aelmhu

INFORME *sobre* ***Ensayos clínicos*** *para* **ENFERMEDADES RARAS** *en* ESPAÑA 2025



Índice

01. METODOLOGÍA

02. ENSAYOS CLÍNICOS AUTORIZADOS EN 2025

- Ensayos autorizados y participantes
- Distribución por edad de los participantes
- Promotores
- Fases de los ensayos clínicos
- Participación de CC.AA. y hospitales
- Investigación en EE.RR. por área terapéutica
- Ensayos clínicos con terapias avanzadas

03. ENSAYOS CLÍNICOS AUTORIZADOS 2020-2025

- Ensayos autorizados y participantes
- Promotores
- Participación de CC.AA. y hospitales
- EE.RR. por área terapéutica
- Ensayos clínicos con terapias avanzadas

04. ANÁLISIS EE.CC. ASOCIADOS AELMHU 2020-2025

- Ensayos clínicos de los asociados
- Participantes en ensayos clínicos
- Por comunidad autónoma
- Por hospitales

05. RESUMEN: PRINCIPALES DATOS

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Metodología

OBTENCIÓN DE DATOS:

A fecha de febrero de 2026 se descargaron los datos de la plataforma del Registro Español de Estudios Clínicos (REec - AEMPS) correspondientes al periodo 2020-2025.

PROCESAMIENTO Y LIMPIEZA DE DATOS:

Los datos fueron depurados para facilitar el análisis, realizándose las siguientes operaciones principales:

- Unificación en "**edad pediátrica**" de las categorías: prematuros, recién nacidos, preescolar y niños.
- Extracción de **años de autorización** para clasificar los ensayos por año.
- Unificación de fases combinadas de ensayos clínicos (p. ej., Fase I + Fase II = Fase I-II).
- Identificación de promotores asociados a AELMHU (compañías asociadas a fecha de febrero de 2026).
- **Unificación de nomenclatura** de los centros que han albergado ensayos clínicos.
- Incorporación de **datos poblacionales por comunidades autónomas** del INE (consultados en marzo de 2026).

DESAGREGACIÓN DE PATOLOGÍAS (CIE-11)

Se desagregaron las patologías clasificadas de cada ensayo clínico según la CIE-11. Los ensayos dirigidos a más de un área terapéutica se contabilizaron en cada una de ellas.

ANÁLISIS Y GENERACIÓN DE RESULTADOS

Se realizó un análisis pormenorizado mediante agrupaciones de datos, del que se obtuvieron las tablas y gráficos presentados en este informe.

