

Medicamentos con nuevos principios activos o biosimilares

Comercializados en
España en los últimos
12 meses

Principio activo	Medicamento®	Laboratorio	Grupo Terapéutico	Huérfano	Biosimilar	Indicación principal	Autorización	Comercialización	Valoración PAM	PAM
Cenobamato	ONTOZRY	Angelini Pharma	N03AX25			Crisis epilépticas de inicio focal y refractarias	02/06/2021	15/09/2022		
Romosozumab	EVENITY	UCB Pharma	M05BX06			Osteoporosis grave en mujeres posmenopáusicas	28/02/2020	01/09/2022		
Oritavancina	Tenkasi	Menarini	J01XA05			Infecciones bacterianas agudas de piel y tejidos blandos	25/05/2021	01/09/2022		
Treosulfano	Trecondi	Gebro Pharma	L01AB02	*		Acondicionamiento previo a trasplante alogénico de progenitores hematopoyéticos	03/02/2021	13/08/2022	**	457
Lumasirán	Oxlumo	Alnylam Netherlands	A16AX18	*		Hiperoxaluria primaria de tipo 1	30/12/2020	01/07/2022	***	457
Neratinib	Nerlynx	Pierre Fabre	L01EH02			Cáncer de mama HR+ HER2+ en estadio inicial	07/01/2020	01/07/2022	*	457
Adalimumab	Yuflyma	Celltrion Healthcare	L04AB04	*		Artritis reumatoide, artritis idiopática juvenil, espondiloartritis axial, artritis psoriásica, psoriasis, hidradenitis supurativa, enfermedad de Crohn, colitis ulcerosa y uveítis	31/03/2021	01/07/2022	-	271
Diroximel Fumarato	Vumerity	Biogen Spain	L04AX09			Esclerosis múltiple remitente-recurrente	30/11/2021	01/06/2022	*	456
Ozanimod	Zeposia	Bristol-Myers Squibb	L04AA38			Esclerosis múltiple remitente-recurrente	25/06/2020	01/07/2022	*	456
Ponesimod	Ponvory	Janssen-Cilag	L04AA50			Esclerosis múltiple recurrente y activa	25/06/2021	01/07/2022	*	456
Osilodrostat	Isturisa	Recordati Rare Diseases	H02CA02	*		Síndrome de Cushing endógeno en adultos	12/02/2021	01/06/2022	*	455
Ravulizumab	Ultomiris	Alexion Pharma	L04AA43			Hemoglobinuria paroxística nocturna y síndrome hemolítico urémico atípico	11/06/2021	01/06/2022	**	456
Ácido Bempedoico	Nilemdo	Daiichi Sankyo	C10AX15			Adyuvante a dieta en hipercolesterolemia primaria o dislipemia mixta	26/12/2020	01/05/2022	*	454
Tixagevimab / Cilgavimab	Evusheld	AstraZeneca	J06BD03			COVID-19 leve-moderada con riesgo de empeoramiento	31/03/2022	01/05/2022	**	453

Principio activo	Medicamento®	Laboratorio	Grupo Terapéutico	Huérfano	Biosimilar	Indicación principal	Autorización	Comercialización	Valoración PAM PAM
Isatuximab	Sarclisa	Sanofi Aventis	L01XC38			Mieloma múltiple	06/07/2020	01/05/2022	* 453
Cemiplimab	Libtayo	Regeneron Ireland	L01XC33			Cáncer de pulmón no microcítico	29/07/2019	01/05/2022	** 455
Brolucizumab	Beovu	Novartis	S01LA06			Degeneración macular asociada a la edad neovascular	28/02/2020	12/04/2022	** 454
Volanesorsén	Waylivra	Akcea Therapeutics Ireland	C10AX18	*		Síndrome de quilomicronemia familiar y riesgo de pancreatitis	02/03/2020	01/04/2022	** 455
Tralokinumab	Adtralza	Leo Pharma	D11AH07			Dermatitis atópica moderada-grave	27/07/2021	01/04/2022	* 453
Nirmatrelvir / Ritonavir	Paxlovid	Pfizer	-			COVID-19 leve-moderada con riesgo de empeoramiento	31/01/2022	28/03/2022	*** 453
Trientina	Cuprior	Orphalan	A16AX12			Enfermedad de Wilson	11/03/2020	15/03/2022	* 452
Ivacaftor / Tezacaftor / Elexacaftor	Kaftrio	Vertex Pharmaceuticals	R07AX32	*		Fibrosis quística	23/10/2020	01/12/2021	** 451
Onasemnogén Abeparvovec	Zolgensma	Novartis	M09AX09	*		Atrofia muscular espinal 5q	28/07/2020	15/11/2021	*** 450
Alpelisib	Piqray	Novartis	L01EM03			Cáncer de mama avanzado/metastásico HR+ HER2-	25/08/2020	11/11/2021	** 452
Filgotinib	Jyseleca	Gilead	L04AA45			Artritis reumatoide	09/10/2020	19/10/2021	* 449

