

### Evolución cronológica de las clasificaciones y evaluaciones de las terapias avanzadas por la EMA

Año	Clasificación de medicamentos		Medicamentos evaluados	
	Remitidos	Adoptados	Remitidos	Favorables
2021	51	50	2	2
2020	74	87	8	3
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	540	533	33	20

## 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
Bylvay	Odevixibat	Albireo	16/07/2021	Colestasis intrahepática familiar progresiva

## Medicamentos huérfanos autorizados en los últimos doce meses

Medicamento®	Principio activo	Laboratorio	Autorización	Indicación
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	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>

## 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>



### Nuevo curso

## Uso responsable de antibióticos

- |                                     |   |
|-------------------------------------|---|
| ✓ Identificación y signos de alarma | ✓ Consejos de salud para el paciente                  |
| ✓ Criterios de derivación           | ✓ Coordinación asistencial y seguimiento del paciente |
| ✓ Abordaje terapéutico              | ✓ Decálogo resumen y recomendaciones                  |



**¡Inscríbete!**  
farmaceuticos.com

Accede desde aquí  
<https://cutt.ly/JR9jp7j>

**Cuota de inscripción:** Gratuito colegiados

**Plazo de inscripción:** desde el 18 de noviembre de 2021 hasta el 17 de octubre de 2022

Actividad de 6 horas lectivas acreditada con **0,9 créditos** de formación continuada por el Consell Català de Formació Continuada de les Professions Sanitàries - Comisión de Formación Continuada del Sistema Nacional de Salud (Exp. núm 09/030997-MD)



Programa  
elaborado  
por