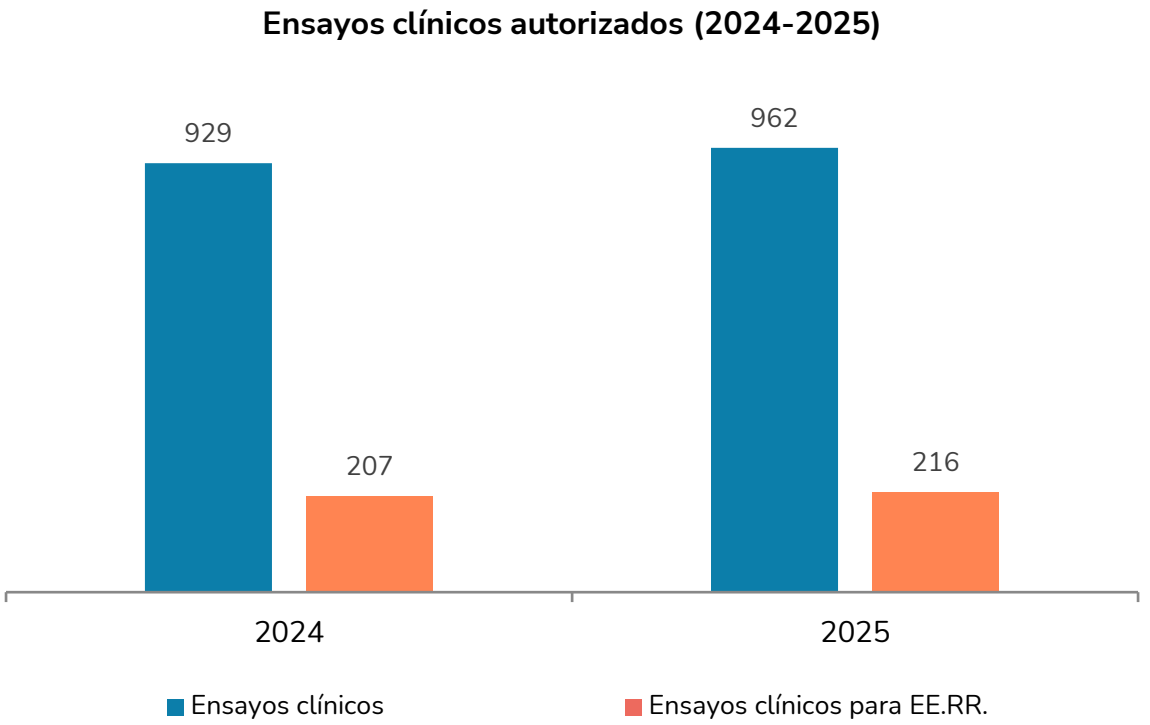
Notas

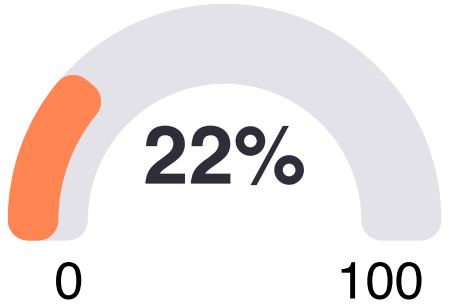
- Las cifras del periodo **2020-2024** pueden presentar **ligeras variaciones respecto a informes anteriores**, ya que este análisis se ha realizado con datos actualizados del REec, con **fecha de descarga de febrero de 2026**.
- Se han **excluido dos ensayos clínicos de fase IV** del área de enfermedades víricas (identificadores **2023-506977-36-00** y **2024-516600-42-00**), debido a que el elevado 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.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Ensayos clínicos autorizados *en* España *en* 2025

- **En 2025 se autorizaron un total de 962 ensayos clínicos en España**, lo que supone un incremento del 3 % (+33 ensayos clínicos) respecto al año anterior (929).
- En el área de las **enfermedades raras (EE.RR.)**, se ha producido un aumento del **4 % respecto** a 2024, pasando de 207 a 216 ensayos.
- Por tanto, los ensayos para EE.RR. representan el **22 % del total**, una proporción **similar a la registrada en 2024**.





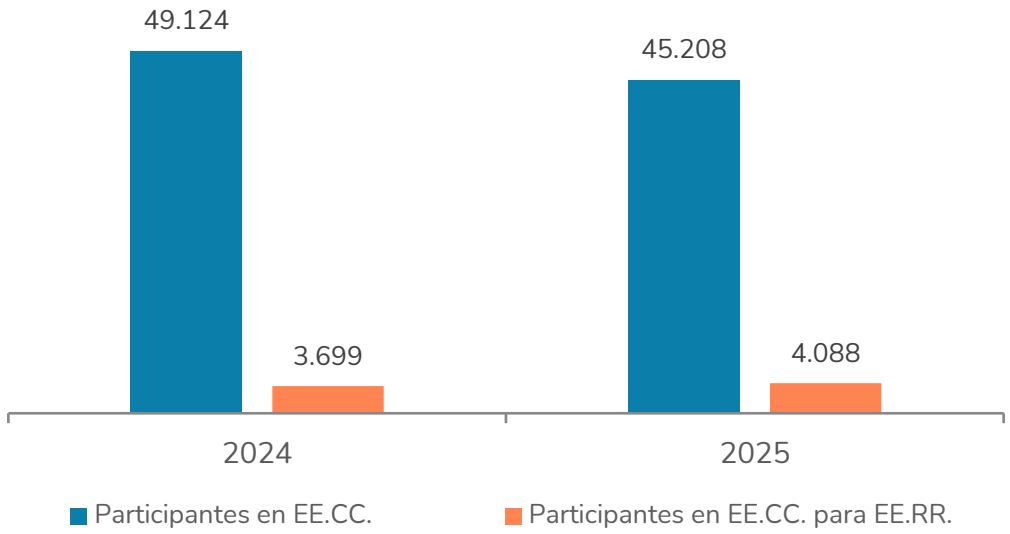
De los **ensayos clínicos** autorizados fueron para **enfermedades raras**

