

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	Carcinoma esofágico de células escamosas
Talvey	Talquetamab	Janssen-Cilag	21/08/2023	Mieloma múltiple en recaída y refractario
Ztalmy	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	Acromegalia en adultos

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>