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)

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>

► **Euordis:** Federación Europea de Asociaciones de Pacientes con Enfermedades Raras (español). <http://www.euordis.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>