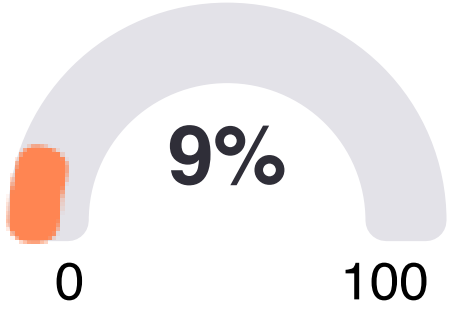
Documento exclusivo para asociados AELMHU

Participantes *en* ensayos clínicos *en* 2025

- En 2025, se produjo **un descenso de un 8 % en el número total de participantes en los ensayos clínicos en España**, pasando de 49.124 en 2024 a 45.208 en 2025.
- Sin embargo, la **participación en ensayos clínicos para enfermedades raras** experimentó **un aumento del 11 % en 2025**: de 3.699 a 4.088.
- En 2025, los ensayos clínicos sobre enfermedades raras concentraron el **9 % del total de participantes en España**.

Participantes en ensayos clínicos (2024-2025)





De los **participantes** en ensayos clínicos eran para **enfermedades raras**

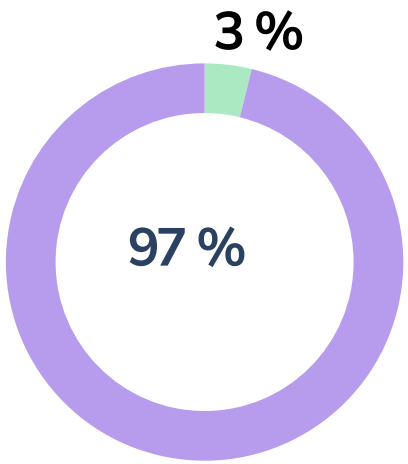
Nota: Se han excluido los ensayos clínicos con identificador 2023-506977-36-00 y 2024-516600-42-00, ambos de fase IV y pertenecientes al área terapéutica de enfermedades víricas, debido a que el elevado número de participantes incluidos (114.011 y 200.000 pacientes, respectivamente) distorsionaba el análisis agregado de los datos.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

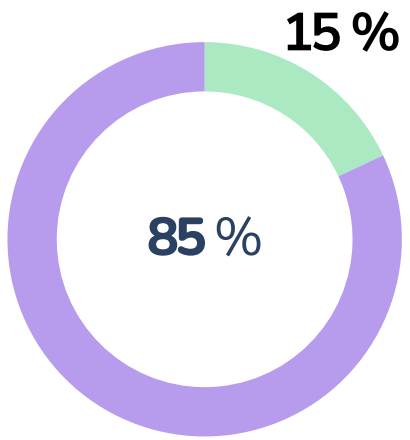
Distribución *por* edad *de* participantes *en* ensayos clínicos

- La **proporción de participantes adultos** (97 %) **y pediátrica** (3 %) se ha mantenido similar a la del 2024 (96 % y 4 %, respectivamente).
- Sin embargo, el número total de participantes ha bajado en ambos grupos. En 2025, los participantes adultos pasaron de 47.266 a 43.787, es decir, 3.479 menos, lo que supone **una reducción del 7 %**. En la población pediátrica, la bajada fue mayor, con una disminución de **un 24 %**, pasando de 1.858 a 1.421, es decir, 437 menos.
- En 2025, 4.088 personas participaron en ensayos clínicos para enfermedades raras. De ellas, **603 eran menores de edad**, lo que representa el 15 % del total. Esta proporción es dos puntos porcentuales menor que en 2024 (17 %), cuando 621 de las 3.699 eran menores.

