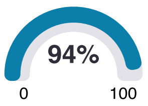
INFORME SOBRE ENSAYOS CLÍNICOS PARA ENFERMEDADES RARAS EN ESPAÑA 2025*

aelmhu
asociación española de laboratorios de medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

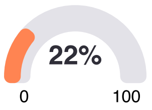
Los ensayos clínicos **son mecanismos de investigación que se utilizan para determinar la seguridad y eficacia de los medicamentos**

Actualmente, el **94%** de las enfermedades raras **no tiene una herramienta diagnóstica o tratamiento**

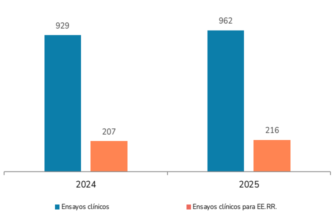


ENSAYOS CLÍNICOS AUTORIZADOS (2024-2025)

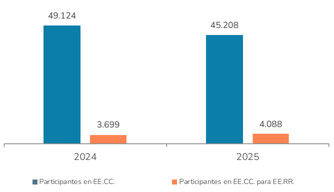
Nº de **ensayos clínicos**

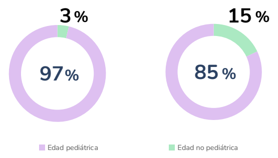


De los ensayos clínicos autorizados son para enfermedades raras


Ensayos clínicos autorizados (2024-2025)

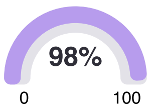
Participantes en los ensayos clínicos


Participantes en ensayos clínicos (2024-2025)

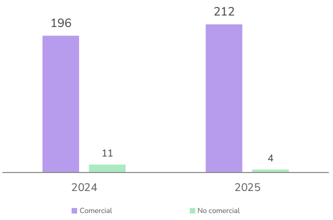

Participantes en ensayos clínicos 2025

Participantes en ensayos clínicos para EE.RR. (2025)

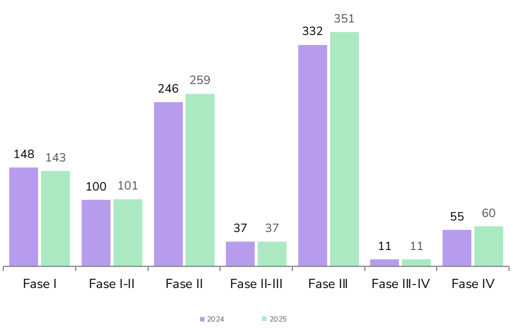
Ensayos clínicos para EE.RR. por **promotor**

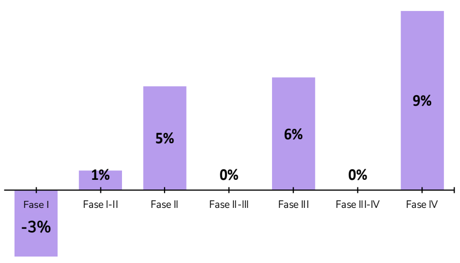


De los ensayos clínicos para enfermedades raras son de **promotores comerciales**

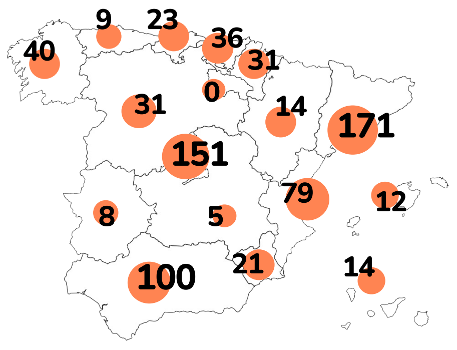

Ensayos clínicos para EE.RR por promotor (2024-2025)

Fases de los ensayos clínicos para EE.RR.


Ensayos clínicos por fase (2024-2025)


Variación de ensayos clínicos por fase (2024 vs 2025)

Participación de las **comunidades autónomas** en los **ensayos clínicos** para **EE.RR.**

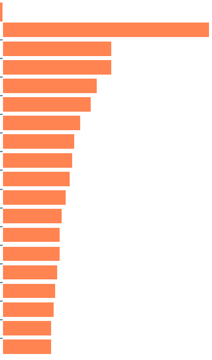

Ensayos clínicos para EE.RR. por comunidades autónomas en 2025

Cataluña, la Comunidad de Madrid, Andalucía y la Comunidad Valenciana son las comunidades con mayor participación en ensayos clínicos en enfermedades raras

119 centros estuvieron implicados en los 216 ensayos clínicos para enfermedades raras en 2025.

