

# 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.

## Nuevos medicamentos huérfanos autorizados en los últimos doce meses

Medicamento®	Principio activo	Laboratorio	Autorización	Indicación
<b>Kimmtrak</b>	Tebentafusp	Immunocore Ireland	01/04/2022	Melanoma uveal irresecable o metastásico HLA-A*02:01 +
<b>Oxbryta</b>	Voxelotor	Global Blood Ther.	14/02/2022	Anemia hemolítica de células falciformes
<b>Ngenla</b>	Somatrogon	Pfizer	14/02/2022	Trastornos del crecimiento por déficit de hormona de crecimiento
<b>Voraxaze</b>	Glucarpidasa	SERB SAS	11/01/2022	Reducción de la toxicidad plasmática de metotrexato
<b>Tavneos</b>	Avacopan	Vifor Fresenius Medical Care	11/01/2022	Poliangitis microscópica y poliangitis con granulomatosis activa
<b>Lona pegsomatropin Ascendis Pharma</b>	Lona pegsomatropina	Ascendis Pharma	11/01/2022	Secreción endógena insuficiente de hormona del crecimiento en niños de 3-18 años
<b>Aspaveli</b>	Pegcetacoplan	Swedish Orphan Biovitrum AB	13/12/2021	Hemoglobinuria nocturna paroxística en pacientes anémicos refractarios a un tratamiento con inhibidor de C5
<b>Artesunate Amivas</b>	Artesunato	Amivas Ireland	22/11/2021	Malaria grave
<b>Qinlock</b>	Ripretinib	Deciphera Pharmaceuticals BV	18/11/2021	Tumores gastrointestinales estromales avanzados y refractarios
<b>Voxzogo</b>	Vosoritida	BioMarin International Limited	26/08/2021	Acondroplasia con epífisis abiertas en pacientes de 2 años y mayores
<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

## 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>



# Encuesta sobre Otitis

Estudio sobre el dolor de oídos

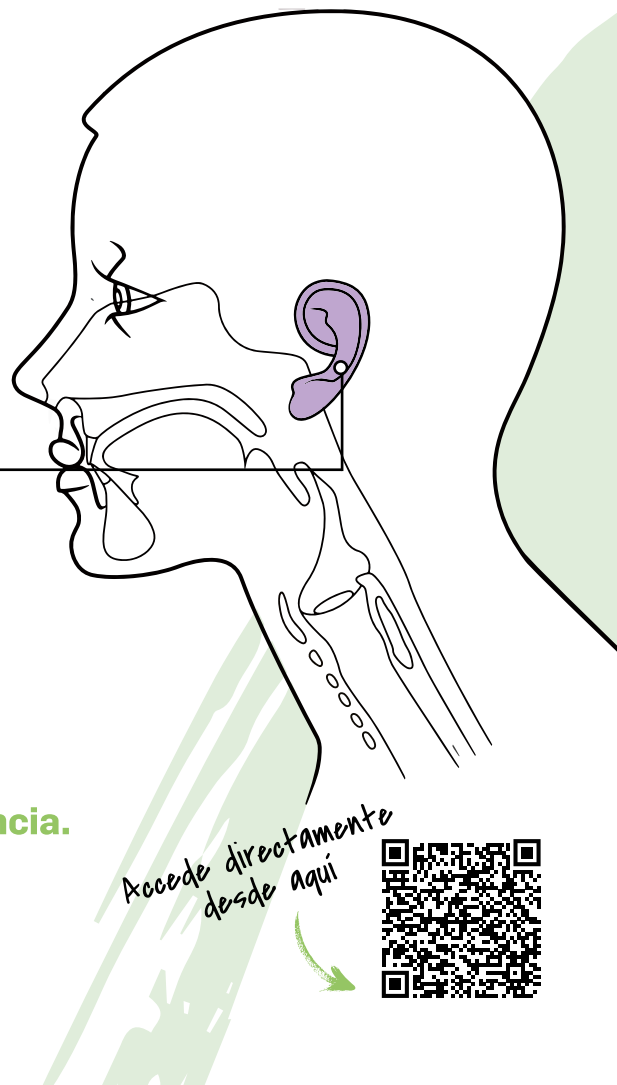
Con la colaboración de:

REIG  JOFRE

# ¡Participa!

entra en **Farmacéuticos.com** y **déjanos tu experiencia.**

Con esta breve encuesta se pretende conocer los síntomas más frecuentes, así como la frecuencia de aparición, si se ha llevado a cabo alguna acción previa para aliviarlos antes de consultar al farmacéutico así como las veces que se ha necesitado acudir al médico por dicha patología.



Accede directamente  
desde aquí

