2º Informe cuatrimestral de ACCESO 2026

a los medicamentos huérfanos en España*

aelmhu



*Análisis de todos los MM.HH. con nombre comercial que tienen vigente la designación huérfana europea, a 31 de agosto de 2026

elaborado por: bioinnova Consulting

Índice

01 Metodología
02 Medicamentos huérfanos Unión Europea y España
03 Medicamentos huérfanos España
04 Medicamentos huérfanos financiados en el segundo cuatrimestre de 2026
05 Medicamentos huérfanos no financiados
06 Medicamentos de terapia avanzada para enfermedades raras
07 Medicamentos indicados para enfermedades raras que han perdido la designación huérfana
08 Resumen principales datos
09 Bibliografía
10 Acrónimos

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Metodología

01

De los más de 3.000 principios activos con designación huérfana (OD, por sus siglas en inglés) por parte del Comité de Medicamentos y Productos Huérfanos (COMP, por sus siglas en inglés) de la Agencia Europea del Medicamento (EMA, por sus siglas en inglés), se han identificado aquellos principios activos que tienen vigente la designación huérfana a fecha 31 de agosto de 2026 (más de 2.000). La OD se otorga durante las primeras etapas de la investigación de un medicamento, por lo que dentro de los principios activos que cuentan con OD vigente se identifican, en cada informe, aquellos que tienen nombre comercial (más de 250) y, de éstos, se eliminan los duplicados por tener varias indicaciones. Eliminando esas duplicidades, se obtienen **231 medicamentos huérfanos (MM.HH.) con OD vigente** a fecha de 31 de agosto de 2026 y con nombre comercial.

02

Después, se han analizado cuáles de estos MM.HH. han sido retirados (o todavía no han sido incluidos) en el Registro Comunitario de Medicamentos Huérfanos de la Comisión Europea para su comercialización en la Unión Europea (n=67). Como resultado, se obtiene **el número de MM.HH. con autorización de comercialización (AC)** a 31 de agosto de 2026 en la Unión Europea **(n=164)**.

03

El tercer paso ha sido identificar cuáles de esos MM.HH. con nombre comercial que están aprobados para su comercialización en la Unión Europea tienen **Código Nacional (CN)** por parte de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) para su comercialización en España **(n=141).**

04

Por último, se han identificado cuáles y desde cuándo están **financiados por el Sistema Nacional de Salud (SNS)** los MM.HH. según la información recogida en el Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos (BIFIMED) del Ministerio de Sanidad **(n=105).** Como fecha de financiación se ha tomado la primera fecha de alta.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Notas:
1. Debido a que los datos no se pueden obtener de ninguna fuente pública, en este documento no se reflejan aquellos fármacos que se encuentran disponibles en nuestro país bajo situaciones específicas y autorizaciones especiales enmarcadas dentro del Real Decreto 1015/2009 (uso compasivo, uso en condiciones distintas a las autorizadas o acceso a medicamentos extranjeros).
2. La compañía indicada para cada MM.HH. a lo largo de este informe corresponde, con carácter general, a la compañía titular; no obstante, en el caso de los medicamentos financiados, se identifica la compañía ofertante al SNS, siempre que no se trate de una compañía distribuidora de medicamentos.
3. Asimismo, los valores representados en los gráficos se muestran habitualmente redondeados a números enteros para facilitar su comprensión. De manera excepcional, se han incorporado decimales cuando la suma de porcentajes redondeados resulte en valores inferiores o superiores a 100.

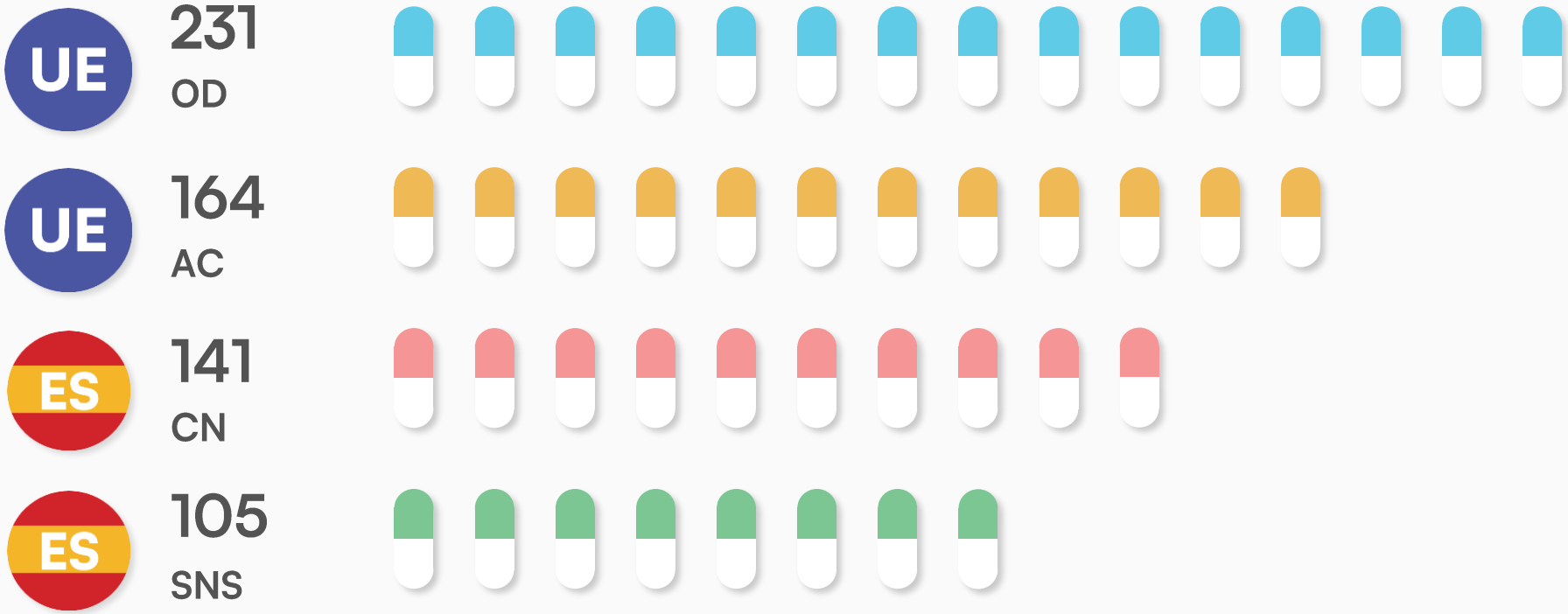
Fuentes de datos en la bibliografía e información detallada en acrónimos.

Medicamentos huérfanos

Unión Europea y España



Principales indicadores 2026*



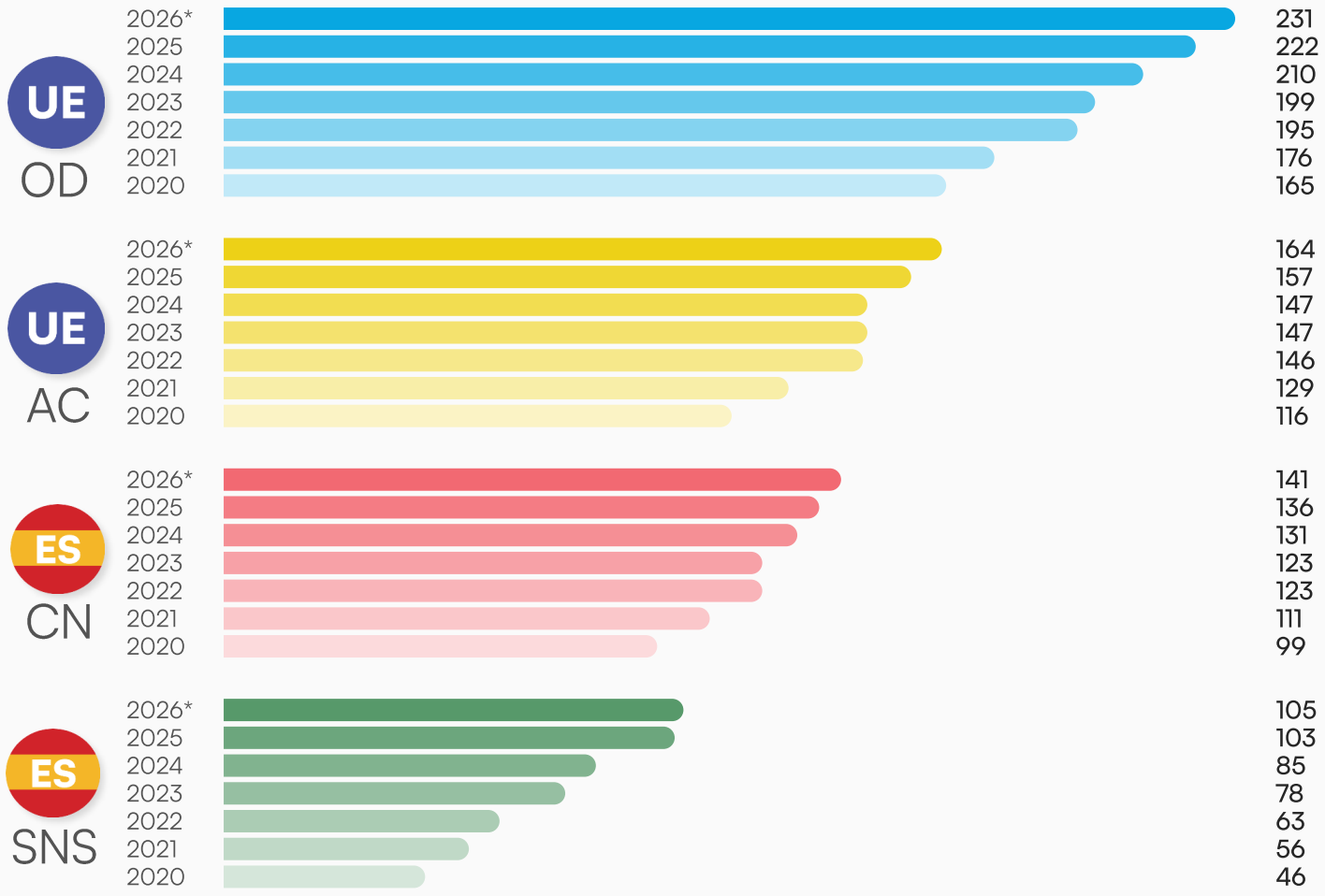
Notas:

OD: medicamentos con designación huérfana otorgada por la EMA.
AC: medicamentos huérfanos con autorización de comercialización de la Comisión Europea.
CN: medicamentos huérfanos con Código Nacional en España.
SNS: medicamentos huérfanos financiados por el Sistema Nacional de Salud.

*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

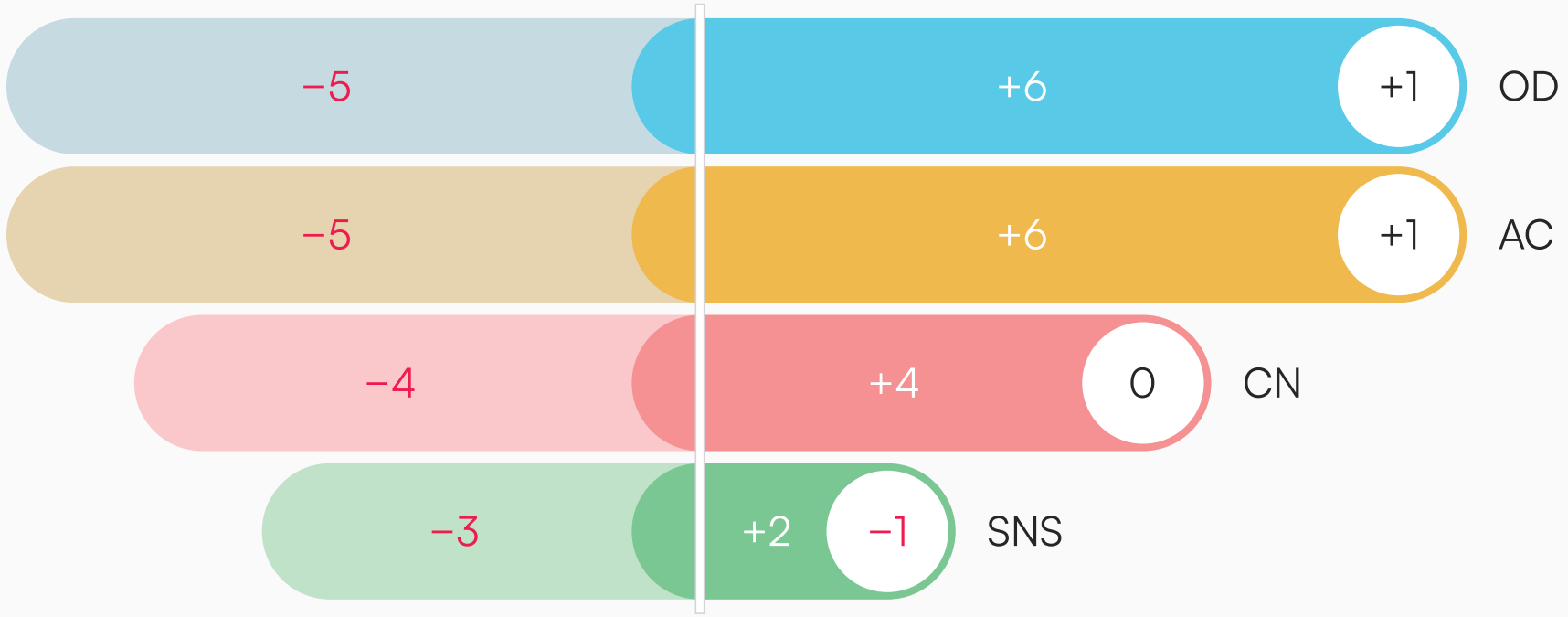
Evolución de los indicadores 2020-2026*



*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Variación de los indicadores entre 1er y 2º c. 2026*



*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de la variación de las designaciones huérfanas

	2ºc. vs 1er c. 2026	MM.HH.	Compañía	Comentarios
UE OD	+ 6 MM.HH. obtienen OD	DEQTYNET ISEMBYLD LYNAVOY ORBLID QEZZAQAR YARTEMLEA	CIS Bio Scholar Rock GSK Delbert CATS Consultants Omeros	No AC 03/08/2026 No AC 13/08/2026 CHMP+ 23/07/2026 No AC 21/05/2026 CHMP- 23/07/2026 En evaluación
	- 5 MM.HH. pierden OD	ALIQOPA DARZALEX DELTYBA GALAFOLD ORDSPONO	Bayer Janssen-Cilag Otsuka Amicus Regeneron	Pérdida OD Pérdida OD Pérdida OD Pérdida OD Pérdida OD

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de la variación de las autorizaciones de comercialización

	2º c. vs 1er c. 2026	MM.HH.	Compañía	Comentarios
UE AC	+ 6 MM.HH. obtienen AC	DAYBU IMDYLLTRA JOENJA REDEMPLO VIJOICE ZEPZELCA	Acadia Amgen Pharming Technologies Arrowhead Pharmaceuticals Novartis PharmaMar	AC 20/08/2026 AC 29/05/2026 AC 21/05/2026 AC 19/06/2026 AC 15/07/2026 AC 29/05/2026
	- 5 MM.HH. pierden OD	DARZALEX DELTYBA GALAFOLD ORDSPONO NATPAR	Janssen-Cilag Otsuka Amicus Regeneron Takeda	Pérdida OD Pérdida OD Pérdida OD Pérdida OD Pérdida OD

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de la variación de los códigos nacionales de MM.HH.

	2º c. vs 1er c. 2026	MM.HH.	Compañía	Comentarios
ES CN	+ 4 MM.HH. obtienen CN	IMDYLLTRA REDEMPLO SEPHIENCE ZEPZELCA	Amgen Arrowhead Pharmaceuticals PTC Therapeutics PharmaMar	CN 29/06/2026 CN 07/07/2026 CN 12/06/2026 CN 05/06/2026
	- 4 MM.HH. pierden OD	DARZALEX DELTYBA GALAFOLD NATPAR	Janssen-Cilag Otsuka Amicus Takeda	Pérdida OD Pérdida OD Pérdida OD Pérdida OD

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

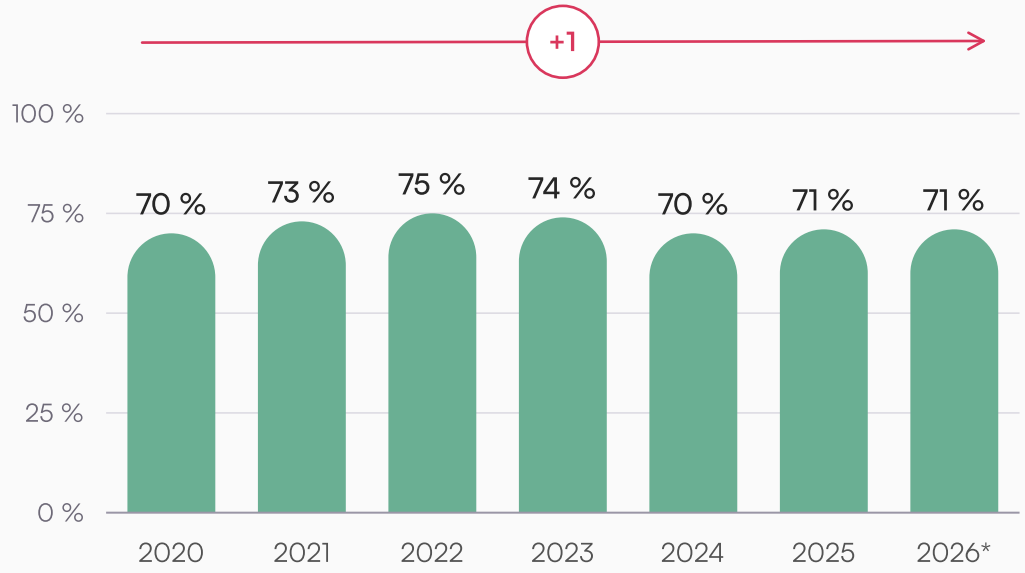
Detalle de la variación de MM.HH. financiados

	2º c. vs 1er c. 2026	MM.HH.	Compañía	Comentarios
ES SNS	+ 2 MM.HH. obtienen financiación	ALYFTREK MYALEPTA	Vertex Pharmaceuticals Chiesi	SNS 01/06/2026 SNS 01/08/2026
	- 3 MM.HH. pierden OD	DARZALEX DELTYBA GALAFOLD	Janssen-Cilag Otsuka Amicus	Pérdida OD Pérdida OD Pérdida OD

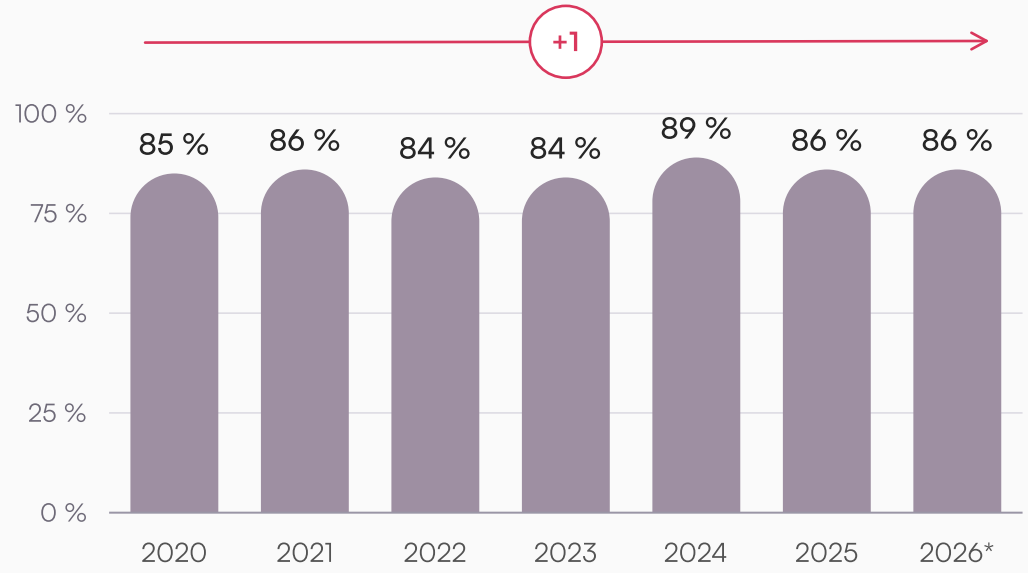
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Evolución de la comparativa entre los indicadores