Participantes en ensayos clínicos (2025)



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



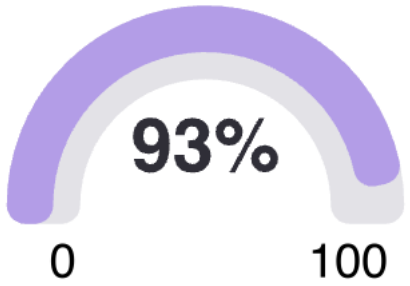
Edad pediátrica Edad no pediátrica

Nota: Se han excluido los ensayos clínicos con identificador 2023-506977-36-00 y 2024-516600-42-00, ambos de fase IV y pertenecientes al área terapéutica de enfermedades víricas, debido a que el elevado número de participantes incluidos (114.011 y 200.000 pacientes, respectivamente) distorsionaba el análisis agregado de los datos.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

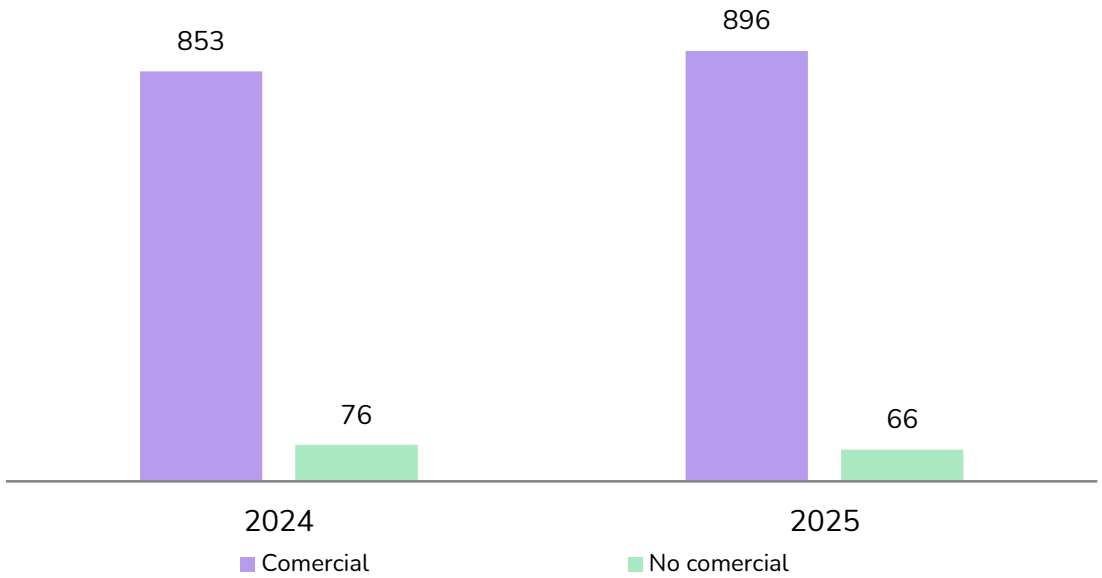
Promotores *de* ensayos clínicos *en* España

- La **cantidad de ensayos clínicos promovidos por la industria experimentó un aumento de un 5 %**, pasando de 853 en 2024 a 896 en 2025. Mientras que los ensayos impulsados por promotores **no comerciales disminuyeron un 13 %** (de 76 a 66).
- En 2025, los **ensayos clínicos impulsados por promotores comerciales** representaron el **93 % del total** de ensayos autorizados. Este porcentaje supone un **incremento de un punto porcentual** respecto a 2024 (92 %).



