

# 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
<b>Voxzogo</b>	Vosoritida	BioMarin International Limited	26/08/2021	Acondroplasia en pacientes de 2 años y mayores cuyas epífisis no se han cerrado
<b>Minjuvi</b>	Tafasitamab	Incyte Biosciences	26/08/2021	Linfoma difuso de linfocitos B grandes
<b>Abecma</b>	Idecabtagén vicleucel	Celgene	18/08/2021	Mieloma múltiple en recaída y refractario
<b>Imcivree</b>	Setmeanotida	Rhythm Pharmaceuticals	16/07/2021	Obesidad
<b>Skysona</b>	Elivaldogén autotemcel	Bluebird Bio	16/07/2021	Adrenoleucodistrofia cerebral inicial
<b>Bylvay</b>	Odevixibat	Albireo	16/07/2021	Colestasis intrahepática familiar progresiva
<b>Enspryng</b>	Satralizumab	Roche	24/06/2021	Trastorno del espectro de la neuromielitis óptica (TENMO) en pacientes con anticuerpos positivos IgG frente a la acuaporina-4
<b>Sogroya</b>	Somapacitan	Novo Nordisk	31/03/2021	Deficiencia de la hormona del crecimiento en adultos
<b>Pemazyre</b>	Pemigatinib	Incyte Biosciences	26/03/2021	Colangiocarcinoma localmente avanzado o metastásico
<b>Evrysdi</b>	Risdiplam	Roche	26/03/2021	Atrofia muscular espinal
<b>Lumoxiti</b>	Moxetumomab pasudotox	AstraZeneca	08/02/2021	Leucemia de células pilosas en recaída o refractariedad
<b>Inrebic</b>	Fedratinib	Celgene	08/02/2021	Esplenomegalia o sus síntomas en adultos con mielofibrosis primaria
<b>Elzonris</b>	Tagraxofusp	Stemline Therapeutics	07/01/2021	Neoplasia de células dendríticas plasmocitoides blásticas
<b>Fintepla</b>	Fenfluramina	Zogenix ROI Limited	18/12/2020	Convulsiones asociadas al síndrome de Dravet
<b>Libmeldy</b>	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)
<b>Tecartus</b>	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
<b>Oxlumo</b>	Lumasirán	Alnylam Netherlands	19/11/2020	Hiperoxaluria primaria tipo 1
<b>Obiltoxaximab SFL</b>	Obiltoxaximab	SFL Pharmaceuticals Deutschlan	18/11/2020	Ántrax por inhalación de <i>Bacillus anthracis</i>

Medicamento®	Principio activo	Laboratorio	Autorización	Indicación
<b>Adakveo</b>	Crizanlizumab	Novartis	28/10/2020	Crisis veno-oclusivas recurrentes en anemia de células falciformes
<b>Arikayce liposomal</b>	Amikacina sulfato	Insmed Netherlands	27/10/2020	Infecciones pulmonares no tuberculosas por <i>Mycobacterium avium Complex (MAC)</i>
<b>Ayvakyt</b>	Avapritinib	Blueprint Medicines	24/09/2020	Tumores estromales gastrointestinales metastásicos o inoperables

## 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](http://www.imserso.es/imserso_01/index.htm)

- **Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER):** [www.enfermedades-raras.org](http://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](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

# Eje Cardio-Renal-Metabólico

Del 22 nov 2021 al 21 feb 2022

Plazo de inscripción:  
abierto hasta el 15 de nov

### OBJETIVO

Esta actividad formativa está orientada a actualizar el conocimiento de los farmacéuticos sobre el eje cardio-renal-metabólico y la repercusión del conocimiento fisiopatológico del mismo en el abordaje terapéutico actual de la diabetes, la insuficiencia renal y la insuficiencia cardiaca.

### PROGRAMA<sup>(1)</sup>

#### Capítulo 1

Eje cardio-renal-metabólico

#### Capítulo 2

Diabetes Mellitus tipo 2 y riesgo cardio-renal

#### Capítulo 3

Insuficiencia cardiaca

#### Capítulo 4

Enfermedad renal crónica

#### Capítulo 5

Interrelación médico-farmacéutico en la atención al paciente diabético

#### Casos clínicos

---

Duración de la actividad formativa: 40 horas.

---

Cuota de inscripción:

Colegiado: 10€

No colegiado: 100€

<sup>(1)</sup>El Programa es preliminar y puede estar sujeto a pequeños cambios.

Pendiente solicitud de acreditación para farmacéuticos a la Comisión de Formación Continuada de las Profesiones Sanitarias de la Comunidad de Madrid.

¡Inscríbete!

[farmaceuticos.com](http://farmaceuticos.com)