% de MM.HH. que tienen OD y AC



% de MM.HH. con AC y CN

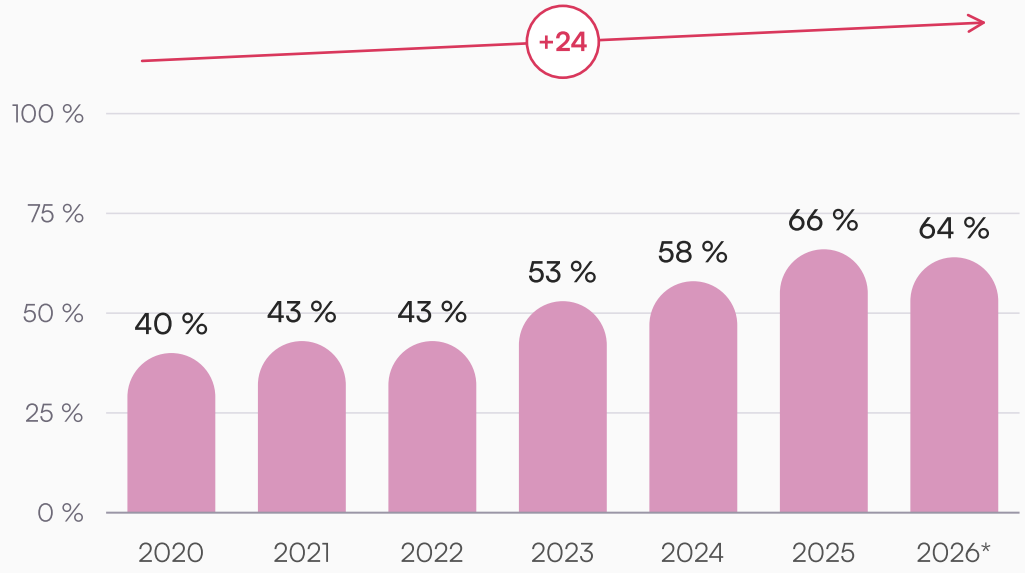


Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

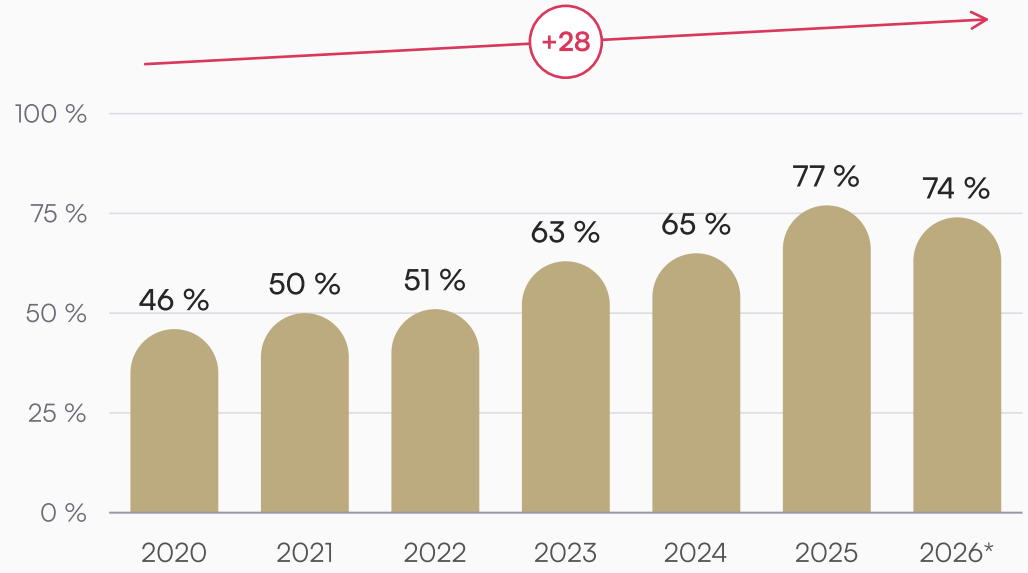
*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Evolución de la comparativa entre los indicadores

% de MM.HH. con AC financiados por el SNS



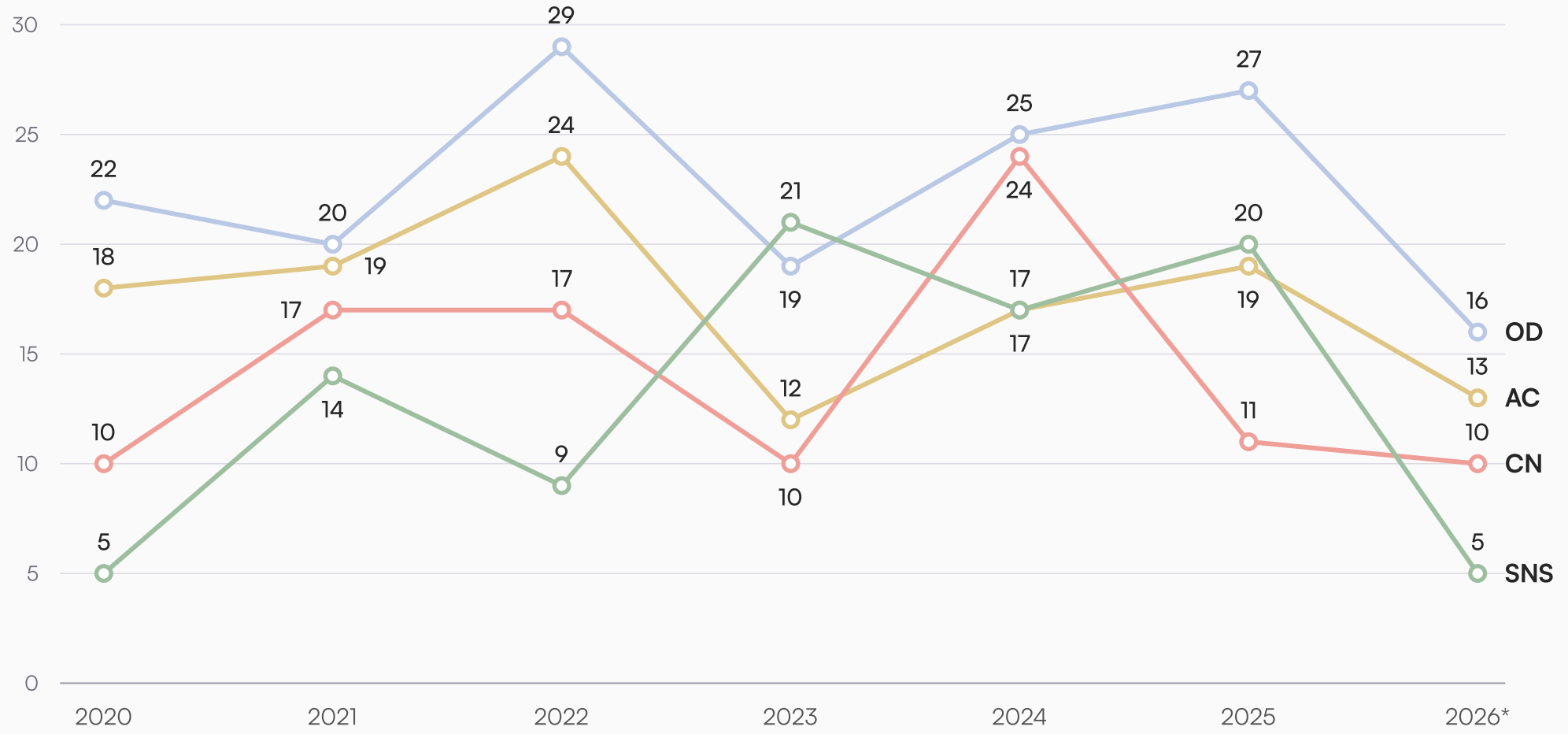
% de MM.HH. con CN financiados por el SNS



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

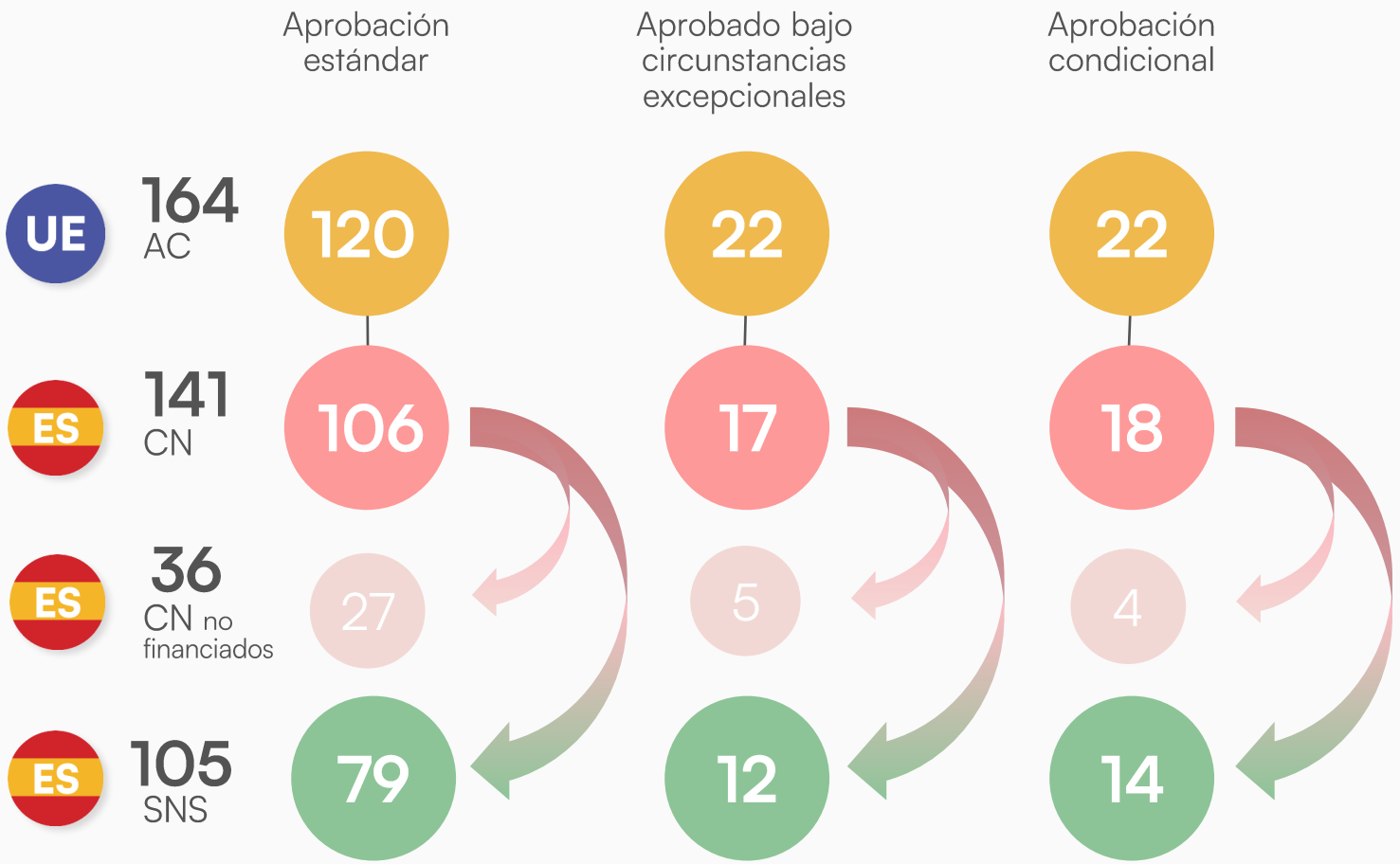
Resumen de los indicadores por año



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Tipo de aprobación de los medicamentos huérfanos*



*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Condiciones especiales asociadas a la aprobación de MM.HH.*

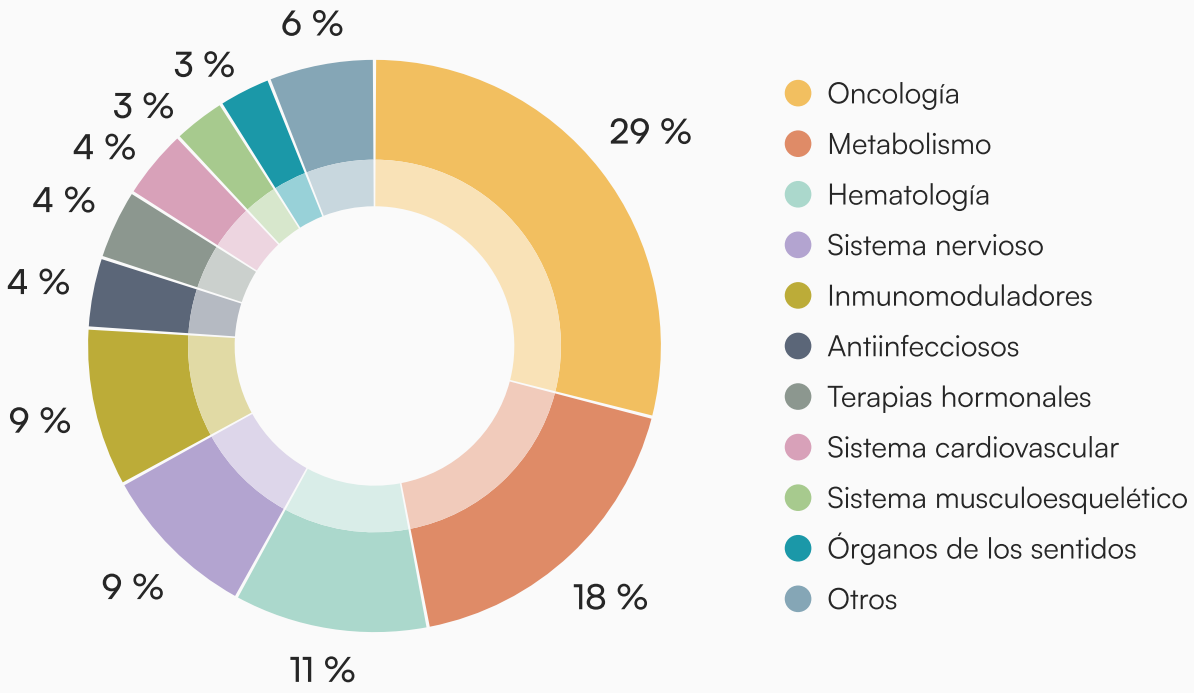


*Un mismo medicamento huérfano puede estar sujeto simultáneamente a más de una condición especial. Por este motivo, la suma de "evaluación acelerada", "seguimiento adicional" y "sin ninguna especificación" no coincide necesariamente con el total de MM.HH. Datos a 31 de agosto de 2026.

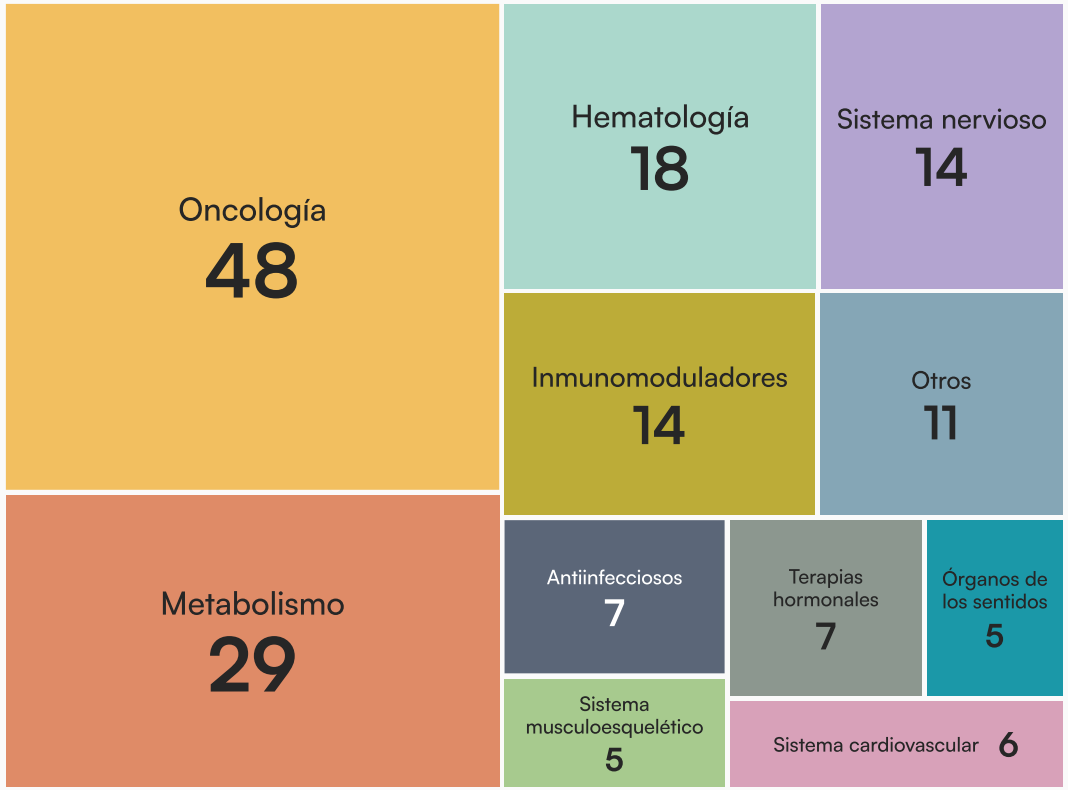
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. con autorización de comercialización por área terapéutica

Por área terapéutica

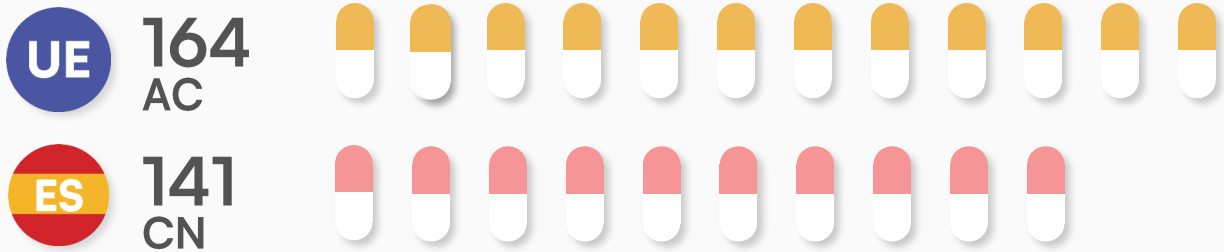


Valores absolutos



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos huérfanos con AC vs. CN*



A fecha 31 de agosto de 2026, el **86 % de los MM.HH.** que tienen AC ya **tienen CN.**

El 14% de los MM.HH. autorizados **aún no tienen CN** (23).