Ensayos clínicos por **promotores comerciales en 2025**

Ensayos clínicos por promotor (2024 vs.2025)



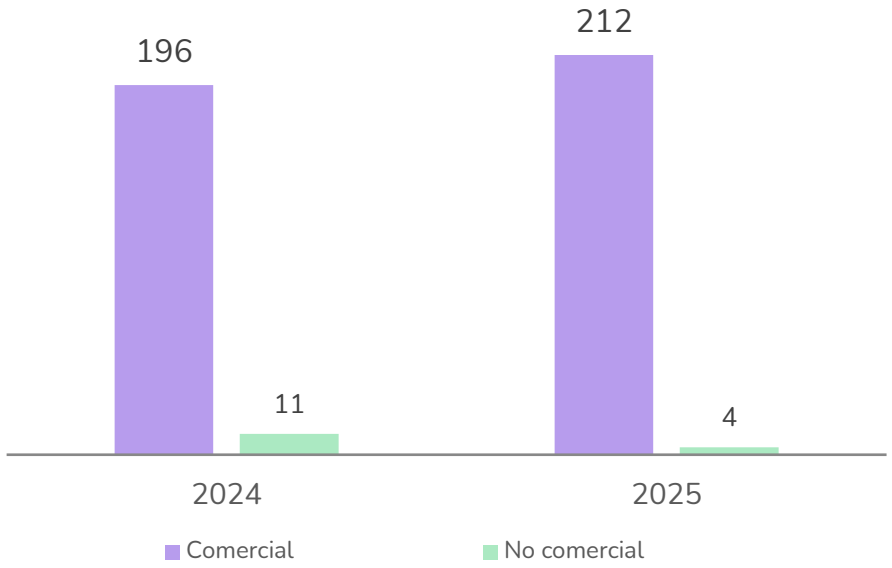
Nota: Los datos relativos al tipo de promotor (comercial/no comercial) se han obtenido del Registro Español de Estudios Clínicos (REec). No obstante, debido a limitaciones en el volcado de esta variable desde los sistemas europeos de registro, algunos estudios podrían no estar correctamente clasificados según su tipo de promotor.

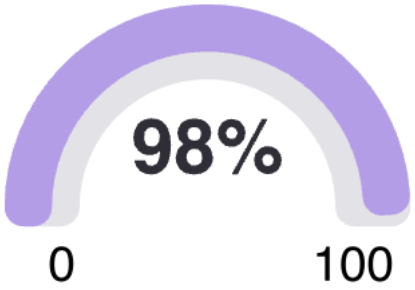
Documento exclusivo para asociados AELMHU

Promotores *de* ensayos clínicos *para* EE.RR. *en* España

- Los ensayos para **enfermedades raras** impulsados por **promotores comerciales aumentaron un 8 %** en el último año, pasando de 196 a 212 ensayos. En 2025, el **98 % de los ensayos para enfermedades raras** fueron impulsados por **compañías farmacéuticas**.
- Por otro lado, los promotores **no comerciales** impulsaron un **64 % de ensayos menos que el año anterior.** En 2025 pusieron en marcha 4 ensayos, frente a los 11 de 2024.
- Así, los ensayos impulsados por **promotores comerciales** pasaron de representar el 95 % del total en 2024 al 98 % en 2025. Esto pone de manifiesto la importancia de la industria farmacéutica en la investigación de enfermedades raras.

