

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 | Acromegalia 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 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 |
| Kimtrak | Tebentafusp | Immunocore Ireland | 01/04/2022 | Melanoma uveal irrecable 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>

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>
- ▶ **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>