*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Información detallada de los 23 MM.HH. con AC sin CN (1/2)

	Nombre comercial	Compañía	Fecha AC	Meses de espera (AC — 31/08/2026)	Área terapéutica	MTA*
1	AQNEURSA	IntraBio	19/01/2026	7	Sistema nervioso	
2	ARIKAYCE	Insmed	27/10/2020	71	Antiinfecciosos	
3	DAYBU	Acadia	20/08/2026	0	Sistema nervioso	
4	DOVPRELA	Mylan	31/07/2020	74	Antiinfecciosos	
5	EKTERLY	Kalvista	17/09/2025	12	Hematología	
6	EMCITATE	Rare Thyroid Therapeutics International	12/02/2025	19	Hematología	
7	HYFTOR	PlusUltra	15/05/2023	40	Dermatología	
8	JOENJA	Pharming Technologies	21/05/2026	3	Inmunomoduladores	
9	KYGEVVI	UCB Pharma	26/03/2026	5	Metabolismo	
10	MAAPLIV	Recordati	28/07/2025	13	Metabolismo	
11	NULIBRY	Comharsa	15/09/2022	48	Metabolismo	
12	OJEMDA	Ipsen	20/04/2026	4	Oncología	

*MTA: medicamento de terapia avanzada

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Información detallada de los 23 MM.HH. con AC sin CN (2/2)

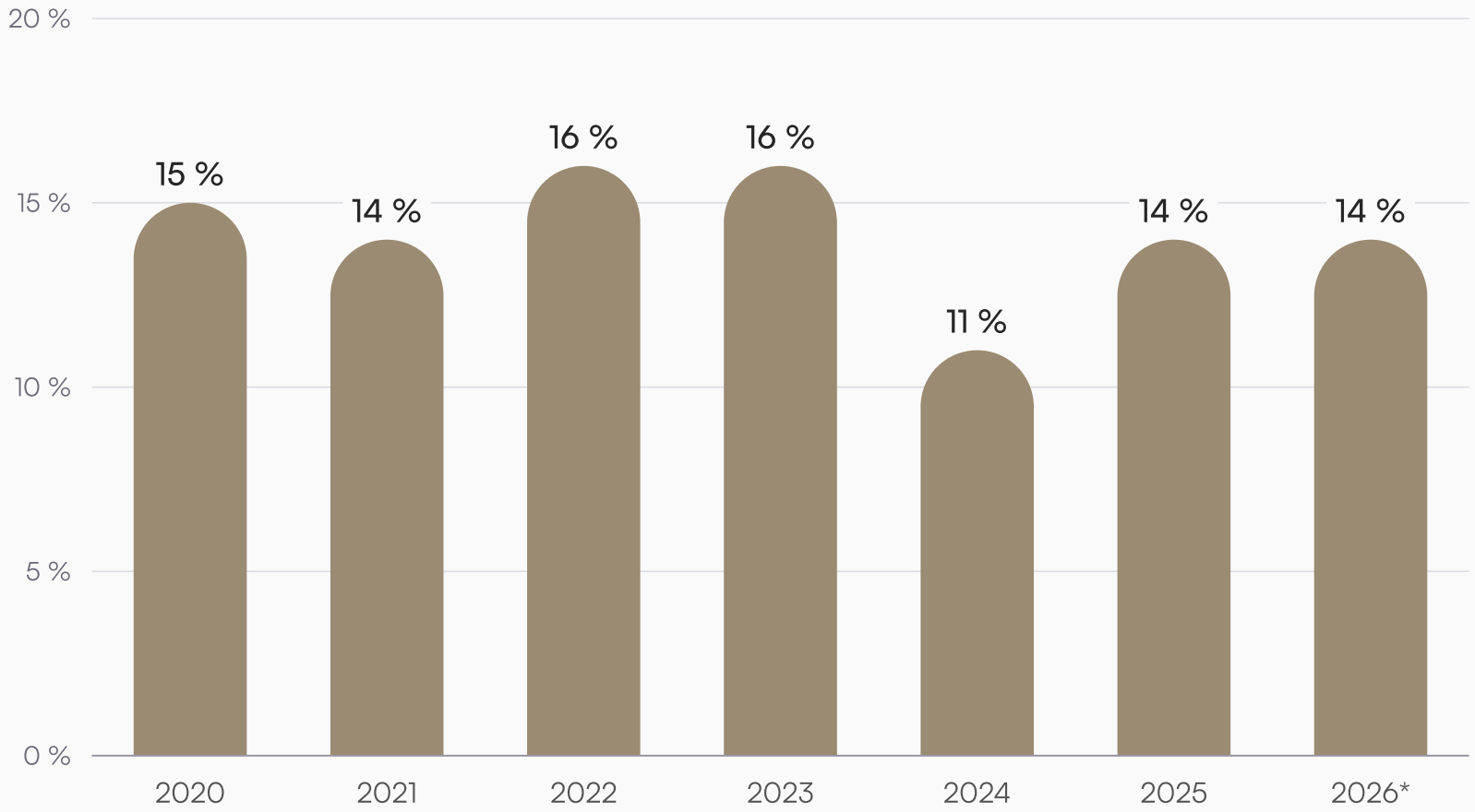
	Nombre comercial	Compañía	Fecha AC	Meses de espera (AC — 31/08/2026)	Área terapéutica	MTA*
13	PALSONIFY	Crinetics Pharmaceuticals	23/04/2026	4	Terapias hormonales	
14	PYRUKYND**	Avanzanite Bioscience	9/11/2022	46	Hematología	
15	RYTELO	Geron	7/03/2025	18	Oncología	
16	SKYTROFA	Ascendis Pharma	11/01/2022	56	Terapias hormonales	
17	STRIMVELIS	Fondazione Telethon	26/05/2016	125	Inmunomoduladores	●
18	VIJOICE	Novartis	15/07/2026	2	Inmunomoduladores	
19	WASKYRA	Fondazione Telethon	09/01/2026	8	Hematología	●
20	XOLREMDI	X4 Pharmaceuticals	27/04/2026	4	Inmunomoduladores	
21	ZEMCELPRO	Cordex	25/08/2025	12	Hematología	●
22	ZIIHERA	Jazz Pharmaceuticals	27/06/2025	14	Oncología	
23	ZOKINVY	EigerBio	18/07/2022	50	Metabolismo	

*MTA: medicamento de terapia avanzada

** **PYRUKYND, comercializado en España por Avanzanite Bioscience, cuenta con CN desde el 05/06/2026. El medicamento no fue incluido en el presente informe debido a un error de sincronización en la base de datos de CIMA detectado tras la fecha de publicación, y ya subsanado en la fuente oficial. Esta información quedará debidamente reflejada en la próxima edición anual del informe de acceso.**

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Porcentaje de medicamentos huérfanos con AC sin CN

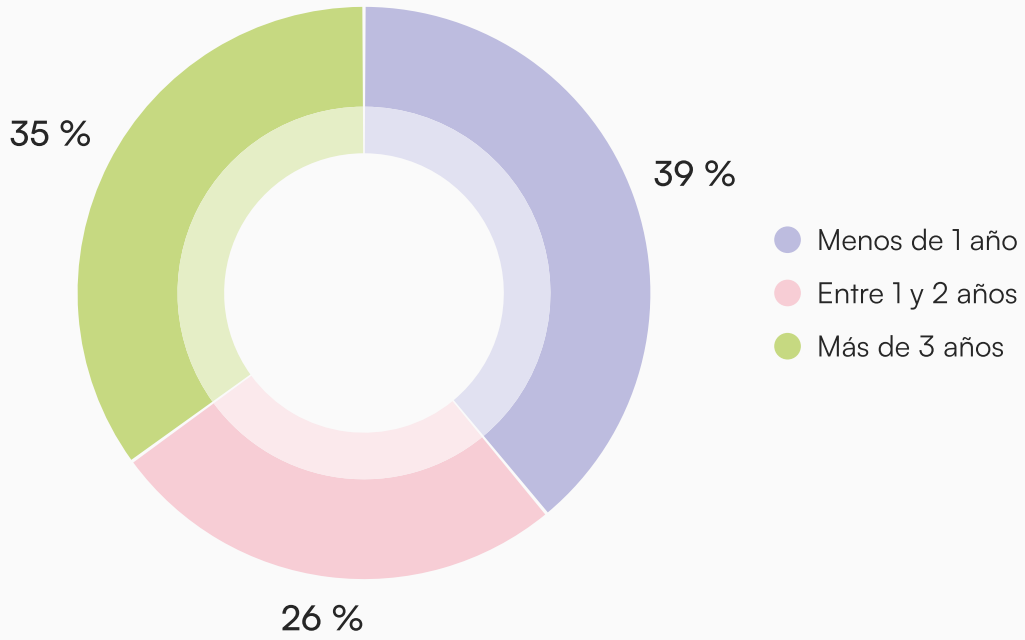


*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos huérfanos con AC sin CN por años de espera

Por años de espera



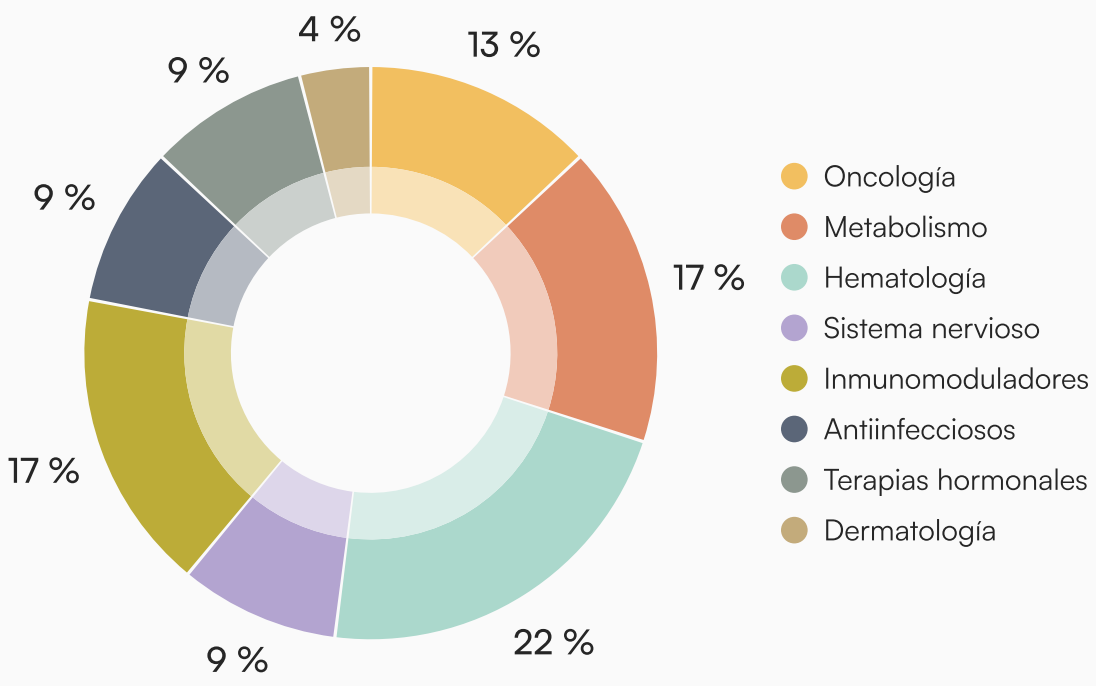
Valores absolutos



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos huérfanos con AC sin CN por área terapéutica

Por área terapéutica



Valores absolutos



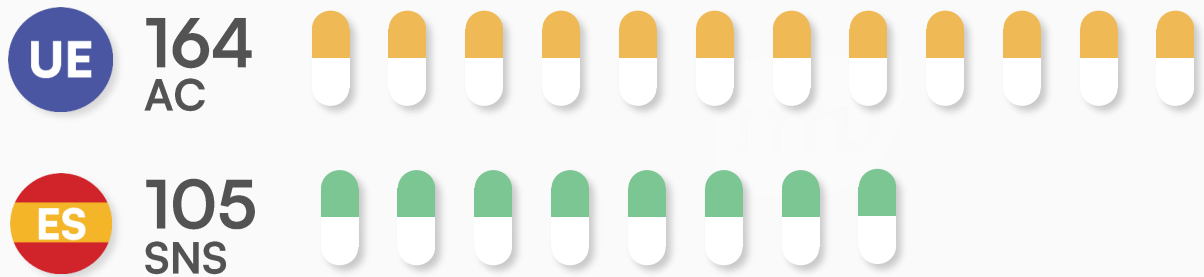
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos huérfanos

España



Medicamentos huérfanos con AC vs. financiados

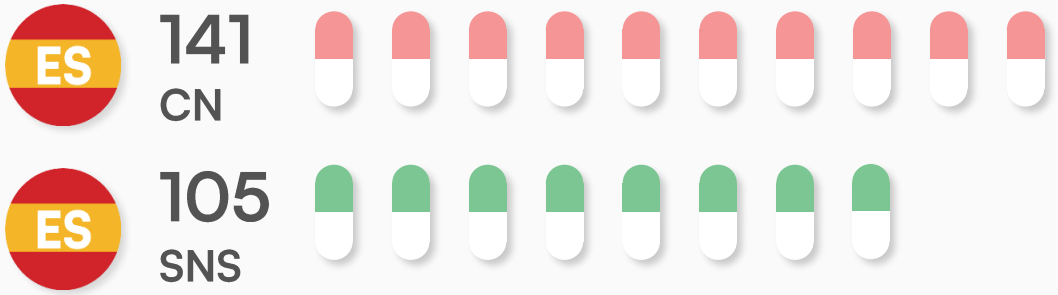


A fecha 31 de agosto de 2026, el **64 %** de los MM.HH. que tienen AC están financiados por el SNS.

A fecha 31 de agosto de 2026, 59 MM.HH. con AC, no están financiados por el SNS (36 %).

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Comparativa MM.HH. con CN y financiados por el SNS



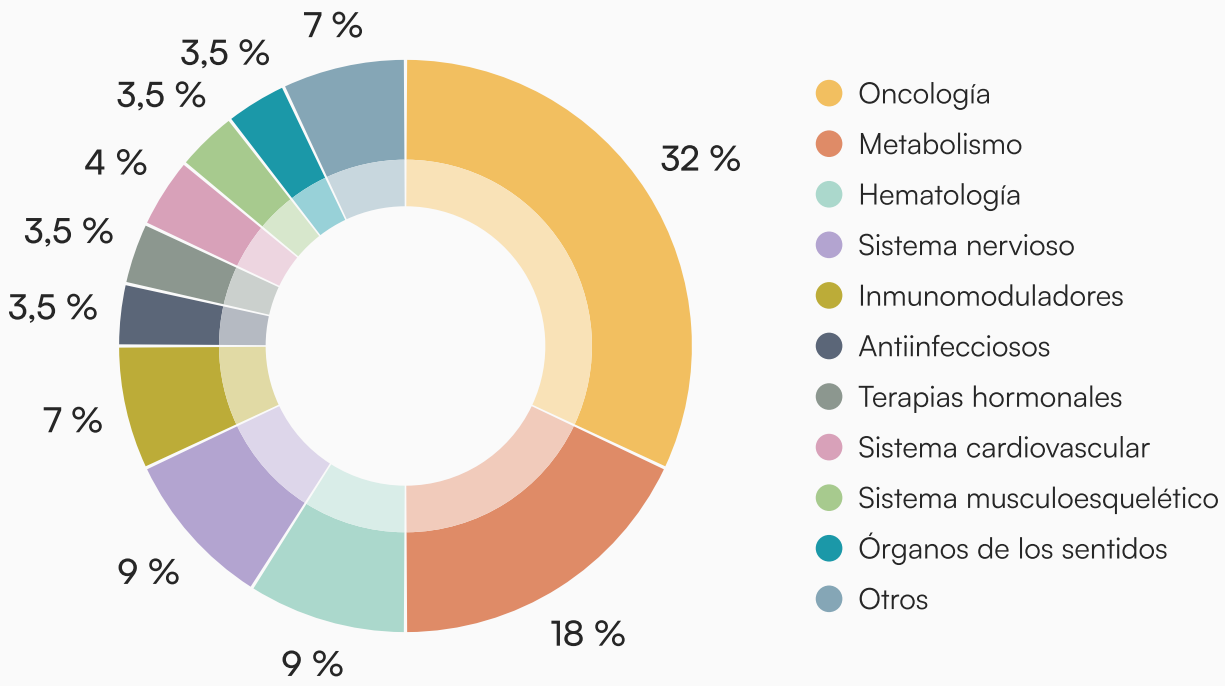
A fecha 31 de agosto de 2026, **el 74 % de los MM.HH** que han llegado a España **están financiados** actualmente por el SNS.

A fecha 31 de agosto de 2026, **36 MM.HH** que han llegado a España **no están financiados actualmente por el SNS.**

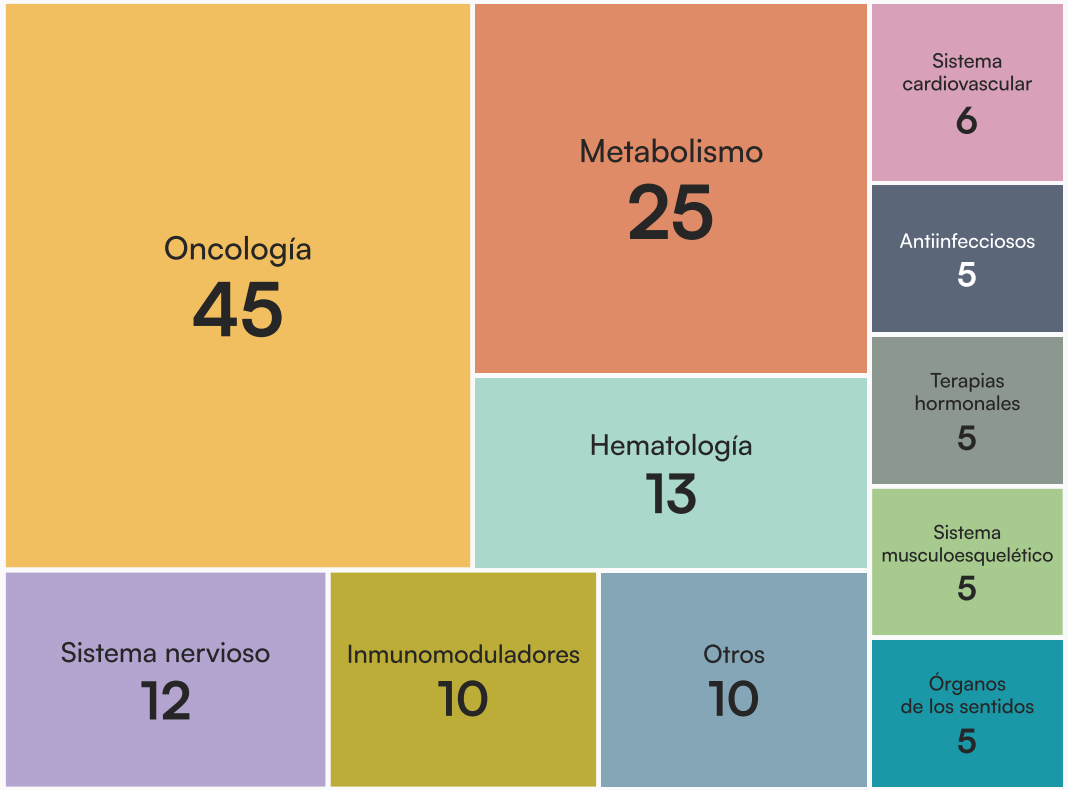
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. con CN por área terapéutica

Por área terapéutica



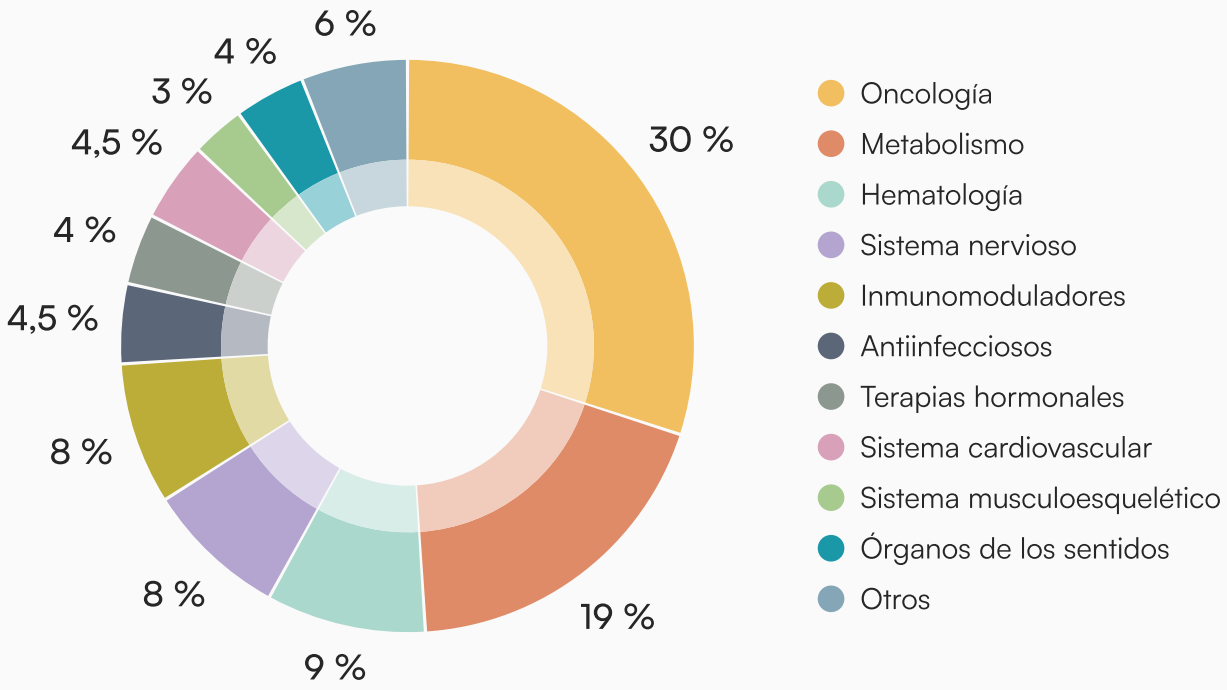
Valores absolutos



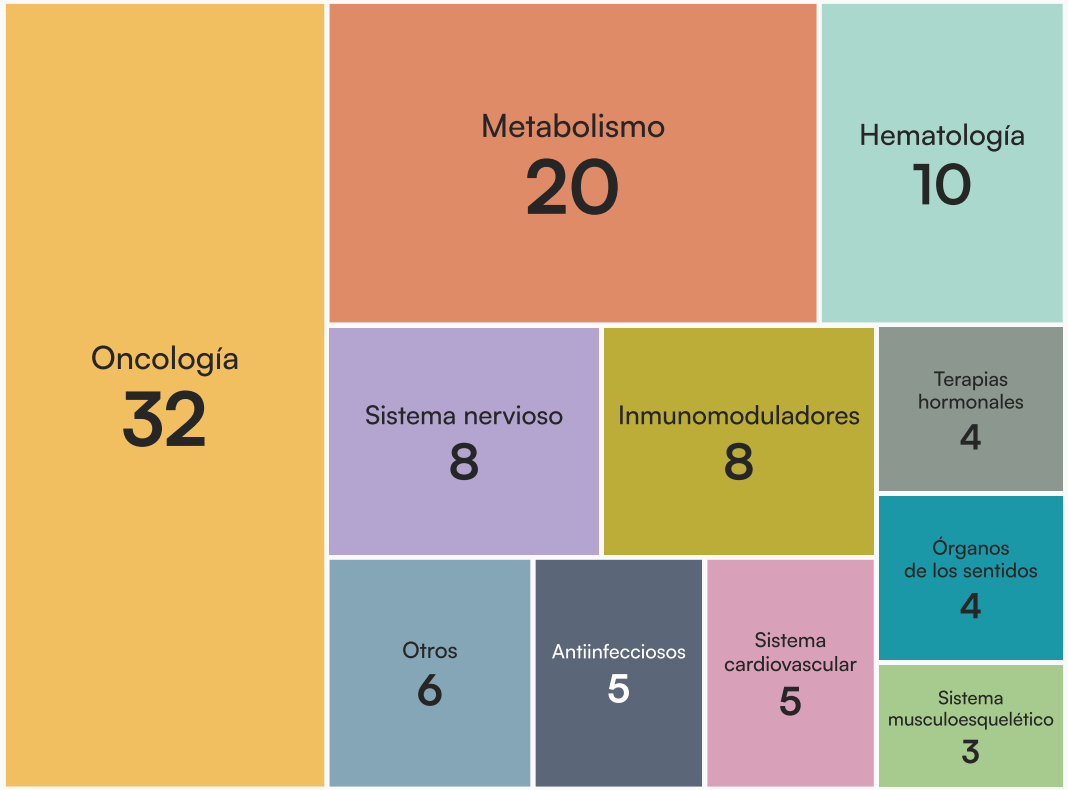
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. financiados por área terapéutica