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





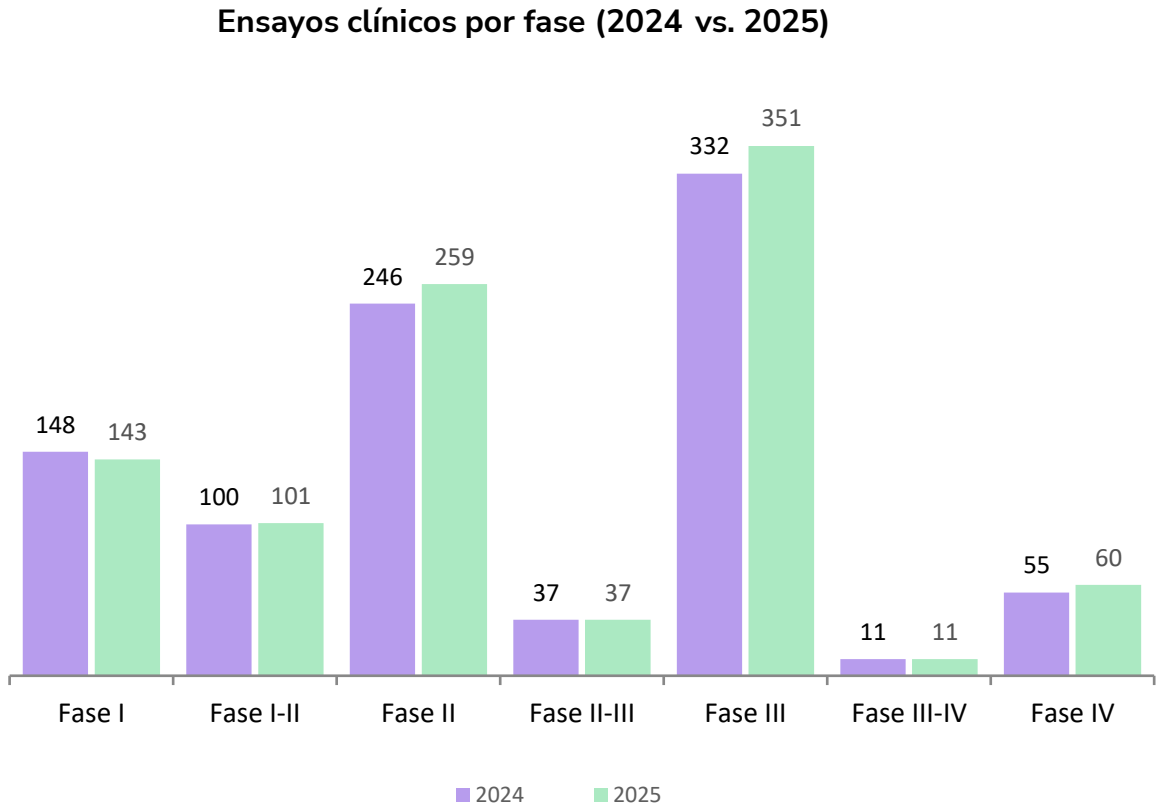
De ensayos clínicos para enfermedades raras fueron promovidos por **promotores comerciales en 2025**

Nota: Los datos relativos al tipo de promotor (comercial/no comercial) se han obtenido del Registro Español de Estudios Clínicos (REec). No obstante, 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.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Fases *de los* ensayos clínicos autorizados *en* España

- La mayoría de los ensayos clínicos autorizados se concentran en las **fases II y III**, que representan el 63 % del total. Les siguen los ensayos de **fase I** y los de **fase combinada I–II**.
- En menor medida se encuentran los ensayos de **fase IV**, que suponen el 6 % del total, y los ensayos con **fases combinadas II–III** y **III–IV**, que representan una parte reducida del total.

