

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
Lumoxiti	Moxetumomab pasudotox	AstraZeneca	08/02/2021	Leucemia de células pilosas en recaída o refractariedad
Inrebic	Fedratinib	Celgene	08/02/2021	Esplenomegalia o sus síntomas en adultos con mielofibrosis primaria
Elzonris	Tagraxofusp	Stemline Therapeutics	07/01/2021	Neoplasia de células dendríticas plasmocitoides blásticas
Fintepla	Fenfluramina	Zogenix ROI Limited	18/12/2020	Convulsiones asociadas al síndrome de Dravet
Libmeldy	Células CD34+ autólogas y enriquecidas con células madre hematopoyéticas y progenitoras transducidas para expresar el gen de la arilsulfatasa A humana	Orchard Therapeutics	17/12/2020	Leucodistrofia metacromática con mutaciones bialélicas del gen de la arilsulfatasa A (ARSA)
Tecartus	Células T autólogas periféricas CD3+ transducidas para expresar un CAR anti-CD19	Kite Pharma	14/12/2020	Linfoma de células del manto refractario o en recaída
Oxlumo	Lumasirán	Alnylam Netherlands	19/11/2020	Hiperoxaluria primaria tipo 1
Obiltoxaximab SFL	Obiltoxaximab	SFL Pharmaceuticals Deutschland	18/11/2020	Ántrax por inhalación de <i>Bacillus anthracis</i>
Adakveo	Crizanlizumab	Novartis	28/10/2020	Crisis veno-oclusivas recurrentes en anemia de células falciformes
Arikayce liposomal	Amikacina sulfato	Insmed Netherlands	27/10/2020	Infecciones pulmonares no tuberculosas por <i>Mycobacterium avium Complex</i> (MAC)
Ayvakyt	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

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>