Por área terapéutica

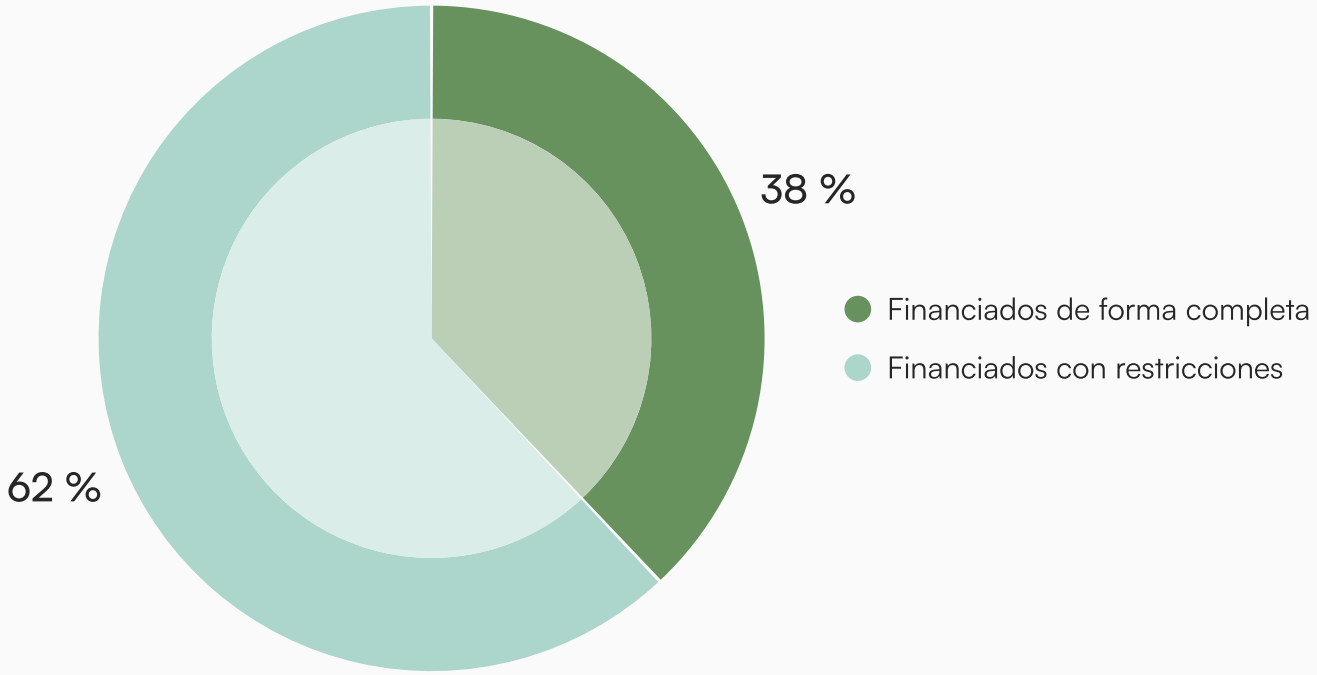


Valores absolutos



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Análisis de los MM.HH. financiados por tipo de resolución

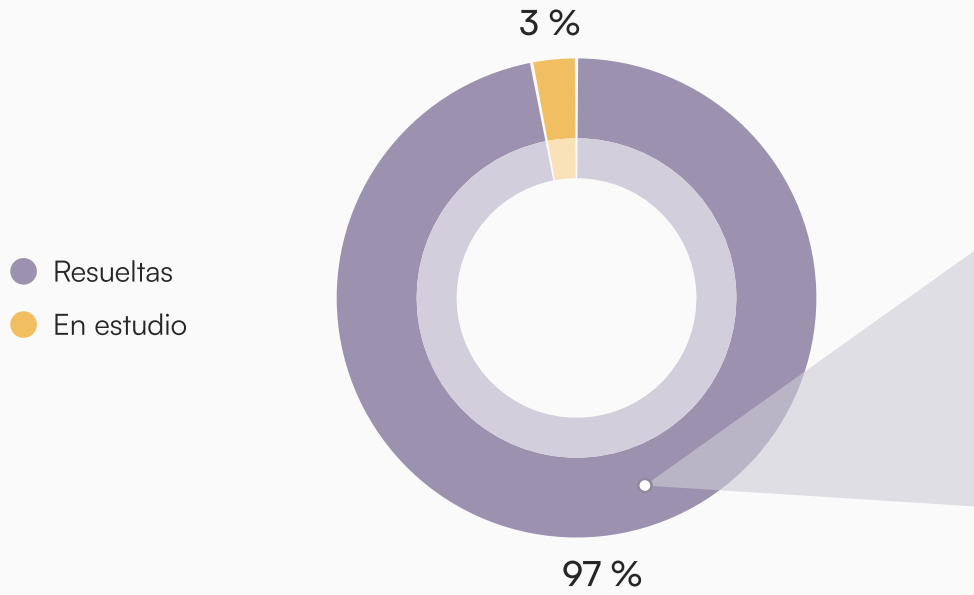


De los **105 MM.HH. financiados** por el SNS, un **62 %** (65) están financiados **con restricciones**, ya sea debido a restricciones en la/s indicación/es autorizada/s, o debido a que tienen alguna indicación no financiada en nuestro país.

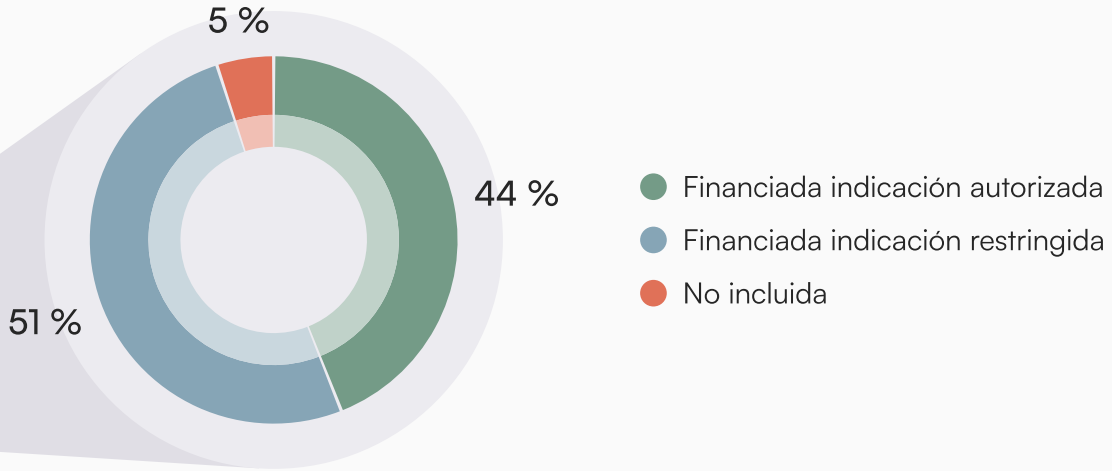
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Situación de indicaciones autorizadas de MM.HH. financiados

Situación del expediente por indicación



Resolución del expediente de financiación por indicación

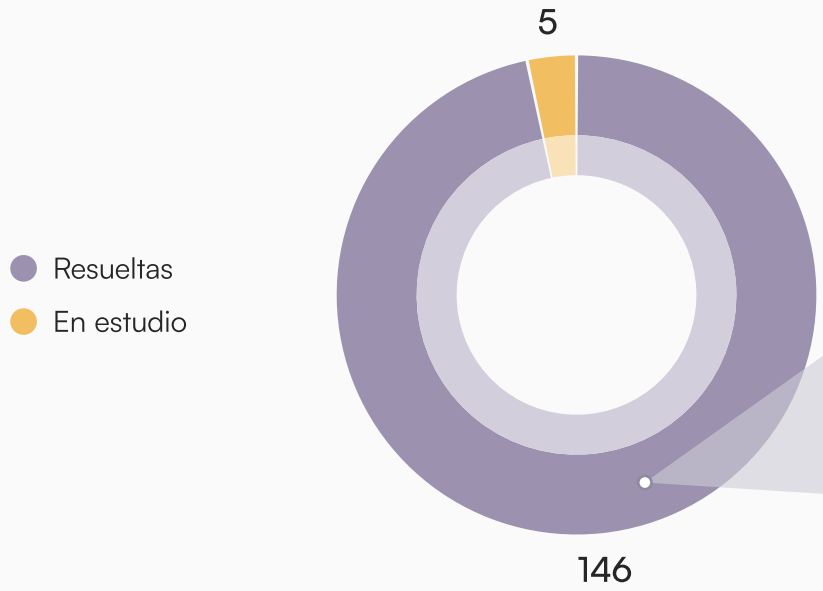


Fuente: BIFIMED (consultado en septiembre 2026)

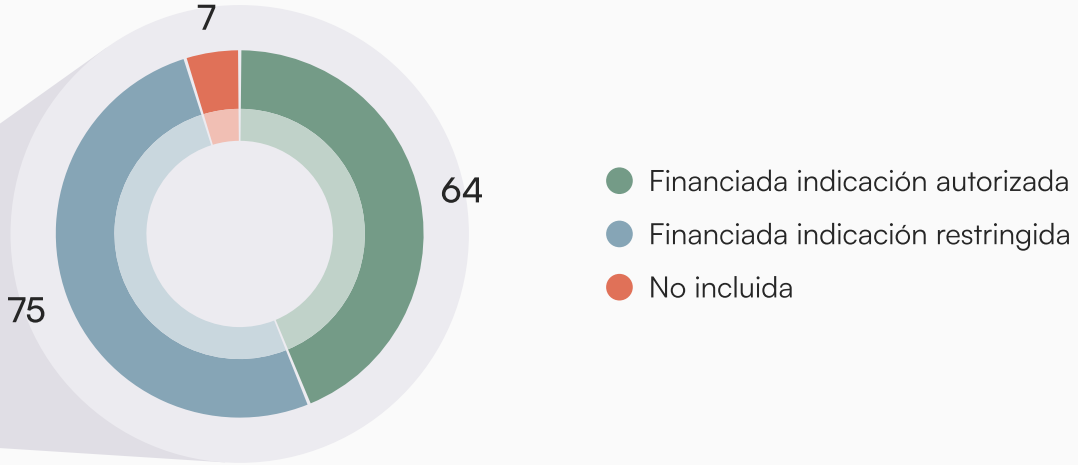
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Situación de indicaciones autorizadas de MM.HH. financiados

Situación del expediente por indicación
Valores absolutos



Resolución del expediente de financiación por indicación
Valores absolutos



De las **151 indicaciones autorizadas por la EMA,** un 92 % (139) están financiadas.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos huérfanos

financiados
en el 2° cuatrimestre de 2026



Nuevos medicamentos huérfanos financiados en el 2º c. 2026

En el segundo cuatrimestre de 2026 se han financiado **2 nuevos medicamentos huérfanos** en España.

2 meses

Tiempo promedio desde la AC hasta la obtención de CN

52 meses

Tiempo promedio desde el CN hasta la financiación por el SNS

100 %

Aprobados con condiciones de financiación por el SNS

100 %

Financiados de forma restringida

1 MM.HH.

Medicamento financiado en el primer año tras la obtención de CN

1 MM.HH.

Medicamento ha tardado más de tres años en ser financiado después de obtener el CN

0 MM.HH.

Medicamentos financiados en su primera reunión de la CIPM

1 MM.HH.

Medicamento ha acudido a al menos cinco reuniones de la CIPM hasta ser financiado

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos huérfanos financiados en el 2º c. 2026

Medicamentos financiados en 2026 por tipo de condición de financiación

Condiciones de financiación	Número	%
Seguimed	2	100 %
Techo de gasto	1	50 %
Acuerdo precio/volumen	1	50 %
Protocolo de alta complejidad	2	100 %
Valtermed	1	50%

*Un mismo medicamento puede estar sujeto simultáneamente a más de una condición de financiación. Por este motivo, la suma de las diferentes condiciones de financiación no coincide necesariamente con el total de MM.HH. financiados durante 2026.

Fuente: BIFIMED (consultado en septiembre 2026) y actas CIPM (último acta publicado: junio 2026). Acuerdos Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

En caso de discrepancia entre la información recogida en las actas de la CIPM y el BIFIMED, prevalecerá la información contenida en este último.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle criterios y condiciones de los 2 MM.HH. financiados por el SNS en el 2º c. 2026

	Nombre comercial	Compañía	Fecha de CN	Fecha de financiación SNS	Resolución expediente de financiación indicación	Meses desde AC hasta obtención CN	Meses desde CN hasta financiación	Reuniones CIPM	Criterios para la financiación[1]	Condiciones de financiación
1	**ALYFTREK**	Vertex Pharmaceuticals	13/08/2025	01/06/2026	Sí para determinadas indicaciones	1	10	28/04/2026 25/02/2026	a) y c)	• Seguimed • Acuerdo P/V • Protocolo de alta complejidad • Valtermed
2	**MYALEPTA**	Chiesi	06/11/2018	01/08/2026	Sí para determinadas indicaciones	3	94	17/06/2026 25/11/2021 10/06/2021 17/06/2020 28/11/2019	a) y c)	• Seguimed • Protocolo de alta complejidad • Techo de gasto

Fuente: BIFIMED (consultado en septiembre 2026) y actas CIPM (último acta publicado: junio 2026). Acuerdos Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

En caso de discrepancia entre la información recogida en las actas de la CIPM y el BIFIMED, prevalecerá la información contenida en este último.

[1]Criterios para la financiación:

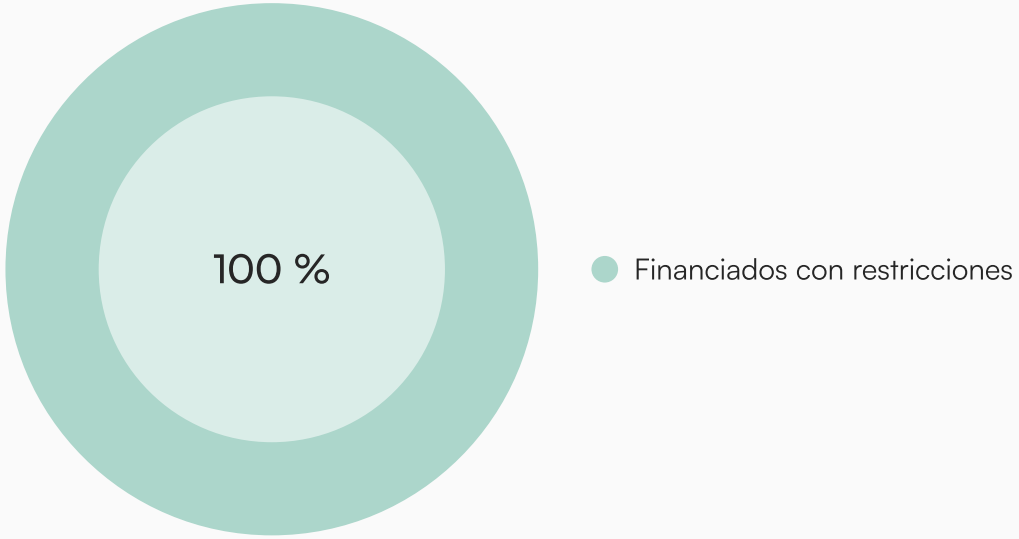
a) Gravedad, duración y secuelas de las distintas patologías para las que resulten indicados.

c) Valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Análisis de los MM.HH. financiados en el 2º c. 2026 por tipo de resolución

Por tipo de resolución



Valores absolutos



De los **2 medicamentos huérfanos financiados** durante el 2º cuatrimestre de 2026, ninguno está financiado de forma completa. Ambos están financiados con algún tipo de restricción.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de indicaciones de los 2 MM.HH. financiados

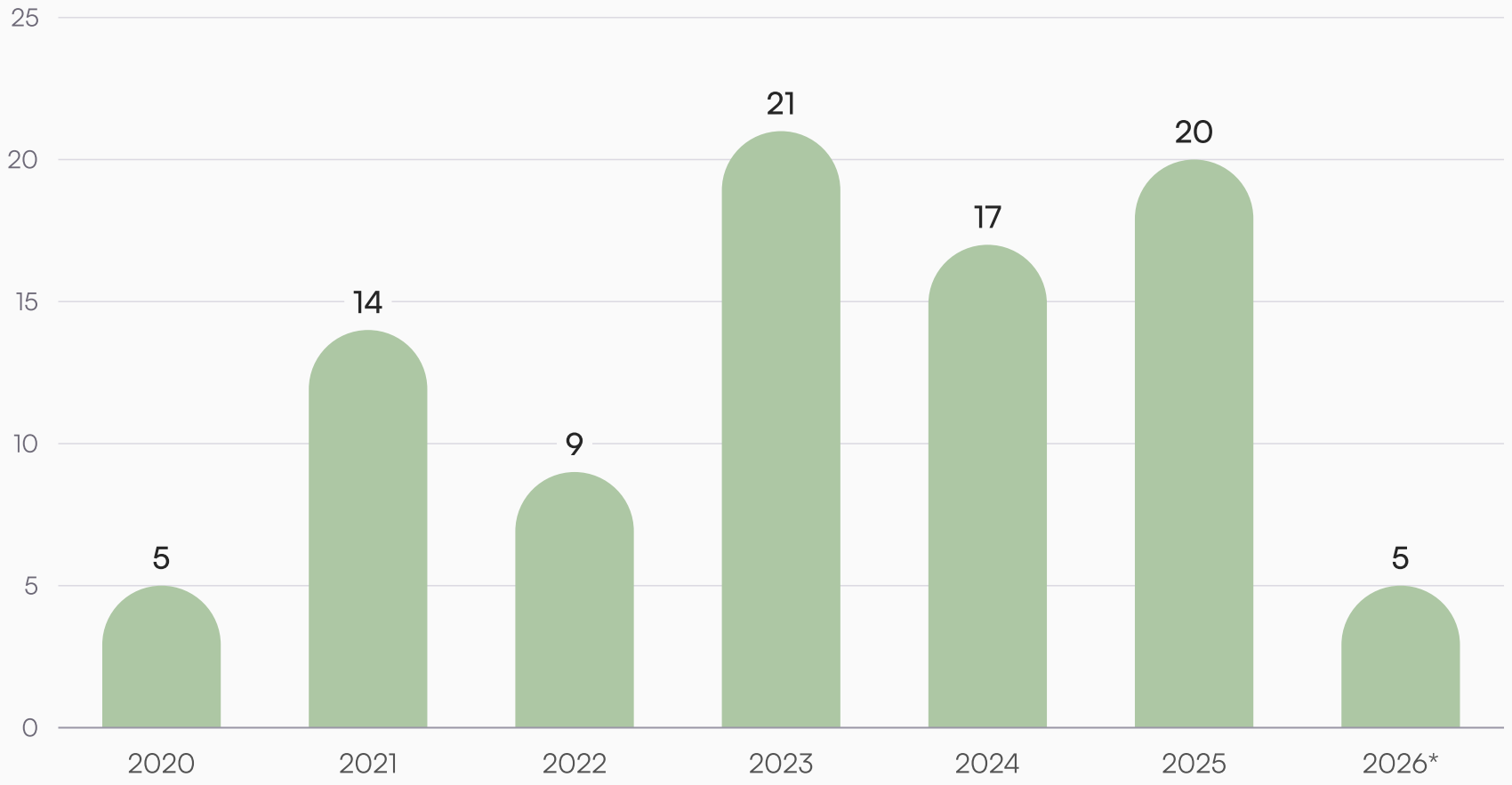
	Nombre comercial	Compañía	Situación de financiación	Resolución expediente de financiación indicación	Indicaciones financiadas (Ministerio de Sanidad)	Indicación EMA
1	**ALYFTREK**	Vertex Pharmaceuticals	Sí para determinadas indicaciones	Sí, con restricción a la indicación autorizada	Alyftrek comprimidos está indicado para el tratamiento de la fibrosis quística (FQ) en personas a partir de 6 años de edad con al menos una mutación que no sea de Clase I en el gen regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística (CFTR). Financiación restringida a tratamiento de la fibrosis quística (FQ) en personas a partir de 6 años de edad y peso igual o superior a 40 kg con al menos una mutación que no sea de Clase I en el gen regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística (CFTR).	Alyftrek comprimidos está indicado para el tratamiento de la fibrosis quística (FQ) en personas de 6 años o más que tienen al menos una mutación no de clase I en el gen regulador de la conductancia transmembrana de fibrosis quística (CFTR)
2	**MYALEPTA**	Chiesi	Sí para determinadas indicaciones	Sí, con restricción a la indicación autorizada	Myalepta está indicado como complemento dietético a modo de tratamiento sustitutivo para tratar las complicaciones derivadas de un déficit de leptina en pacientes con lipodistrofia parcial familiar o lipodistrofia adquirida parcial (síndrome de Barraquer-Simons) confirmadas, en adultos y niños de 12 años o mayores para los cuales los tratamientos habituales no hayan logrado un control Metabolismo adecuado. Se restringe la financiación en las siguientes situaciones: - Puede considerarse una opción de tratamiento en pacientes adultos y pediátricos (mayores de 12 años) con Lipodistrofia Parcial (LP) confirmada y HbA1c mayor o igual a 8% y/o TG mayor o igual a 500 mg/dl, en los que el tratamiento de las complicaciones metabólicas haya fracasado. - No se financia en la Lipodistrofia Parcial Adquirida (Síndrome de Barraquer-Simons).	Myalepta está indicado como un complemento a la dieta como una terapia de reemplazo para tratar las complicaciones de la deficiencia de leptina en pacientes con lipodistrofia (LD): con LD generalizada congénita confirmada (síndrome de Berardinelli-Seip) o LD generalizada adquirida (síndrome de Lawrence) en adultos y niños de 2 años de edad y más con LD parcial familiar confirmado o LD parcial adquirida (síndrome de Barraquer-Simons), en adultos y niños de 12 años de edad y superiores para quienes los tratamientos estándar no han logrado un control Metabolismo adecuado.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Fuente: BIFIMED (consultado en septiembre 2026)

