

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
Ebvallo	Tabelecleucel	Atara Biotherapeutics	16/12/2022	Enfermedad linfoproliferativa postrasplante por VEB
Livmarli	Maralixibat	Mirum Pharmaceuticals	09/12/2022	Prurito colestático en pacientes con síndrome de Alagille
Mycapssa	Octreótida acetato	Amryt Pharmaceuticals	02/12/2022	Acromegalía en adultos
Enjaymo	Sutimlimab	Genzyme Europe	15/11/2022	Anemia hemolítica en pacientes con enfermedad de aglutinina
Pyrukynd	Mitapivat	Agios Netherlands	09/11/2022	Deficiencia de piruvato cinasa
Livtency	Maribavir	Takeda	09/11/2022	Infección por citomegalovirus
Amvuttra	Vutrisirán sódico	Alnylam Netherlands	15/09/2022	Polineuropatía en pacientes con amiloidosis hereditaria por transtiretina
Nulibry	Fosdenopterina hidrobromuro	Comharsa Life Sciences Ltd.	15/09/2022	Deficiencia de cofactor de molibdeno tipo A
Scemblix	Asciminib hidrocloruro	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 LMNA o ZMPSTE24
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 immunoglobulina 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

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](http://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>
- ▶ **Eurodis:** Federación Europea de Asociaciones de Pacientes con Enfermedades Raras (español). <http://www.eurodis.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>