

Medicamento	Indicación	Fecha
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Epilepsia resistente a fármacos, enfermedad de Behçet, cloridermia, síndrome alcohólico fetal, demencia frontotemporal, parálisis bulbar progresiva, degeneración macular viteliforme	28/05/2020
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Adrenomieloneuropatía	06/05/2020
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Degeneración macular asociada a la edad, trastornos coriorretinianos, incapacidad de regeneración de huesos fracturados, epidermolisis bullosa, encefalopatía hipóxica-isquémica.	28/02/2020
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Adrenoleucodistrofia, encefalopatía, epilepsia, osteoartritis, polineuropatía, atrofia muscular espinal, ataxia espinocerebelosa.	30/01/2020
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Alopecia areata, trastorno generalizado del desarrollo, infarto cerebral, diabetes, distrofia muscular, atrofia endometrial, esclerosis múltiple, neuropatía óptica, insuficiencia ovárica prematura, retinitis pigmentosa, espina bífida, lesión de la médula espinal, enfermedad de Stargardt.	11/12/2019

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	54	56	3	1
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	469	452	27	16

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
Zolgensma	Onasemnogene abeparvovec	AveXis	18/05/2020	Atrofia muscular espinal 5q
Trepulmix	Treprostinilo	SciPharm Sàrl	03/04/2020	Hipertensión pulmonar tromboembólica crónica
Givlaari	Givosiran	Alnylam Netherlands	02/03/2020	Porfiria hepática aguda
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

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>

Instituciones y redes europeas

- **Agencia Europea de Medicamentos (EMA; European 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>