Número de MM.HH. financiados en España 2020-2026*

ES
SNS

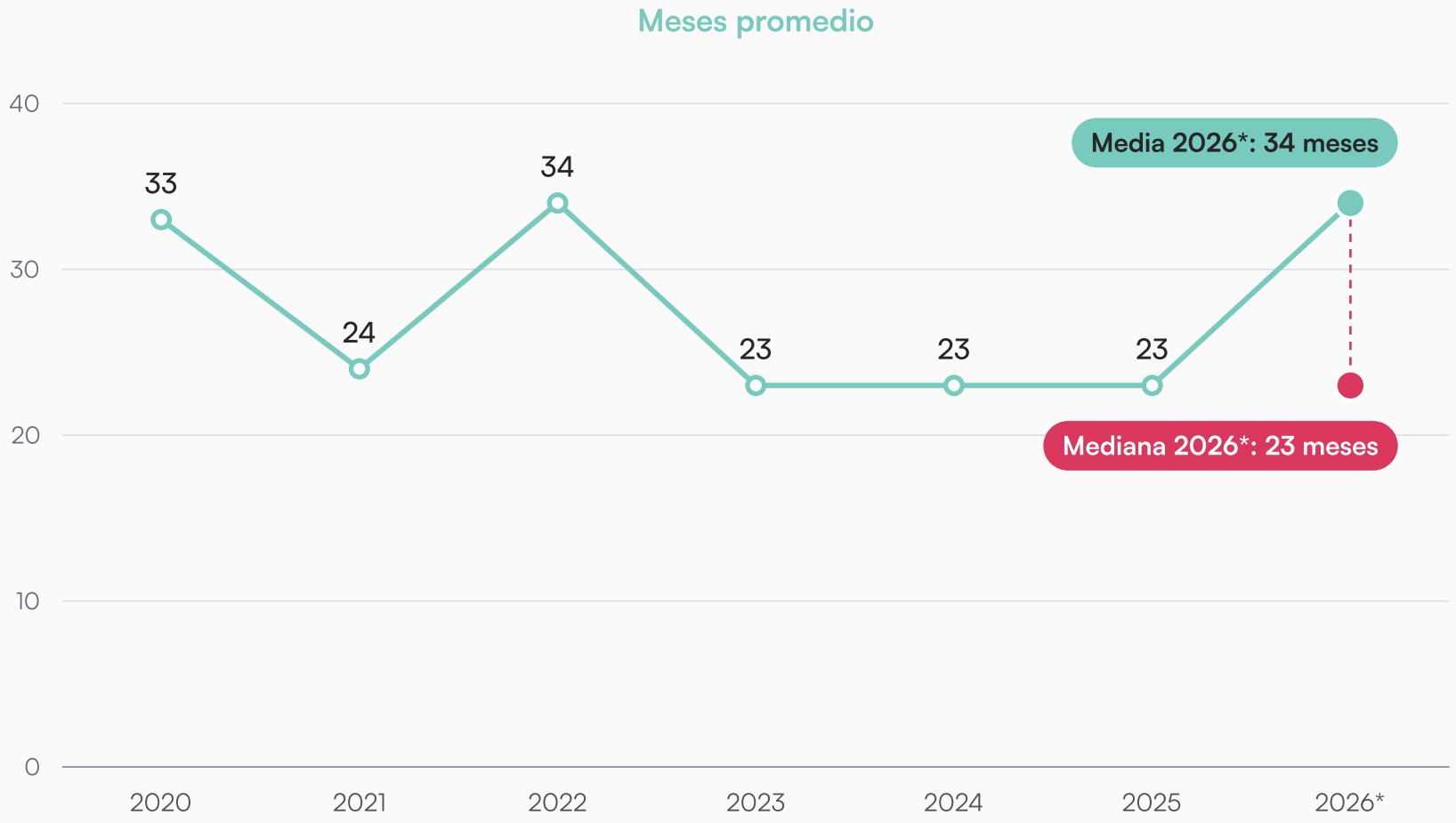


Nota: El gráfico muestra la situación anual de los medicamentos financiados, sin embargo, los datos no son acumulativos de año a año.

*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Tiempo medio de espera desde CN hasta financiación (2020-2026*)



*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU



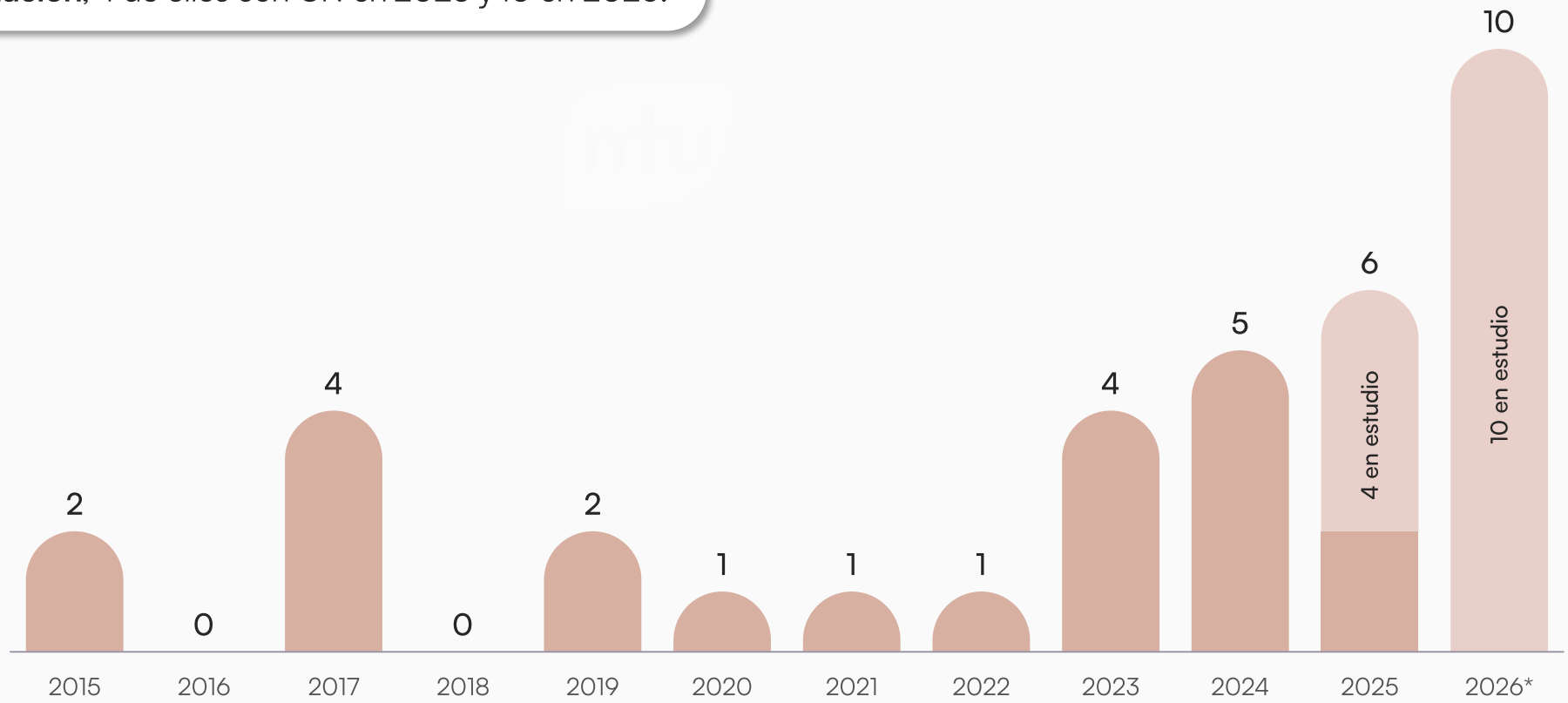
Medicamentos huérfanos

no financiados

MM.HH. no financiados en España por año de CN

36 medicamentos huérfanos sin financiar:

- **22 se encuentran no financiados por resolución.**
- **14 se encuentran en estudio o sin petición de financiación**, 4 de ellos con CN en 2025 y 10 en 2026.



*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. con CN en estudio de financiación

Años de espera para financiación



100 %

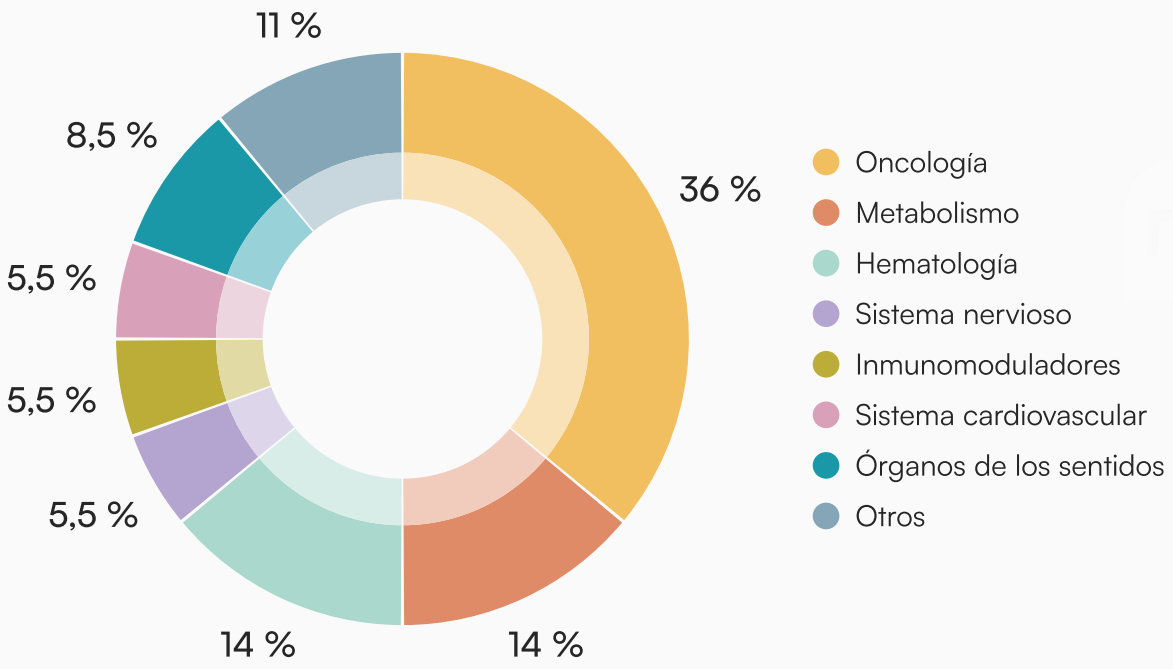
Valores absolutos



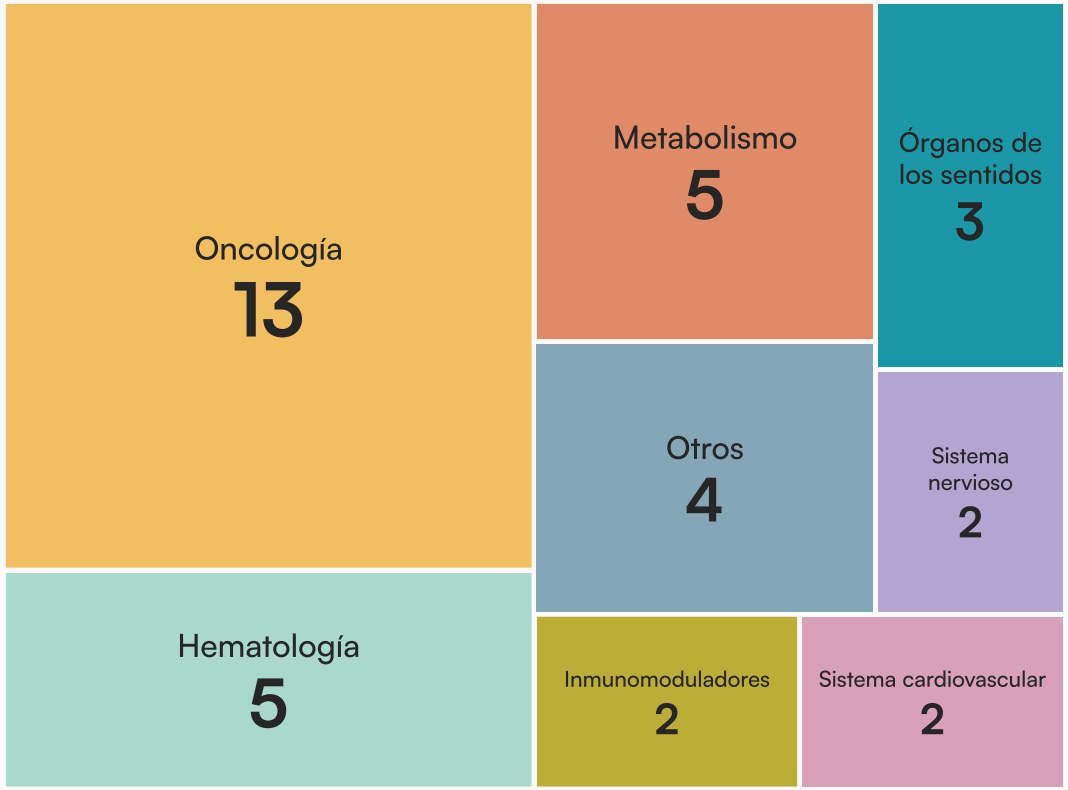
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. con CN pendientes de financiación

Clasificación por área terapéutica



Valores absolutos



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. con CN en 2026* pendientes de financiación

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**EZMEKLY**	Oncología	SpringWorks Therapeutics	18/02/2026	-	-	-	6
2	**IMDYLLTRA**	Oncología	Amgen	29/06/2026	-	-	-	2
3	**OGSIVEO**	Oncología	Springworks Therapeutics	02/01/2026	-	-	-	8
4	**REDEMPLO**	Sistema cardiovascular	Arrowhead Pharmaceuticals	07/07/2026	-	-	-	2
5	**REZUROCK**	Oncología	Sanofi	31/03/2026	-	-	-	5
6	**SEPHIENCE**	Metabolismo	PTC Therapeutics	12/06/2026	-	-	-	3
7	**VORANIGO**	Oncología	Servier	02/01/2026	-	-	-	8
8	**WAYRILZ**	Hematología	Sanofi	17/04/2026	-	-	-	5
9	**ZEPZELCA**	Oncología	PharmaMar	05/06/2026	-	-	-	3
10	**ZYNYZ**	Oncología	Incyte	02/03/2026	-	-	-	6

*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. con CN en 2025 pendientes de financiación

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**ARTESUNATE**	Antiparasitarios	Amivas	14/01/2025	24/09/2025 16/07/2025	01/11/2025	d) y e) d) y e)	20
2	**COAGADEX*** **	Hematología	BPL Bioproducts	31/03/2025	-	01/03/2026	-	17
3	**ENJAYMO**	Inmunomoduladores	Sanofi	29/12/2025	20/05/2026	-	d)	8
4	**ROMVIMZA**	Oncología	Deciphera Pharmaceuticals	26/11/2025	-	-	-	9
5	**TRYNGOLZA**	Sistema cardiovascular	SOBI	06/11/2025	-	-	-	10
6	**VYJUVEK****	Dermatología	Krystal Biotech	24/10/2025	17/06/2026	-	d)	10

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

* La fecha de no financiación indicada en el BIFIMED es la primera fecha de no financiación/ exclusión

**MTA con designación huérfana

*** COAGADEX no ha acudido a ninguna reunión de la CIPM. Aunque ya dispone de una fecha oficial de no financiación, no existen fuentes públicas que permitan conocer el motivo de la decisión.

[1]Criterios para la no financiación:

d) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud.
e) Existencia de medicamentos u otras alternativas terapéuticas para las mismas afecciones a menor precio o inferior coste de tratamiento.

MM.HH. con CN en 2024 pendientes de financiación

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**ADZYNMA**	Hematología	Takeda	30/10/2024	28/01/2026 19/11/2025	01/03/2026	d)	22
2	**CASGEVY****	Hematología	Vertex Pharmaceuticals	01/03/2024	19/11/2025 19/06/2025	01/01/2026	d) d)	30
3	**ELAHERE*****	Oncología	Abbvie	04/12/2024	-	01/03/2026	-	21
4	**VYLOY**	Oncología	Astellas	30/09/2024	28/01/2026 24/09/2025	01/03/2026	d) d) y e)	23
5	**ZTALMY*****	Sistema nervioso	Marinus Pharmaceuticals	18/06/2024	-	01/10/2025	-	27

* La fecha de no financiación indicada en el BIFIMED es la primera fecha de no financiación/ exclusión

**MTA con designación huérfana

*** ELAHERE y ZTALMY no han acudido a ninguna reunión de la CIPM. Aunque ya disponen de una fecha oficial de no financiación, no existen fuentes públicas que permitan conocer el motivo de la decisión.

[1]Criterios para la no financiación:

d) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud.
e) Existencia de medicamentos u otras alternativas terapéuticas para las mismas afecciones a menor precio o inferior coste de tratamiento.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. con CN en 2023 pendientes de financiación

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**EBVALLO****	Otros	Pierre	12/01/2023	25/03/2026 19/11/2025 20/02/2025 20/11/2024	01/04/2025	d) c) y d) c) y d) c) y d)	44
2	**ELZONRIS**	Oncología	Stemline Therapeutics	20/10/2023	29/01/2025 17/07/2024	01/03/2025	c) y d)	35
3	**ROCTAVIAN****	Hematología	BioMarin	03/02/2023	19/06/2024	01/10/2024	c) y d)	44
4	**SOGROYA**	Terapias hormonales	Novo Nordisk	08/11/2023	24/04/2024	01/07/2024	d) y e)	34

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

* La fecha de no financiación indicada en el BIFIMED es la primera fecha de no financiación/ exclusión

**MTA con designación huérfana

[1]Criterios para la no financiación:

c) Valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad.
d) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud.
e) Existencia de medicamentos u otras alternativas terapéuticas para las mismas afecciones a menor precio o inferior coste de tratamiento.