Hospitales líderes en investigación clínica para enfermedades raras

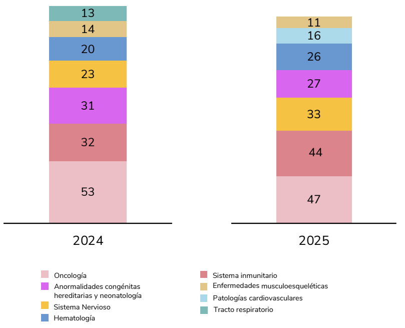
	Centro	CC.AA.	Nº EE.CC.
●	**Hospital Universitario Vall d'Hebron**	**Cataluña**	**99**
●	**Hospital Universitario y Politécnico La Fe**	**Comunidad Valenciana**	**52**
●	**Hospital Universitario Virgen del Rocío**	**Andalucía**	**52**
●	**Hospital Universitario La Paz**	**Comunidad de Madrid**	**45**
	Hospital Clínic de Barcelona	Cataluña	42
	Hospital Universitario 12 de Octubre	Comunidad de Madrid	37
	Hospital Gregorio Marañón	Comunidad de Madrid	34
	Hospital de la Santa Creu i Sant Pau	Cataluña	33
	Hospital de Sant Joan de Déu	Cataluña	32
	Hospital Universitario Ramón y Cajal	Comunidad de Madrid	30
	Hospital Universitario de Salamanca	Castilla y León	28
	Hospital Universitario Fundación Jiménez Díaz	Madrid	27
	Hospital Universitario de Bellvitge	Cataluña	27
	Instituto Catalán de Oncología	Cataluña	26
	Clínica Universidad de Navarra	Comunidad Foral de Navarra	25
	Complejo Hospitalario Universitario de Santiago	Galicia	24
	Hospital Universitario Regional de Málaga	Andalucía	23
	Hospital Universitario Marqués de Valdecilla	Cantabria	23



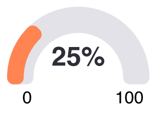
La investigación de las **enfermedades raras** por **área terapéutica**

De los 216 ensayos clínicos en enfermedades raras autorizados en 2025, 47 han sido del área de Oncología, 44 del Sistema inmunitario y 33 para las enfermedades del Sistema nervioso

Ensayos clínicos para EE.RR. por área terapéutica (2024-2025)

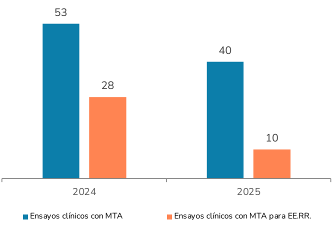


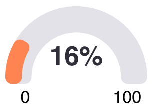
Ensayos clínicos con **terapias avanzadas** autorizados en España



De los ensayos clínicos con MTA autorizados son para enfermedades raras

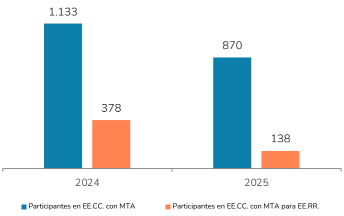
Ensayos clínicos con MTA autorizados (2024-2025)





De los participantes incluidos en EE.CC. con MTA han sido para EE.RR.

Participantes en ensayos clínicos con MTA (2024-2025)

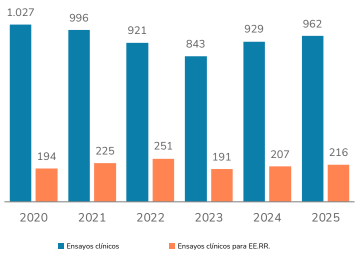


ENSAYOS CLÍNICOS para **EE.RR.** (2020-2025)

Nº de **ensayos clínicos**

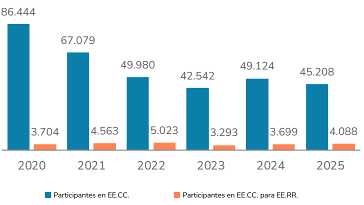
En los últimos 6 años se han autorizado en España 4.715 ensayos clínicos, **1.284 para enfermedades raras (23%)**

Ensayos clínicos (2020-2025)

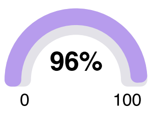


Durante los 6 últimos años, 340.377 personas participaron en algún ensayo clínico, **24.370 en ensayos para enfermedades raras (7%)**

Participantes en ensayos clínicos (2020-2025)

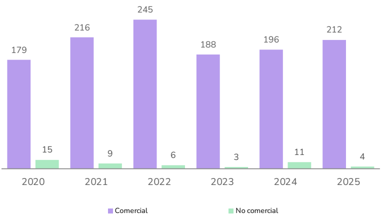


Ensayos clínicos por promotor



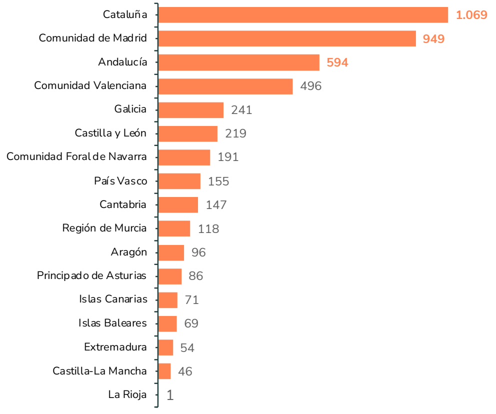
De los ensayos clínicos para enfermedades raras son promotores comerciales

