

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
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

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; 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>
- ▶ **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>

Curso Online Sistemas Personalizados de Dosificación (SPD)

1ª Edición
Duración:
2 meses
Del 11 de enero al
15 de marzo 2021



Programa

- 1.- Introducción
- 2.- Aspectos básicos
- 3.- Requerimientos para establecer un servicio de SPD
- 4.- Procedimiento del servicio de SPD
- 5.- Diagrama de flujo y modelos de documentación

Material

Material en formato multimedia locutado, con vídeos, material en formato pdf y autoevaluaciones.

Objetivo general

Dar a conocer las ventajas de este Servicio y la aplicación actual en nuestro país y facilitar a los farmacéuticos los conocimientos básicos y la forma práctica de diseñar, ofrecer e implementar la oferta al paciente de los sistemas personalizados de dosificación (SPD), para mejorar la adherencia al tratamiento farmacológico, mejorar el uso responsable de los medicamentos, optimizar los resultados en salud de los pacientes y contribuir a la sostenibilidad del sistema sanitario de nuestro país.

Plazo de inscripción:

Hasta el 4 de enero

Dirigido a
Farmacéuticos

Metodología

El curso se realizará a través de la Plataforma de Formación del Consejo General (<https://formacion.nodofarma.es>)

Solicitada la acreditación*

* Solicitada la acreditación a la Comisión de Formación Continuada de las Profesiones Sanitarias de la Comunidad de Madrid con fecha: 5/11/2020

10€ Colegiados



Más información e inscripción:
www.portalfarma.com / 902 460 902 / 91 431 26 89
Síguenos en Twitter @PNFC_CGCOF

PROGRAMA
FORMATIVO
2021
FORMACIÓN
CONTINUADA