MM.HH. con CN en 2022 pendientes de financiación

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**UPSTAZA****	Sistema nervioso	PTC Therapeutics	22/12/2022	23/11/2023 11/05/2023	01/01/2024	d) d)	45

* La fecha de no financiación indicada en el BIFIMED es la primera fecha de no financiación/ exclusión

**MTA con designación huérfana

[1]Criterios para la no financiación:

d) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. con CN en 2021 pendientes de financiación

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**AMGLIDIA**	Metabolismo	Ammtek	14/01/2021	30/09/2021 08/07/2021	01/12/2021	d) c) y d)	69

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

* La fecha de no financiación indicada en el BIFIMED es la primera fecha de no financiación/ exclusión

[1]Criterios para la no financiación:

c) Valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad.
d) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud.

MM.HH. con CN en 2020 pendientes de financiación

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**DAURISMO**	Oncología	Pfizer	24/07/2020	04/04/2022 16/12/2021	01/06/2022	d) y e) c) y d)	74

* La fecha de no financiación indicada en el BIFIMED es la primera fecha de no financiación/ exclusión

[1]Criterios para la no financiación:

c) Valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad.
d) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud.
e) Existencia de medicamentos u otras alternativas terapéuticas para las mismas afecciones a menor precio o inferior coste de tratamiento.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. con CN en 2019 pendientes de financiación

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**PALYNZIQ**	Metabolismo	BioMarin	16/12/2019	02/06/2022 03/03/2022 10/06/2021	01/10/2021	c) y d) c) c)	82
2	**VERKAZIA**	Inmunomoduladores	Santen Pharmaceutical	08/04/2019	07/04/2021	01/07/2021	d) y e)	90

* La fecha de no financiación indicada en el BIFIMED es la primera fecha de no financiación/ exclusión

[1]Criterios para la no financiación:

c) Valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad.
d) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud.
e) Existencia de medicamentos u otras alternativas terapéuticas para las mismas afecciones a menor precio o inferior coste de tratamiento.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. con CN en 2017 pendientes de financiación

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**CYSTADROPS**	Órganos de los sentidos	Recordati	27/12/2017	05/05/2022 03/03/2022	01/12/2018	e) y d) e) y d)	106
2	**NINLARO**	Oncología	Takeda	06/02/2017	07/04/2021 03/02/2021	01/03/2019	d) d)	116
3	**OXERVATE**	Órganos de los sentidos	Dompe	02/10/2017	-	01/07/2019	-	109
4	**XERMELO**	Metabolismo	SERB	22/12/2017	-	01/06/2018	-	106

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

* La fecha de no financiación indicada en el BIFIMED es la primera fecha de no financiación/ exclusión

[1]Criterios para la no financiación:

d) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud.
e) Existencia de medicamentos u otras alternativas terapéuticas para las mismas afecciones a menor precio o inferior coste de tratamiento.

MM.HH. con CN en 2015 pendientes de financiación

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**HOLOCLAR****	Órganos de los sentidos	Holostem	19/09/2015	-	01/08/2016	-	133
2	**STRENSIQ**	Metabolismo	Alexion	15/10/2015	22/05/2024 20/03/2024	01/07/2018	d) d)	132

* La fecha de no financiación indicada en el BIFIMED es la primera fecha de no financiación/ exclusión

**MTA con designación huérfana. HOLOCLAR no ha acudido a ninguna reunión de la CIPM. Aunque ya dispone de una fecha oficial de no financiación, no existen fuentes públicas que permitan conocer el motivo de la decisión.

[1]Criterios para la no financiación:

d) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud.

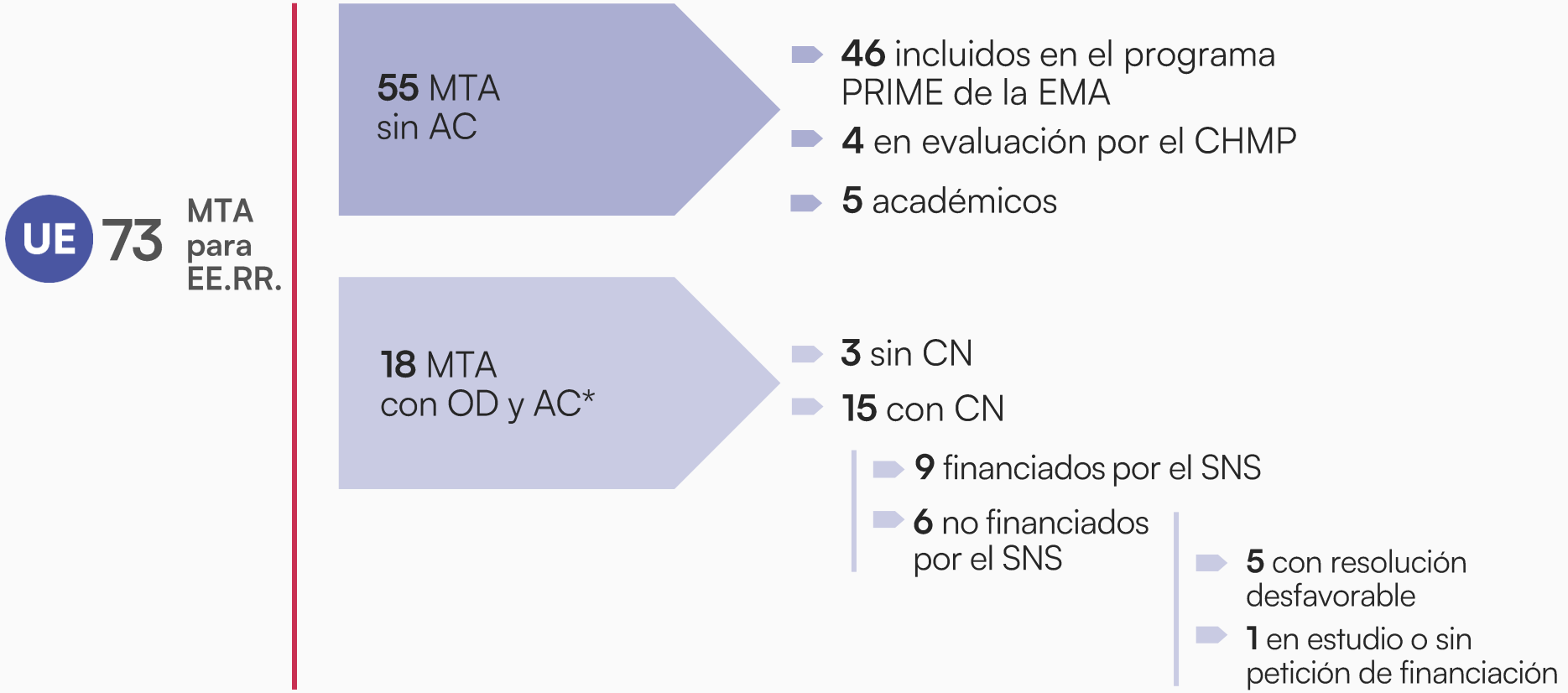
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos de terapia avanzada (MTA)

para enfermedades raras



Medicamentos de terapia avanzada (MTA) para enfermedades raras



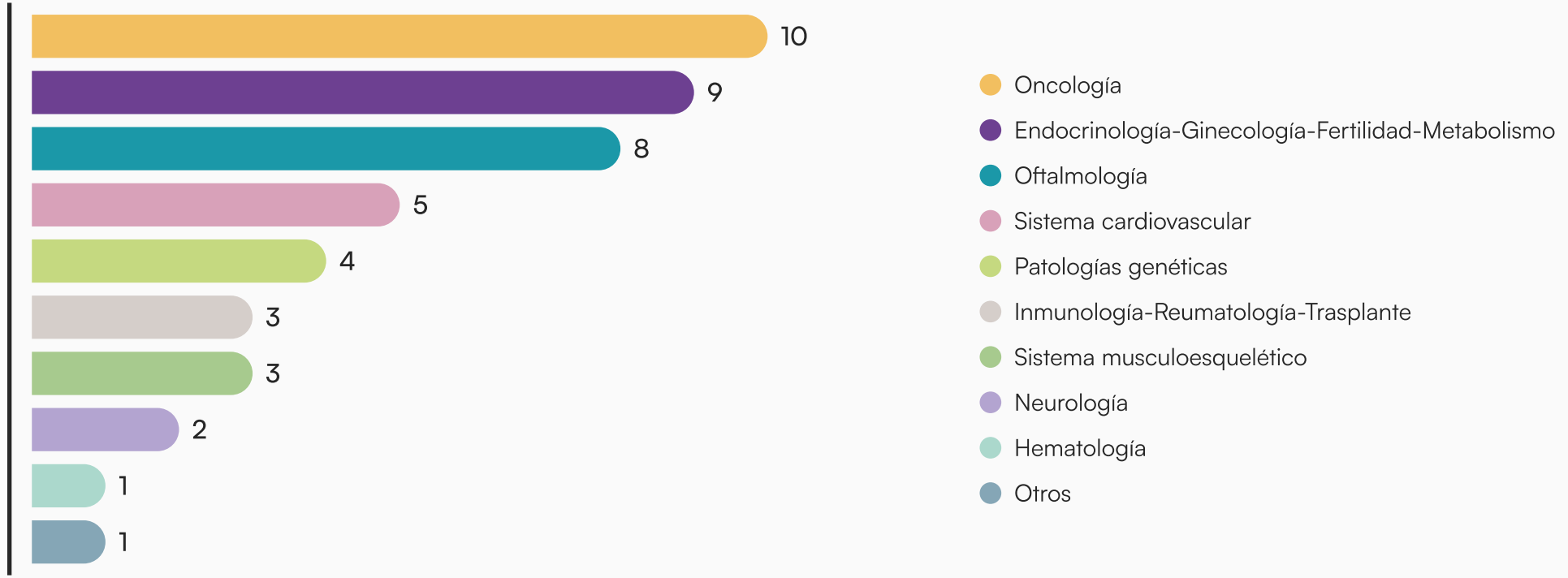
*Los 18 medicamentos de terapia avanzada con OD y AC estarían incluidos en la totalidad de 231 MM.HH. con OD y en los 164 MM.HH. con AC, ya que son MTA con nombre comercial.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MTA para EE. RR. incluidos en el programa PRIME de la EMA

46
UE

Clasificación por área terapéutica



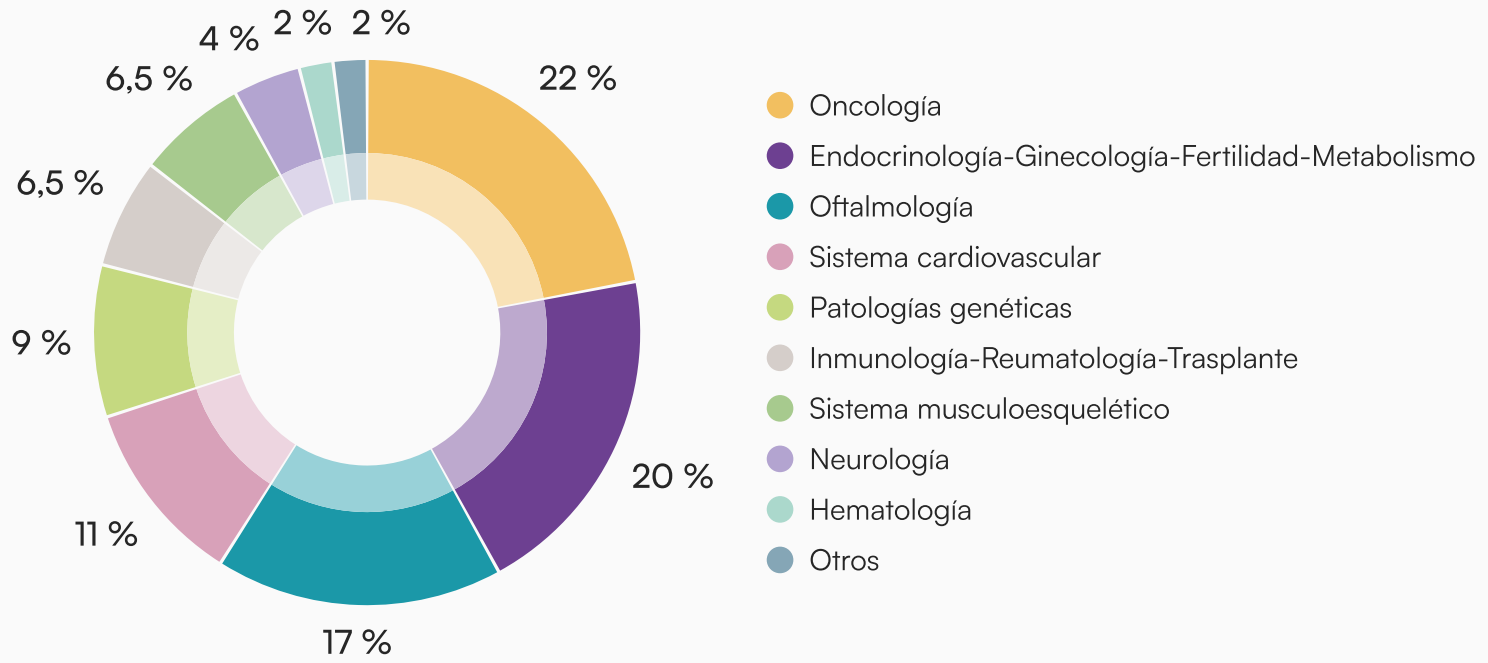
El programa PRIME está destinado a apoyar el desarrollo de medicamentos que se dirigen a una **necesidad médica no cubierta.** Este plan voluntario se basa en una mayor interacción y un diálogo temprano con las compañías de medicamentos innovadores para que **estas terapias puedan llegar antes a los pacientes.**

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MTA para EE. RR. incluidos en el programa PRIME de la EMA

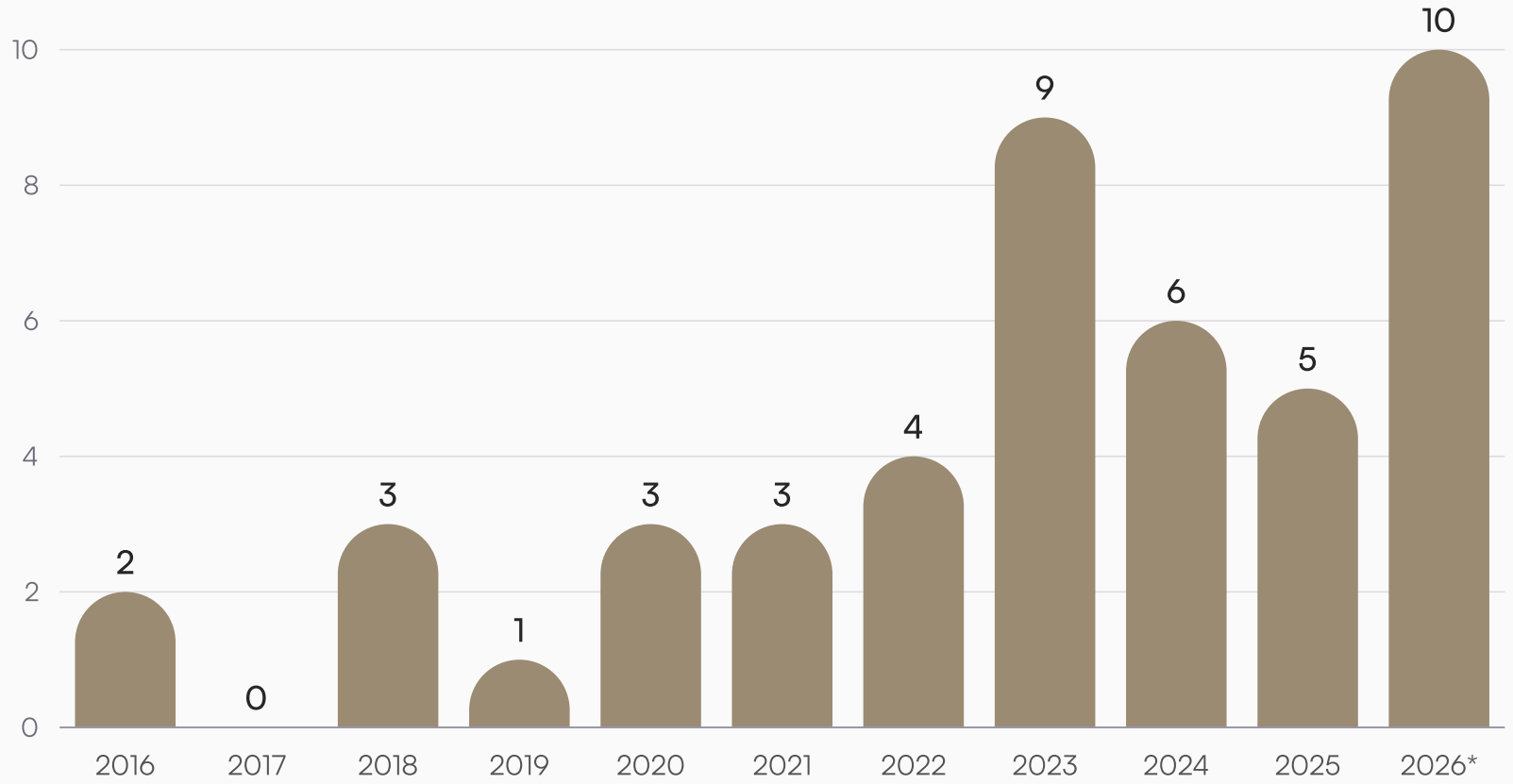
46
UE

Clasificación por área terapéutica



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MTA para EE. RR. incluidos en el programa PRIME de la EMA (2016-2026*)



En el gráfico se indica el año de incorporación de cada MTA al programa PRIME.

*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los MTA en evaluación por el CHMP

	Nombre	Compañía	Área terapéutica	Indicación terapéutica	Inicio de la evaluación
1	**Bilayer engineered skin composed of autologous keratinocytes and allogeneic fibroblasts embedded in an allogeneic plasma matrix**	Voisin Consulting	Dermatología	Tratamiento de adultos y niños con quemaduras dérmicas de profundidad parcial y total.	16/07/2026
2	**Lunsotogene parvec**	Regeneron	Órganos de los sentidos	Tratamiento de la pérdida auditiva asociada a variantes bialélicas del gen OTOF en adultos y niños	21/05/2026
3	**Zamtocabtagene autoleucel**	Miltenyi Biomedicine	Oncología	Tratamiento de neoplasias de células B maduras	26/03/2026
4	**Zopapogene imadenovec**	FGK Representative Services GmbH	Sistema respiratorio	Tratamiento de la papilomatosis respiratoria en adultos	27/11/2025

*Este medicamento está autorizado por la EMA desde 2020, pero vuelve a aparecer en evaluación en el CHMP a fecha de 22/05/2025.

Denominación común internacional (DCI)/ nombre común.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los MTA académicos*

	Nombre	Área terapéutica	Titular de la autorización de uso	Fecha autorización de uso
1	**ARI-0001 Dispersión para perfusión que contiene 0,1-1×10⁶ células/kg — Hospital Clínic de Barcelona**	Oncología	Hospital Clínic de Barcelona	01/02/2021
2	**ARI0002H 13,5-720 X 10e6 Células dispersión para perfusión**	Oncología	Hospital Clínic de Barcelona	08/08/2024
3	**CEMTROCELL 50.000 células/microlitro — Suspensión para implantación**	Sistema musculoesquelético	Clínica Cemtro S.A.	31/10/2023
4	**NC1- Suspensión celular en plasma autólogo 100-300×106 células — Hospital Universitario Puerta de Hierro Majadahonda, 1 jeringa precargada**	Sistema nervioso	Hospital Universitario Puerta de Hierro Majadahonda	31/01/2019
5	**Piel humana obtenida por ingeniería de tejidos 1,0-1,5 x 106 / 1,5-3,0 x 106 células / lámina apósito impregnado**	Dermatología	Hospital Universitario Virgen del Rocio — Sevilla	06/06/2024

*En esta diapositiva se muestran las autorizaciones de uso de medicamentos de terapia avanzada concedidas por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios al amparo del Real Decreto 477/2014, de 13 de junio, por el que se regula la autorización de medicamentos de terapia avanzada de fabricación no industrial

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de aprobación de los 18 MTA con OD y AC

18 MTA

Tipo de aprobación de MTA con OD y AC*



- Aprobación estándar
- Aprobado bajo Circunstancias Excepcionales
- Aprobación Condicional

Condiciones especiales de aprobación de MTA con OD y AC*



- Seguimiento Adicional

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

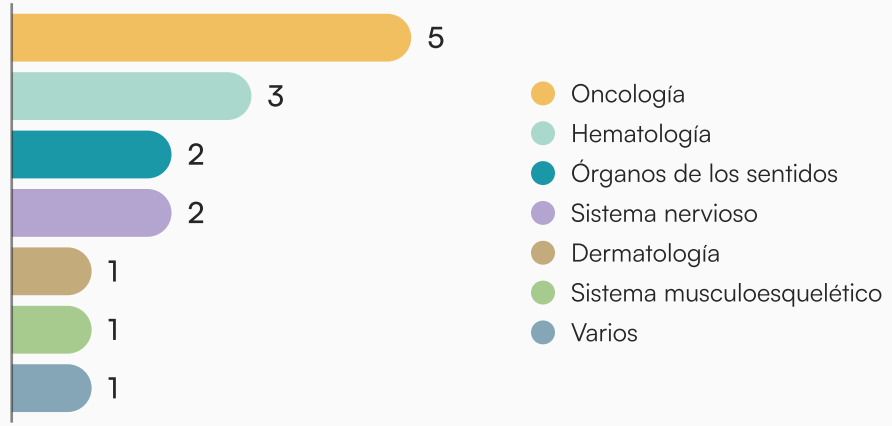
*Los 18 medicamentos de terapia avanzada con OD y AC estarían incluidos en la totalidad de 231 MM.HH. con OD y en los 164 MM.HH. con AC, ya que son MTA con nombre comercial.

