

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
Voxzogo	Vosoritida	BioMarin International Limited	26/08/2021	Acondroplasia en pacientes de 2 años y mayores cuyas epífisis no se han cerrado
Minjuvi	Tafasitamab	Incyte Biosciences	26/08/2021	Linfoma difuso de linfocitos B grandes
Abecma	Idecabtagén vicleucel	Celgene	18/08/2021	Mieloma múltiple en recaída y refractario
Imcivree	Setmeanotida	Rhythm Pharmaceuticals	16/07/2021	Obesidad
Skysona	Elivaldogén autotemcel	Bluebird Bio	16/07/2021	Adrenoleucodistrofia cerebral inicial
Bylway	Odevixibat	Albireo	16/07/2021	Colestasis intrahepática familiar progresiva
Enspryng	Satralizumab	Roche	24/06/2021	Trastorno del espectro de la neuromielitis óptica (TENMO) en pacientes con anticuerpos positivos IgG frente a la acuaporina-4
Sogroya	Somapacitan	Novo Nordisk	31/03/2021	Deficiencia de la hormona del crecimiento en adultos
Pemazyre	Pemigatinib	Incyte Biosciences	26/03/2021	Colangiocarcinoma localmente avanzado o metastásico
Evrysdi	Risdiplam	Roche	26/03/2021	Atrofia muscular espinal
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	Alynlym Netherlands	19/11/2020	Hiperoxaluria primaria tipo 1
Obiltoximab SFL	Obiltoximab	SFL Pharmaceuticals Deutschland	18/11/2020	Ántrax por inhalación de <i>Bacillus anthracis</i>

Medicamento®	Principio activo	Laboratorio	Autorización	Indicación
Adakveo	Crizanlizumab	Novartis	28/10/2020	Crisis veno-oclusivas recurrentes en anemia de células falciformes
Arikayce liposomal	Amikacina sulfato	Insmmed 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

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>

PROGRAMA FORMATIVO 2021

Nueva actividad formativa

Online

¡Inscríbete!
farmaceuticos.com

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⁽¹⁾

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€

⁽¹⁾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.

Con el patrocinio de:



Boehringer
Ingelheim



Farmacéuticos

Consejo General de Colegios Farmacéuticos