Ensayos clínicos para EE.RR. por tipo de promotor (2020-2025)



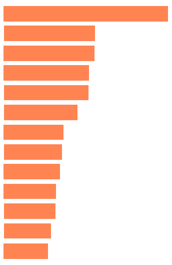
Participación de las **comunidades autónomas** en los **ensayos clínicos** para **EE.RR.**

Ensayos clínicos para EE.RR. por comunidad autónoma (2020-2025)



Hospitales líderes en **investigación clínica** para **enfermedades raras**

Centro	CC.AA.	Nº EE.CC.
Hospital Universitario Vall d'Hebron	**Cataluña**	**613**
Hospital Universitario y Politécnico La Fe	**Comunidad Valenciana**	**333**
Hospital Universitario Virgen del Rocío	**Andalucía**	**331**
Hospital Universitario 12 de Octubre	**Comunidad de Madrid**	**311**
Hospital Clínic de Barcelona	Cataluña	309
Hospital Universitario la Paz	Comunidad de Madrid	268
Hospital Universitario Gregorio Marañón	Comunidad de Madrid	217
Instituto Catalán de Oncología	Cataluña	211
Hospital Universitario Ramón y Cajal	Comunidad de Madrid	205
Hospital de la Santa Creu i Sant Pau	Cataluña	191
Hospital Universitario de Salamanca	Castilla y Leon	187
Clínica Universidad de Navarra	Comunidad Foral de Navarra	171
Hospital Sant Joan de Déu Barcelona	Cataluña	161

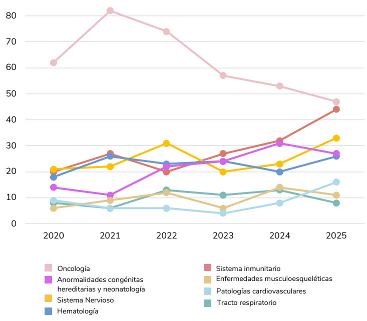


Ensayos clínicos por **área terapéutica**

Centros con mayor número de EE.CC. (2020-2025)

- Hospital Universitario Vall d´Hebron (Cataluña) → 2.544 ensayos
- Hospital Universitario 12 de Octubre (Madrid) → 1.489 ensayos
- Hospital Clínic Barcelona (Cataluña) → 1.435 ensayos

Ensayos clínicos para EE.RR. por área terapéutica* (2025-2025)

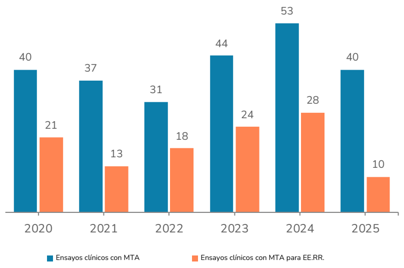


Oncología se mantiene como el área más destacada en ensayos clínicos para enfermedades raras, pero **se ha producido una diversificación hacia otras áreas terapéuticas,** especialmente en Sistema inmunitario y Sistema Nervioso.

Ensayos clínicos con **terapias avanzadas** para **EE.RR.**

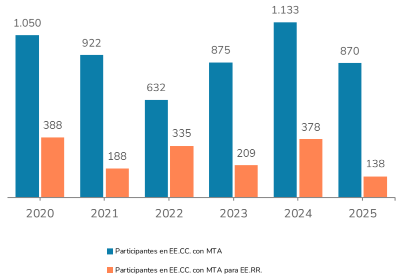
Entre 2020 y 2025, se han autorizado un total de **245 ensayos clínicos con terapias avanzadas en España,** de los cuales **114** (47%) **han estado dirigidos a enfermedades raras**

Ensayos clínicos con MTA autorizados (2020-2025)



Los ensayos de terapias avanzadas para enfermedades raras han incluido a **1.636 personas** entre 2020 y 2025, el **30% de participantes en ensayos clínicos con medicamentos de terapias avanzadas**

Participantes en ensayos clínicos con MTA (2020-2025)



- *Fuente: Registro Español de Estudios Clínicos (REec - AEMPS), consultada en febrero de 2026. Análisis de datos elaborado por Bioinnova Consulting.
- Las cifras del periodo 2020-2024 pueden presentar ligeras variaciones respecto a informes anteriores, ya que este análisis se ha realizado con datos actualizados del REec, con fecha de descarga de febrero de 2026.
- Se han excluido dos ensayos clínicos de fase IV del área de enfermedades víricas (identificadores 2023-506977-36-00 y 2024-516600-42-00), debido a que elelevado número de participantes (114.011 y 200.000, respectivamente) distorsionaba el análisis agregado.
- Los datos sobre el tipo de promotor (comercial/no comercial) proceden del REec. Debido a limitaciones en el volcado de esta variable desde los sistemas europeos de registro, algunos estudios podrían no estar correctamente clasificados según su tipo de promotor.
- EE.RR.: enfermedades raras
- MTA: Medicamento de terapia avanzadas
- EE.CC.: ensayos clínicos

aelmhu
asociación española de laboratorios de medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos
aelmhu.es