Clasificación de los 18 MTA con OD y AC por área terapéutica

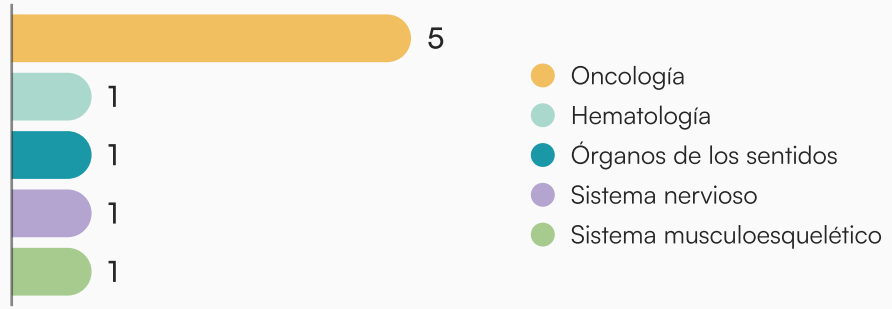
Terapias avanzadas con designación huérfana con AC por área terapéutica



Terapias avanzadas con designación huérfana con CN por área terapéutica



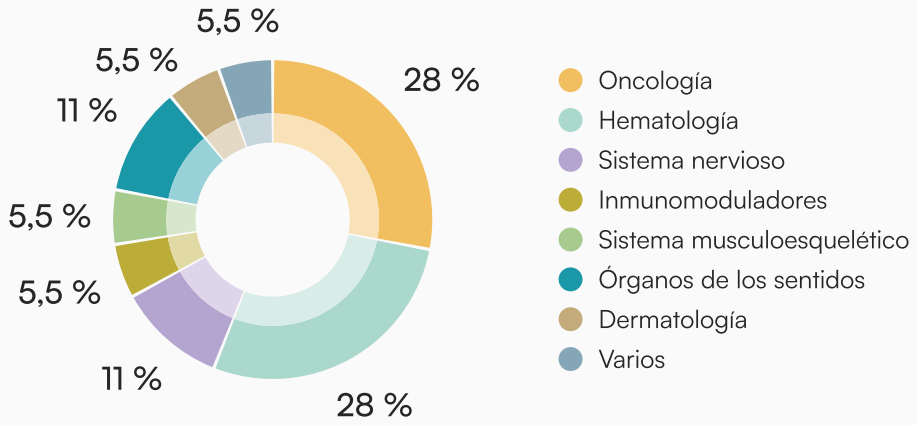
Terapias avanzadas con designación huérfana financiadas por el SNS por área terapéutica



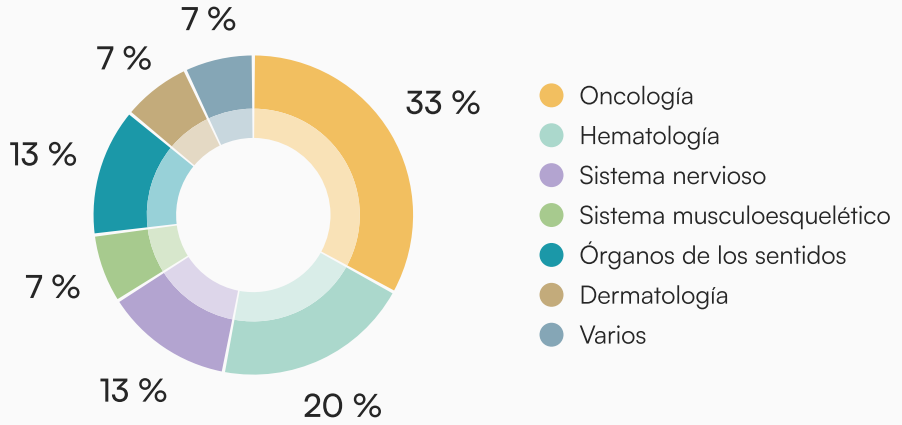
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Clasificación de los 18 MTA con OD y AC por área terapéutica

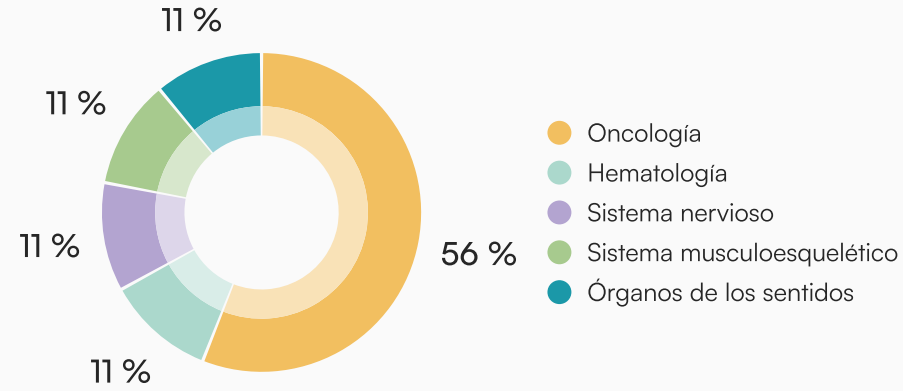
UE Terapias avanzadas con designación huérfana con AC por área terapéutica



ES Terapias avanzadas con designación huérfana con CN por área terapéutica



ES Terapias avanzadas con designación huérfana financiadas por el SNS por área terapéutica



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los 18 MTA con OD y AC (1/6)

	Nombre comercial	Área terapéutica	Indicación terapéutica	Compañía	Fecha AC	Fecha CN	Estado/fecha de financiación SNS
1	**ABECMA**	Oncología	Tratamiento de pacientes adultos con mieloma múltiple recidivante y refractario que han recibido al menos dos terapias previas, incluyendo un agente inmunomodulador, un inhibidor del proteasoma y un anticuerpo anti CD38 y han demostrado progresión de la enfermedad en la última terapia.	Bristol Myers Squibb	18/08/2021	20/01/2022	Financiado 01/03/2024
2	**CARVYKTI**	Oncología	Tratamiento de pacientes adultos con mieloma múltiple recidivante y refractario, que han recibido al menos un tratamiento previo, incluyendo un agente inmunomodulador y un inhibidor del proteasoma, que han demostrado progresión de la enfermedad en el último tratamiento, y que son retratados a la lenalidomida.	Janssen-Cilag	25/05/2022	07/06/2022	Financiado 01/04/2025
3	**CASGEVY**	Hematología	• Tratamiento de la talasemia β dependiente de transfusiones (TDT) en pacientes de 12 años o más para los que el trasplante de células madre hematopoyéticas (HSC) es apropiado y no se dispone de un donante de HSC relacionado compatible con el antígeno leucocitario humano (HLA). • Tratamiento de la enfermedad de células falciformes (MSC) grave en pacientes de 12 años de edad o más con crisis vasooclusivas (COV) recurrentes para quienes el trasplante de células madre hematopoyéticas (HSC) es apropiado y no se dispone de un donante de HSC relacionado compatible con el antígeno leucocitario humano (HLA).	Vertex Pharmaceuticals	09/02/2024	01/03/2024	No financiado por resolución 01/01/2026

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los 18 MTA con OD y AC (2/6)

	Nombre comercial	Área terapéutica	Indicación terapéutica	Compañía	Fecha AC	Fecha CN	Estado/fecha de financiación SNS
4	**EBVALLO**	Otros	Como monoterapia para el tratamiento de pacientes adultos y pediátricos de 2 años o más con enfermedad linfoproliferativa postrasplante positiva para el virus de Epstein-Barr en recaída o refractaria (VEB+ PTLD) que hayan recibido al menos un tratamiento previo. Para los pacientes con trasplante de órgano sólido, el tratamiento previo incluye quimioterapia, a menos que la quimioterapia sea inapropiada.	Pierre Fabre	16/12/2022	12/01/2023	No financiado por resolución 01/04/2025
5	**HEMGENIX**	Hematología	Tratamiento de la hemofilia B grave y moderadamente grave en pacientes adultos sin antecedentes de inhibidores del factor IX.	CSL Behring	20/02/2023	15/03/2023	Financiado 01/11/2024
6	**HOLOCLAR**	Órganos de los sentidos	Tratamiento de pacientes adultos con deficiencia de células madre limbares (trastorno definido por la presencia de neovascularización superficial de la córnea en al menos dos cuadrantes corneales, con involucramiento corneal central y grave deterioro de la agudeza visual) de moderada a grave, unilateral o bilateral, debida a quemaduras oculares por agentes físicos o químicos. Se requiere un mínimo de 1 a 2 mm2 de limbo sano para la biopsia.	Holostem	17/02/2015	19/09/2015	No financiado por resolución 01/08/2016

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los 18 MTA con OD y AC (3/6)

	Nombre comercial	Área terapéutica	Indicación terapéutica	Compañía	Fecha AC	Fecha CN	Estado/fecha de financiación SNS
7	**KYMRIAH**	Oncología	• Pacientes pediátricos y adultos jóvenes de hasta 25 años de edad con leucemia linfoblástica aguda (LLA) de células B refractaria, en recaída post-trasplante o en segunda recaída o recaída posterior. • Pacientes adultos con linfoma difuso de células B grandes (DLBCL) en recaída o resistente al tratamiento después de dos o más líneas de terapia sistémica. • Pacientes adultos con linfoma folicular (FL) recidivante o refractario después de dos o más líneas de terapia sistémica.	Novartis	23/08/2018	17/09/2018	Financiado 01/01/2019
8	**LIBMELDY**	Sistema nervioso	Tratamiento de la leucodistrofia metacromática (MLD) caracterizada por mutaciones bialélicas en el gen de la arisulfatasa A (ARSA) que conducen a una reducción de la actividad enzimática de ARSA: en niños con formas infantiles tardías o juveniles tempranas, sin manifestaciones clínicas de la enfermedad, en niños con la forma juvenil temprana, con manifestaciones clínicas tempranas de la enfermedad, que todavía tienen la capacidad de caminar de forma independiente y antes de la aparición del deterioro cognitivo.	Orchard Therapeutics	17/12/2020	19/10/2021	Financiado 01/01/2025
9	**LUXTURNA**	Órgano de los sentidos	Tratamiento de pacientes adultos y pediátricos con pérdida de visión debido a la distrofia hereditaria de la retina causada por mutaciones bialélicas confirmadas en RPE65 y que tienen suficientes células de retina viables.	Novartis	22/11/2018	02/04/2019	Financiado 01/05/2021

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los 18 MTA con OD y AC (4/6)

	Nombre comercial	Área terapéutica	Indicación terapéutica	Compañía	Fecha AC	Fecha CN	Estado/fecha de financiación SNS
10	**ROCTAVIAN**	Hematología	Tratamiento de la hemofilia A grave en pacientes adultos sin antecedentes de inhibidores del factor VIII y sin anticuerpos detectables frente al virus adenoasociado serotipo 5 (AAV5).	BioMarin	24/08/2022	03/02/2023	No financiado por resolución 01/10/2024
11	**STRIMVELIS**	Inmunomoduladores	Tratamiento de pacientes con inmunodeficiencia combinada grave debida a la deficiencia de adenosina desaminasa (ADA-SCID), para los que no se dispone de un donante de células madre emparentadas compatible con el antígeno leucocitario humano (HLA) adecuado.	Fondazione Telethon	26/05/2016	No CN	-
12	**TECARTUS**	Oncología	• Tratamiento de pacientes adultos con linfoma de células del manto (LCM) recidivante o refractario después de dos o más líneas de terapia sistémica, incluido un inhibidor de la tirosina cinasa de Bruton (BTK). • Tratamiento de pacientes adultos mayores de 26 años con leucemia linfoblástica aguda (LLA) precursora de células B en recaída o refractaria.	Gilead	14/12/2020	28/12/2020	Financiado 01/02/2024

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los 18 MTA con OD y AC (5/6)

	Nombre comercial	Área terapéutica	Indicación terapéutica	Compañía	Fecha AC	Fecha CN	Estado/fecha de financiación SNS
13	**UPSTAZA**	Sistema nervioso	Tratamiento de pacientes a partir de los 18 meses de edad con un diagnóstico clínico, molecular y genéticamente confirmado de deficiencia de L aminoácido aromático descarboxilasa (AADC) con un fenotipo grave.	PTC Therapeutics	18/07/2022	22/12/2022	No financiado por resolución 01/01/2024
14	**VUJYVEK**	Dermatología	Tratamiento de heridas en pacientes con epidermólisis distrófica bullosa (DEB) con mutaciones en el gen del colágeno tipo VII alfa cadena 1 (COL7A1).	Krystal Biotech	23/04/2025	24/10/2025	Estudio o sin petición de financiación
15	**WASKYRA**	Hematología	Waskyra está indicado para el tratamiento de pacientes de 6 meses de edad con síndrome de Wiskott-Aldrich (WAS) que tienen una mutación en el gen WAS para los que el trasplante de células madre hematopoyéticas (HSC) es apropiado y no está disponible un donante de células madre hematopoyéticas relacionado con el antígeno leucocitario humano (HLA) adecuado.	Fondazione Telethon	09/01/2026	No CN	-

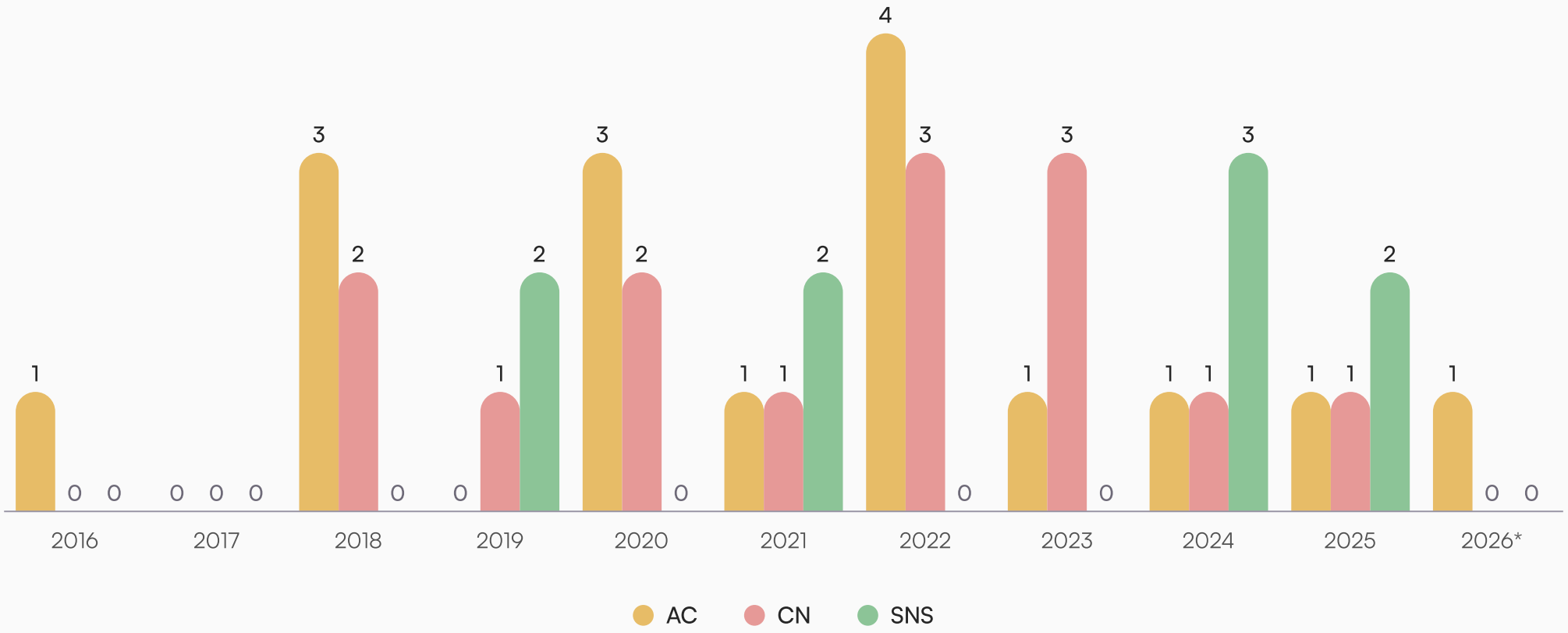
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los 18 MTA con OD y AC (6/6)

	Nombre comercial	Área terapéutica	Indicación terapéutica	Compañía	Fecha AC	Fecha CN	Estado/fecha de financiación SNS
16	**YESCARTA**	Oncología	• Tratamiento de pacientes adultos con linfoma difuso de células B grandes (DLBCL) y linfoma de células B de alto grado (HGBL) que recae dentro de los 12 meses posteriores a la finalización de la quimioinmunoterapia de primera línea o es refractario a ella. • Tratamiento de pacientes adultos con DLBCL recidivante o refractario (r/r) y linfoma mediastínico primario de células B grandes (PMBCL), después de dos o más líneas de terapia sistémica. • Tratamiento de pacientes adultos con linfoma folicular (FL) r/r después de tres o más líneas de terapia sistémica.	Gilead	23/08/2018	06/09/2018	Financiado 01/07/2019
17	**ZEMCELPRO**	Hematología	Tratamiento de pacientes adultos con neoplasias malignas hematológicas que requieren un trasplante de células madre hematopoyéticas alogénicas después del acondicionamiento mieloablativo para el que no se dispone de otro tipo de células donantes adecuadas.	Cordex	25/08/2025	No CN	-
18	**ZOLGENSMA**	Sistema musculoesquelético	Tratamiento de pacientes con atrofia muscular espinal (AME) 5q con una mutación bialélica en el gen SMN1 y diagnóstico clínico de AME tipo 1, o pacientes con AME 5q con una mutación bialélica en el gen SMN1 y hasta 3 copias del gen SMN2.	Novartis	18/05/2020	28/07/2020	Financiado 01/12/2021

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Evolución de los MTA por año (2016-2026*)



Nota: El gráfico muestra la situación de las terapias avanzadas año a año por indicadores (AC, CN y financiadas en el SNS), los datos no son acumulativos de año a año.
Los medicamentos contabilizados en cada categoría (AC, CN, SNS) en el mismo año no tienen por qué corresponder a la misma terapia.