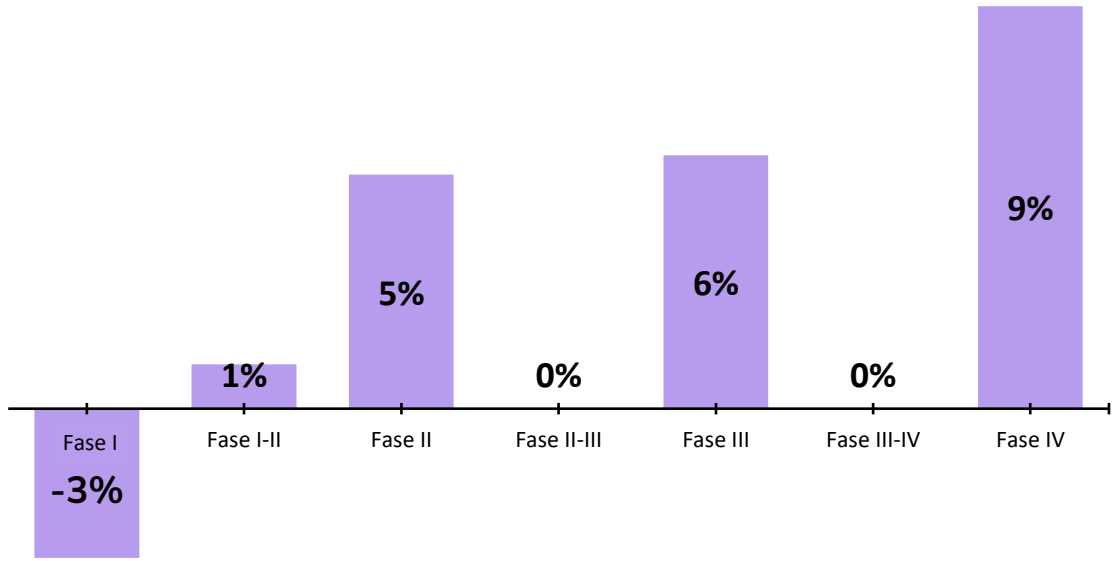


Documento exclusivo para asociados AELMHU

Fases *de los* ensayos clínicos autorizados *en* España

- En 2025 **aumentó el número de ensayos clínicos autorizados en varias fases** respecto a 2024: fase I–II (+1 ensayo; +1 %), fase II (+13 ensayos; +5 %), fase III (+19 ensayos; +6 %) y fase IV (+4 ensayos; +9 %).
- Por el contrario, **los ensayos en fase I registraron un ligero descenso**, con 5 autorizaciones menos (-3 %). El número de ensayos correspondientes a las fases II–III y III–IV se mantuvo estable, sin variaciones respecto al año anterior.

Variación de ensayos clínicos por fase (2024 vs. 2025)

