

| Medicamento | Indicación | Fecha |
|---|--|------------|
| Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton | Epilepsia resistente a fármacos, enfermedad de Behçet, clorideremia, 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, epidermólisis 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 | 64 | 71 | 5 | 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 | 479 | 467 | 29 | 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 |
|----------------|--------------------------------------|---------------------|--------------|--|
| Ayvakt | Avapritinib | Blueprint Medicines | 24/09/2020 | Tumores estromales gastrointestinales metastásicos o inoperables |
| Blenrep | Belantamab mafodotina | GSK | 25/08/2020 | Mieloma múltiple refractario |
| Idefirix | Imlifidasa | Hansa Biopharma AB | 25/08/2020 | Desensibilización en pacientes altamente sensibilizados trasplantados de riñón |
| Kaftrio | Elexacaftor / ivacaftor / tezacaftor | Vertex Pharm. | 21/08/2020 | Fibrosis quística |
| Pretomanid FGK | Pretomanid | FGK Repres. Serv. | 31/07/2020 | Tuberculosis multirresistente |
| Hepcludex | Buvelirtida | MYR GmbH | 31/07/2020 | Infección por el virus de la hepatitis D |
| Daurismo | Glasdegib | Pfizer | 26/06/2020 | Leucemia mieloide aguda |
| Reblozyl | Luspatercept | Celgene | 25/06/2020 | Anemia en adultos con síndromes mielodisplásicos o beta-talasemia |
| 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 |

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>