Valoración de la innovación terapéutica en PAM

Es importante indicar que se valora el **grado de innovación**. Todos los medicamentos, sean innovadores o no, tienen utilidad terapéutica, en tanto que su autorización por las autoridades sanitarias implica que han demostrado rigurosamente su eficacia, su seguridad, su calidad y las condiciones de uso (incluyendo la información contenida en la ficha técnica – sumario de características – y en el prospecto del medicamento). Por tanto, la valoración que se hace se refiere a la incorporación, en el grado que se determine, de algún elemento innovador con respecto a otros medicamentos autorizados previamente para iguales o similares indicaciones terapéuticas o, en su caso, cubriendo la ausencia de éstas.

Asimismo, debe considerarse que ésta es una evaluación que se practica coincidiendo con la comercialización inicial del medicamento. Se trata, por consiguiente, de una **valoración provisional** de la innovación realizada en función de la **evidencia clínica disponible hasta el momento**, lo que no prejuzga, en ningún caso, la disponibilidad posterior de nuevas evidencias científicas (de eficacia o de seguridad) en la indicación autorizada o el potencial desarrollo y autorización, en su caso, de nuevas indicaciones terapéuticas o la imposición de restricciones de uso en las anteriores.

Se consideran tres posibles niveles, adjudicados en función de la relevancia de la(s) innovación(es) presentes en el

nuevo medicamento, siempre en relación al arsenal terapéutico disponible clínicamente en España en el momento de la comercialización:

- **SIN INNOVACIÓN (*).** No implica aparentemente ninguna mejora farmacológica ni clínica en el tratamiento de las indicaciones autorizadas.
- **INNOVACIÓN MODERADA (**).** Aporta algunas mejoras, pero no implica cambios sustanciales en la terapéutica estándar.
- **INNOVACIÓN IMPORTANTE (***)**. Aportación sustancial a la terapéutica estándar.

Se distinguen **dos niveles de evidencia científica** para los aspectos innovadores de los nuevos medicamentos:

- **Evidencia clínica:** mediante estudios controlados, específicamente diseñados y desarrollados para demostrar la eficacia y la seguridad del nuevo medicamento, con demostración fehaciente de lo que puede ser un avance o mejora sobre la terapia estándar hasta ese momento, en el que caso de que exista.
- **Plausibilidad científica (potencialidad):** existencia de aspectos en el medicamento que teórica y

racionalmente podrían mejorar la terapéutica actual, pero que no han sido adecuadamente demostrados mediante ensayos clínicos, bien por motivos éticos o bien por imposibilidad de realización en el momento de la comercialización del nuevo medicamento: perfil de interacciones, mecanismos nuevos que permiten nuevas vías terapéuticas, nuevos perfiles bioquímicos frente a mecanismos de resistencia microbiana, posibilidad de combinar con otros medicamentos para la misma indicación terapéutica, efectos sobre el cumplimiento terapéutico (por mejoras en la vía, número de administraciones diarias, etc.), mejora de la eficiencia económica, etc.

El rigor de los datos contrastados mediante ensayos clínicos controlados (**evidencia clínica**) es determinante en la valoración de la innovación, mientras que las **potencialidades** solo pueden ser valoradas accesoriamente, como aspectos complementarios de esta valoración. En ningún caso, un medicamento es valorado con un nivel de **innovación importante** en función de sus ventajas potenciales, si no aporta otras ventajas demostradas clínicamente. Se analizan cinco aspectos de la innovación: **clínica, molecular, toxicológica, físico-química y económico-tecnológica**. Como ya se ha indicado, la fundamental y determinante es la novedad clínica.