

## 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
Nulibry	Fosdenopterina hidrobromuro	Comharsa Life Sciences Ltd.	15/09/2022	Deficiencia de cofactor de molibdeno tipo A
Scemblix	Asciminib hidrocloreuro	Novartis	25/08/2022	Leucemia mieloide crónica en fase crónica con cromosoma Filadelfia positivo
Roctavian	Valoctocogene roxaparvovec	BioMarin Int. Ltd.	24/08/2022	Hemofilia A
Vyvgart	Efgartigimod alfa	Argenx	10/08/2022	Miastenia gravis
Zokinvy	Lonafarnib	EigerBio Europe Limited	18/07/2022	Síndromes de progeria de Hutchinson-Gilford o asociados a ciertas mutaciones de <i>LMNA</i> o <i>ZMPSTE24</i>
Upstaza	Eladocagén exuparvovec	PTC Therapeutics Int. Ltd.	18/07/2022	Deficiencia de la descarboxilasa de L-aminoácidos aromáticos
Kinpeygo	Budesonida	Calliditas Therapeutics AB	15/07/2022	Nefropatía primaria por inmunoglobulina A
Xenpozyme	Olipudasa alfa	Genzyme Europe BV	24/06/2022	Deficiencia de esfingomielinasa alfa
Filsuvez	Extracto seco de corteza de abedul	Amryt Pharmaceuticals	21/06/2022	Epidermolisis bullosa
Carvykty	Ciltacabtagén autoleucel	Janssen-Cilag	25/05/2022	Mieloma múltiple refractario o en recaída
Kimmtrak	Tebentafusp	Immunocore Ireland	01/04/2022	Melanoma uveal irresecable o metastásico HLA-A*02:01 +
Oxbryta	Voxelotor	Global Blood Ther.	14/02/2022	Anemia hemolítica de células falciformes
Ngenla	Somatrogon	Pfizer	14/02/2022	Trastornos del crecimiento por déficit de hormona de crecimiento
Voraxaze	Glucarpidasa	SERB SAS	11/01/2022	Reducción de la toxicidad plasmática de metotrexato
Tavneos	Avacopan	Vifor Fresenius Medical Care	11/01/2022	Poliangitis microscópica y poliangitis con granulomatosis activa
Lonapegsomatropin Ascendis Pharma	Lonapegsomatropina	Ascendis Pharma	11/01/2022	Secreción endógena insuficiente de hormona del crecimiento en niños de 3-18 años
Aspaveli	Pegcetacoplan	Swedish Orphan Biovitrum AB	13/12/2021	Hemoglobinuria nocturna paroxística en pacientes anémicos refractarios a un tratamiento con inhibidor de C5
Artesunate Amivas	Artesunato	Amivas Ireland	22/11/2021	Malaria grave
Qinlock	Ripretinib	Deciphera Pharmaceuticals BV	18/11/2021	Tumores gastrointestinales estromales avanzados y refractarios

## 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>