

# 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
Tepkinly	Epcoritamab	AbbVie	22/09/2023	Linfoma difuso de células grandes B
Tevimbra	Tislelizumab	Novartis	15/09/2023	Cáncer esofágico de células escamosas
Talvey	Talquetamab	Janssen-Cilag	21/08/2023	Mieloma múltiple en recaída y refractario
Ztalmý	Ganaxolona	Marinus Pharm,	26/07/2023	Crisis epilépticas en trastorno por déficit de CDKL5
Hyftor	Sirolimus	Plusultra pharma GmbH	15/05/2023	Angiofibroma y esclerosis tuberosa
Tibsovo	Ivosidenib	Servier	04/05/2023	Leucemia mieloide aguda y colangiocarcinoma
Hemgenix	Etranacogén dezaparvovec	CSL Behring	20/02/2023	Hemofilia B
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

## 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>