*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos de terapia avanzada financiados

A fecha 31 de agosto de 2026, hay **9 MTA financiados:**

4 meses

Tiempo promedio desde la AC hasta la obtención de CN

< 1 mes

Mediana de tiempo desde la AC hasta la obtención de CN

20 meses

Tiempo promedio desde el CN hasta la financiación por el SNS

25 meses

Mediana de tiempo desde el CN hasta la financiación por el SNS

100 % Aprobados con condiciones de financiación por el SNS

100 % Sometidos a seguimiento a través del procedimiento informático SEGUIMED

89 % Sometidos a cumplimentar el protocolo farmacoclínico a través de VALTERMED

Nota: Todos los MTA analizados en esta diapositiva tienen OD vigente.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los 9 MTA financiados (1/2)

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha financiación SNS	Meses desde CN hasta financiación	Reuniones CIPM	Criterios para la financiación[1]	Precio de financiación notificado	Condiciones de financiación
1	**ABECMA**	Oncología	Bristol Myers Squibb	01/03/2024	26	13/12/2023 20/09/2023	a) y c) -	350.000,0 €	• Seguimed • Valtermed • Riesgo compartido/pago por resultados • Protocolo farmacoclínico
2	**CARVYKTI**	Oncología	Janssen-Cilag	01/04/2025	34	26/02/2025 29/01/2024 20/09/2023	a) y c) - -	420.000,0€	• Seguimed • Riesgo compartido/pago por resultados • Umbral de ventas
3	**HEMGENIX**	Hematología	CSL Behring	01/11/2024	20	26/09/2024 24/04/2024 20/09/2023	a) y c) - -	2.800.000,0 €	• Seguimed • Valtermed • Riesgo compartido/pago por resultados • Umbral de ventas
4	**KYMRIAH**	Oncología	Novartis	01/01/2019	4	04/03/2020	Artículo 96.2	320.000,0 €	• Seguimed • Valtermed • Riesgo compartido/pago por resultados • Protocolo farmacoclínico • Suministro a pacientes sin coste • Registro de pacientes • Suministro por ventas o edad
5	**LIBMELDY**	Sistema nervioso	Orchard Therapeutics	01/01/2025	39	20/11/2024 26/09/2024 15/06/2023 02/03/2023	a) y c) - - -	2.875.000,0 €	• Seguimed • Valtermed • Techo de gasto • Riesgo compartido/pago por resultados

Nota: Todos los MTA analizados en esta diapositiva tienen OD vigente.
Fuente: BIFIMED (consultado en septiembre 2026) y actas CIPM (última acta publicada: julio 2026). Acuerdos Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos
En caso de discrepancia entre la información recogida en las actas de la CIPM y el BIFIMED, prevalecerá la información contenida en este último.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los 9 MTA financiados (2/2)

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha financiación SNS	Meses desde CN hasta financiación	Reuniones CIPM	Criterios para la financiación[1]	Precio de financiación notificado	Condiciones de financiación
6	**LUXTURNA**	Órganos de los sentidos	Novartis	01/05/2021	25	17/12/2020	a) y c)	345.000,0 €	• Seguimed • Valtermed • Techo de gasto • Protocolo farmacoclínico
7	**TECARTUS**	Oncología	Gilead	01/02/2024	38	23/12/2023 04/04/2022 16/12/2021	a) y c) - -	360.000,0 €	• Seguimed • Valtermed • Riesgo compartido/pago por resultados • Protocolo farmacoclínico • Devolución diferencia PVL y MSE
8	**YESCARTA**	Oncología	Gilead	01/07/2019	10	29/01/2024 23/11/2023	a) y c) -	327.000,0 €	• Seguimed • Valtermed • Riesgo compartido/pago por resultados • Protocolo farmacoclínico • Suministro a pacientes sin coste • Contabilidad nº de pacientes
9	**ZOLGENSMA**	Sistema musculo-esquelético	Novartis	01/12/2021	16	07/04/2021	a) y c)	1.945.000,0 €	• Seguimed • Valtermed • Riesgo compartido/pago por resultados • Protocolo farmacoclínico • Acuerdo precio/volumen

Nota: Todos los MTA analizados en esta diapositiva tienen OD vigente.

Fuente: BIFIMED (consultado en septiembre 2026) y actas CIPM (última acta publicada: julio 2026). Acuerdos Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos

En caso de discrepancia entre la información recogida en las actas de la CIPM y el BIFIMED, prevalecerá la información contenida en este último.

[1]Criterios para la financiación:

a) Gravedad, duración y secuelas de las distintas patologías para las que resulten indicados.
c) Valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad
Artículo 96.2 de la Ley de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los MTA con resolución desfavorable de financiación

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Resolución desfavorable CIPM	Fecha de no financiación SNS	Motivos de no financiación[1]
1	**CASGEVY**	Hematología	Vertex Pharmaceuticals	19/11/2025 19/06/2025	01/01/2026	d)
2	**EBVALLO**	Otros	Pierre Fabre	19/11/2025 26/02/2025 20/11/2024	01/04/2025	c) y d)
3	**HOLOCLAR**	Órganos de los sentidos	Holostem	-	01/08/2016	-
4	**ROCTAVIAN**	Hematología	BioMarin	19/07/2024	01/10/2024	c) y d)
5	**UPSTAZA**	Sistema nervioso	PTC Therapeutics	23/11/2023 11/05/2023	01/01/2024	d)

Nota: Todos los MTA analizados en esta diapositiva tienen OD vigente.
Fuente: BIFIMED (consultado en septiembre 2026) y actas CIPM (última acta publicada: marzo 2026). Acuerdos Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos En caso de discrepancia entre la información recogida en las actas de la CIPM y el BIFIMED, prevalecerá la información contenida en este último.

[1]Motivos de no financiación:

c) Valor terapéutico y social del medicamento y beneficio clínico incremental del mismo teniendo en cuenta su relación coste-efectividad.
d) Racionalización del gasto público destinado a prestación farmacéutica e impacto presupuestario en el Sistema Nacional de Salud.

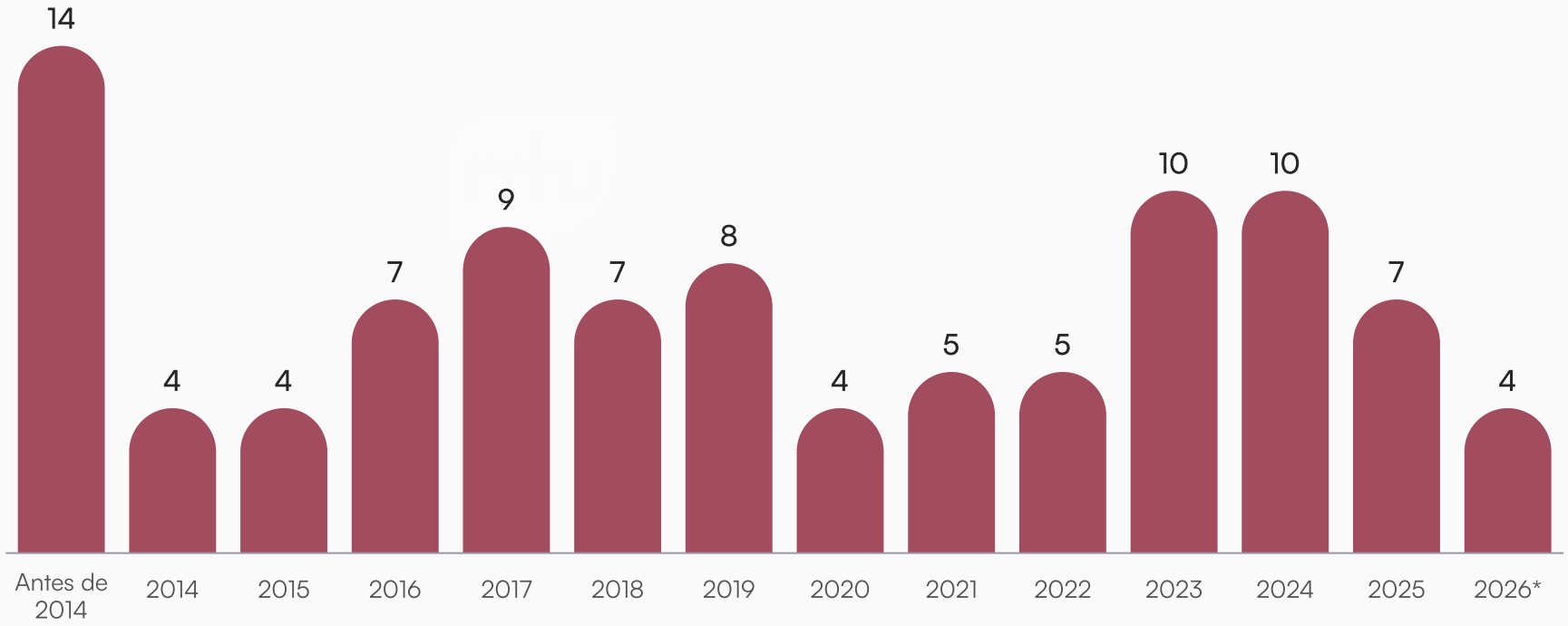
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU


Medicamentos indicados para EE. RR.
que han perdido la designación huérfana

Medicamentos financiados para EE. RR. que han perdido la OD

98 medicamentos indicados para enfermedades raras, que han perdido la designación huérfana entre 2008 y 2026*, **siguen financiados por el SNS**

Número de medicamentos financiados para enfermedades raras por el año de pérdida de la OD



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

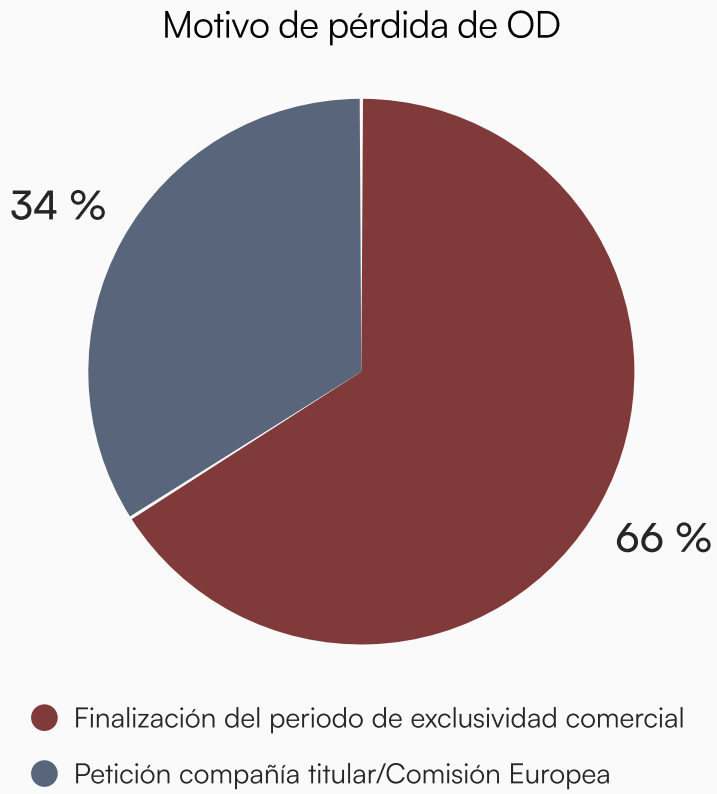
Fuente: Los medicamentos que han perdido la designación huérfana entre 2008 y 2020 se han obtenido del análisis de Orphanet "List of medicinal products for rare diseases in Europe, August 2021". Este listado ha sido completado con los medicamentos que han perdido la designación huérfana en 2021, 2022, 2023, 2024, 2025 y 2026.

*Datos acumulados hasta 31 de agosto de 2026.

Medicamentos financiados para EE. RR. que han perdido la OD

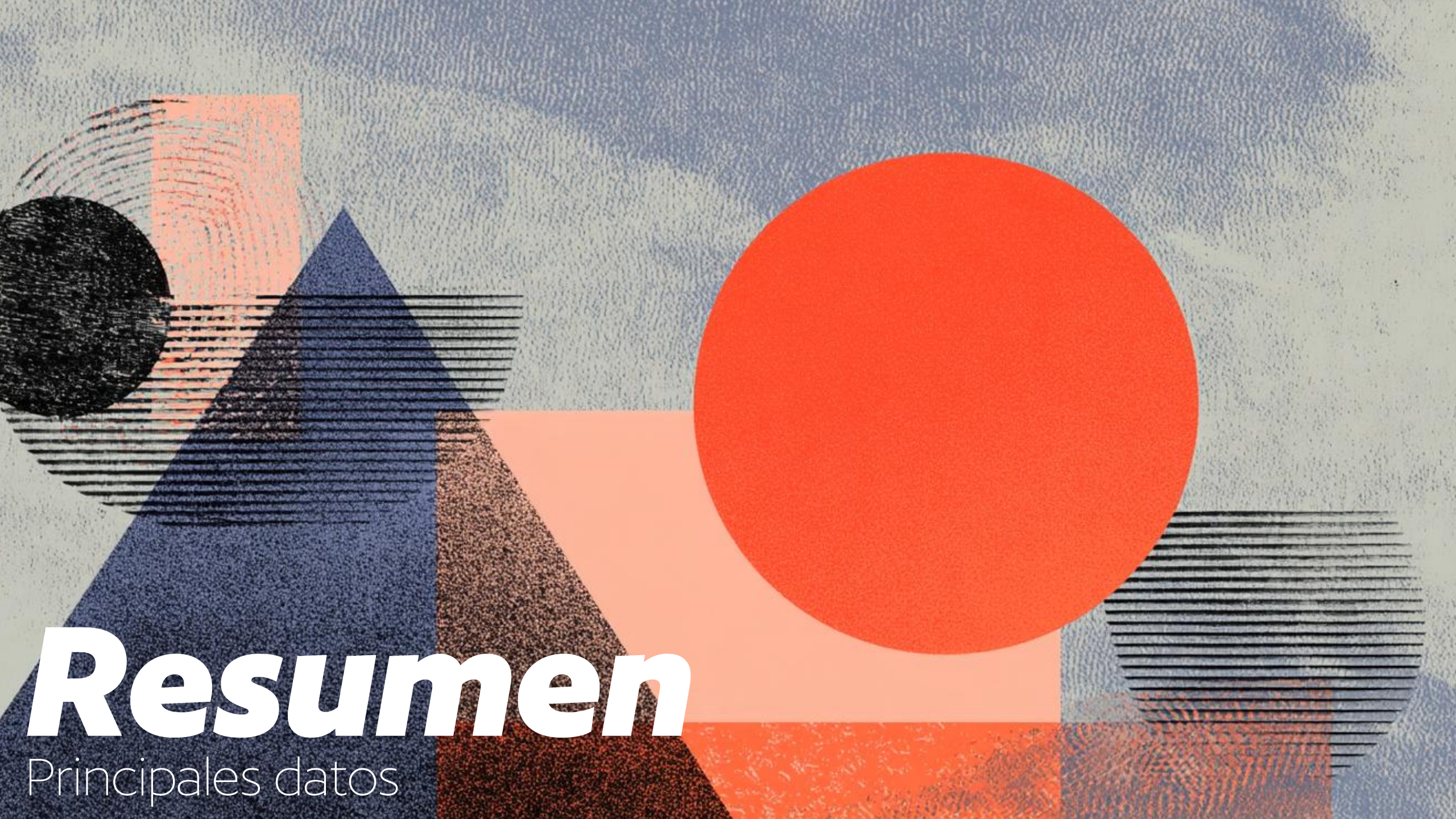
De los **98** medicamentos indicados para enfermedades raras que han perdido la designación huérfana, pero siguen financiados por el SNS:

- **34 %** (33) han perdido la designación huérfana a **petición de la compañía titular o a una decisión de la comisión europea.**
- **66 %** (65) fue debido a la **finalización del periodo establecido de exclusividad** comercial.



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Fuente: Los medicamentos que han perdido la designación huérfana entre 2008 y 2020 se han obtenido del análisis de Orphanet "List of medicinal products for rare diseases in Europe, August 2021". Este listado ha sido completado con los medicamentos que han perdido la designación huérfana en 2021, 2022, 2023, 2024, 2025 y 2026.



Resumen

Principales datos

01 Durante el segundo cuatrimestre de 2026:

- **6** nuevos medicamentos con **designación huérfana** y nombre comercial.
- **6** medicamentos huérfanos han obtenido **autorización de comercialización** en la UE.
- **4** medicamentos huérfanos han obtenido **Código Nacional**.
- **2** medicamentos huérfanos han sido **financiados** por el Sistema Nacional de Salud.

02 A fecha de 31 de agosto de 2026, hay un total de:

- **231** medicamentos con **designación huérfana** y nombre comercial.
- **164** cuenta con **autorización de comercialización** en la UE.
- **141** tienen **Código Nacional** en España (CN), un 86 % de los que tienen AC.
- **105 están financiados por el SNS**, lo que representa un 64 % de los productos con AC y un 74 % de los que tienen CN.

03 Tipos y condiciones de aprobación de medicamentos huérfanos:

- Según el tipo de aprobación, **44 (27 %) de los MM.HH. autorizados hasta el 31 de agosto de 2026** se han **aprobado de manera condicional** o **bajo circunstancias excepcionales**, mientras que el resto corresponde a aprobaciones estándar.
- En cuanto a las **condiciones especiales de aprobación**, **más de la mitad de los MM.HH.** autorizados en Europa y/o España están **sujetos a seguimiento adicional**: **105 (64 %)** en el caso de los que tienen **AC**, **86 (61 %)** de los que cuentan con CN, y **60 (57 %)** de los financiados en España.
- De los **18 medicamentos huérfanos con aprobación condicional** y CN, 14 se han financiado (78 %), y de los **17 MM.HH.** con CN **aprobados bajo circunstancias excepcionales**, están financiados 12 (71 %).

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

04 Medicamentos huérfanos con AC pendientes de llegar a España:

- Actualmente, un **14 % de los medicamentos que tienen AC aún no han llegado a España** (23) y, de esos, un 61 % han recibido AC hace más de un año.

05 Medicamentos huérfanos financiados durante el 2º c. de 2026:

- **2 productos han obtenido financiación** entre el 1 de mayo y el 31 de agosto de 2026.
- El **tiempo medio de espera** desde la obtención del Código Nacional hasta la financiación por el SNS ha sido de **52 meses.**
- **En lo que llevamos de 2026** (5 medicamentos financiados), el **tiempo medio de espera** desde la obtención del Código Nacional hasta la financiación por el SNS ha sido de **34 meses**, con una **mediana de 23 meses**.
- **Un medicamento** ha recibido financiación dentro del primer año después de obtener CN, y **ningún medicamento** ha logrado obtener la financiación en su primera reunión CIPM.
- **Un medicamento** ha tardado más de tres años en ser financiado después de obtener el CN, y ha acudido a cinco reuniones de la CIPM hasta recibir la financiación del SNS.
- El **100 %** de los medicamentos financiados durante el segundo cuatrimestre de 2026 tienen **condicionada su financiación** y un **100 %** tienen **restringida** su financiación (en base a las indicaciones aprobadas por EMA).

06 Tratamientos no financiados:

- **36** medicamentos huérfanos con CN **no están financiados**, ya sea porque:
  - se encuentran en estudio o sin petición de financiación (14); de los cuales, el **100 %** lleva **menos de un año** esperando una resolución favorable de financiación.
  - o bien porque han sido excluidos mediante resolución (22).

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

07 Medicamentos de terapia avanzada para enfermedades raras:

- Hasta el 31 de agosto de 2026, el **75 %** de los **73 MTA para enfermedades raras no cuentan con una autorización de comercialización** (AC). De estos, 46 están incluidos en el programa PRIME de la EMA, 4 se encuentran en proceso de evaluación por el CHMP y 5 son MTA académicos.

- **18 medicamentos de terapia avanzada tienen designación huérfana y autorización de comercialización**, de los cuales un 28 % tienen indicación oncológica y un 28 % son agentes hematológicos.

- De esos 18 MTA, **15 ya tienen Código Nacional** (CN). Por área terapéutica, un 33 % son oncológicos y un 20 % son agentes hematológicos.

- **9 medicamentos de terapia avanzada están financiados por el SNS** y la mayoría de ellos tienen indicación oncológica (56 %). Asimismo, el 100 % de estos medicamentos están sometidos a seguimiento a través del procedimiento SEGUIMED y el 89 % a protocolo farmacoclínico a través de VALTERMED.

- De los **6 MTA excluidos de la financiación del SNS**:

  - **5** tienen resoluciones desfavorables de financiación entre 2016 y el segundo cuatrimestre de 2026.
  - **1** se encuentra en estudio o sin petición de financiación.

08 Tratamientos que han perdido la designación huérfana, pero siguen financiados por el SNS:

- **98 medicamentos indicados para enfermedades raras** han perdido la designación huérfana, pero siguen financiados por el SNS.
- De esos medicamentos:
  - **34 %** han perdido la OD a petición de la compañía titular o a una decisión de la Comisión Europea.
  - **66 %** han perdido la OD debido a la finalización del periodo establecido de exclusividad comercial.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Bibliografía

01 Medicamentos con designación huérfana de la Agencia Europea del Medicamento

02 Registro Comunitario de Medicamentos Huérfanos

03 Centro de información online de medicamentos de la AEMPS

04 Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos (BIFIMED)

05 Acuerdos Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos (CIPM)

06 Programa PRIME: Priority Medicines de la Agencia Europea del Medicamento

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Acrónimos

- **AC**: autorización de comercialización europea por procedimiento centralizado
- **AEMPS**: Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios
- **BIFIMED**: Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos
- **CHMP**: Comité de Medicamentos de Uso Humano (por sus siglas en inglés: Committee for Medicinal Products for Human Use)
- **CIPM**: Comisión Interministerial de Precios de Medicamentos
- **CN**: Código Nacional
- **COMP**: Comité de Medicamentos y Productos Huérfanos de la EMA (por sus siglas en inglés: Committee for Orphan Medicinal Products)
- **EMA**: Agencia Europea del Medicamento (por sus siglas en inglés: European Medicines Agency)
- **EE.RR.**: enfermedades raras
- **MM.HH.**: medicamentos huérfanos
- **MTA**: medicamentos de terapia avanzada
- **OD**: designación huérfana (por sus siglas en inglés: orphan designation)
- **PRIME**: Priority Medicines
- **SEGUIMED**: Seguimiento para el abastecimiento de medicamentos en el mercado nacional
- **SNS**: Sistema Nacional de Salud
- **UE**: Unión Europea
- **VALTERMED**: Sistema de Información para determinar el Valor Terapéutico en la Práctica Clínica Real de los Medicamentos de Alto Impacto Sanitario y Económico en el SNS

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Informe de:

aelmhu

asociación española de laboratorios de medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

aelmhu.es

elaborado por:
bio innova Consulting