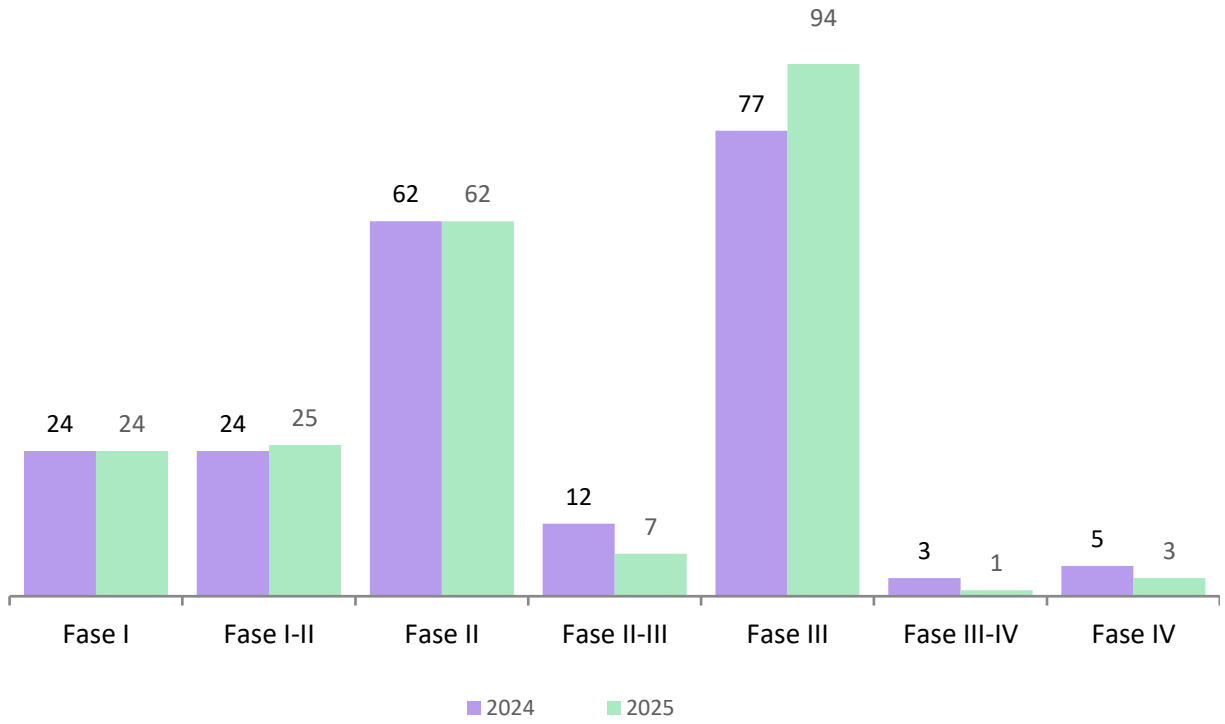


Documento exclusivo para asociados AELMHU

Fases *de los* ensayos clínicos *para* EE.RR. *en* España

- La mayoría de los ensayos clínicos en 2025 se concentraron en las **fases II y III.** En conjunto, ambas fases representan el **72 % del total** (216 ensayos clínicos). Esto supone un incremento de 5 puntos porcentuales respecto a 2024, cuando se autorizaron 207 ensayos clínicos para enfermedades raras.
- Por su parte, los **ensayos en fases I y I–II** tuvieron una menor representación, al concentrar de forma conjunta el 23 % del total.

Ensayos clínicos en EE.RR. por fase (2024 vs. 025)

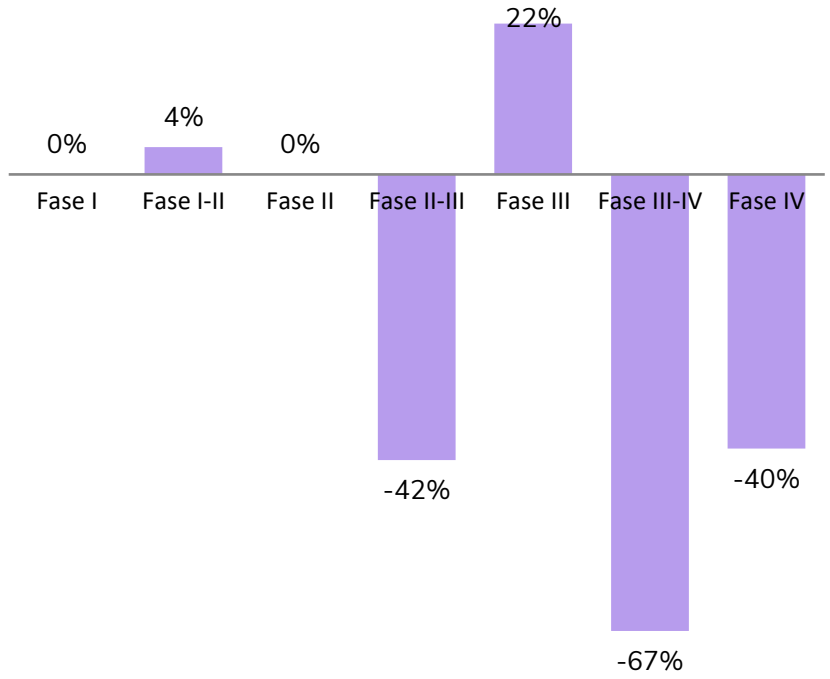


Documento exclusivo para asociados AELMHU

Fases *de los* ensayos clínicos *para* EE.RR. *en* España

- Las **fases I y fase II** se mantuvieron **sin cambios en 2025,** al no producirse ninguna variación en el número de ensayos autorizados. La **fase I-II** experimentó un **incremento del 4 %,** al sumar 1 ensayo más que en 2024.
- En contraste, las **fases avanzadas mostraron variaciones más pronunciadas.** El cambio más destacado se produjo en la **fase III, al aumentar el número de ensayos autorizados un 22 %** (de 77 a 94 ensayos).
- En cambio, **la fase II–III experimentó la mayor reducción en términos absolutos**, al descender de 12 a 7 ensayos (-42 %). También disminuyeron los ensayos en las fases III–IV, que pasaron de 3 a 1 (-67 %), y en fase IV, de 5 a 3 (-40 %). No obstante, aunque estos cambios resultan llamativos en términos porcentuales, corresponden a volúmenes absolutos reducidos, por lo que su impacto real es limitado.

Variación de ensayos clínicos para EE.RR. por fase (2024 vs. 2025)

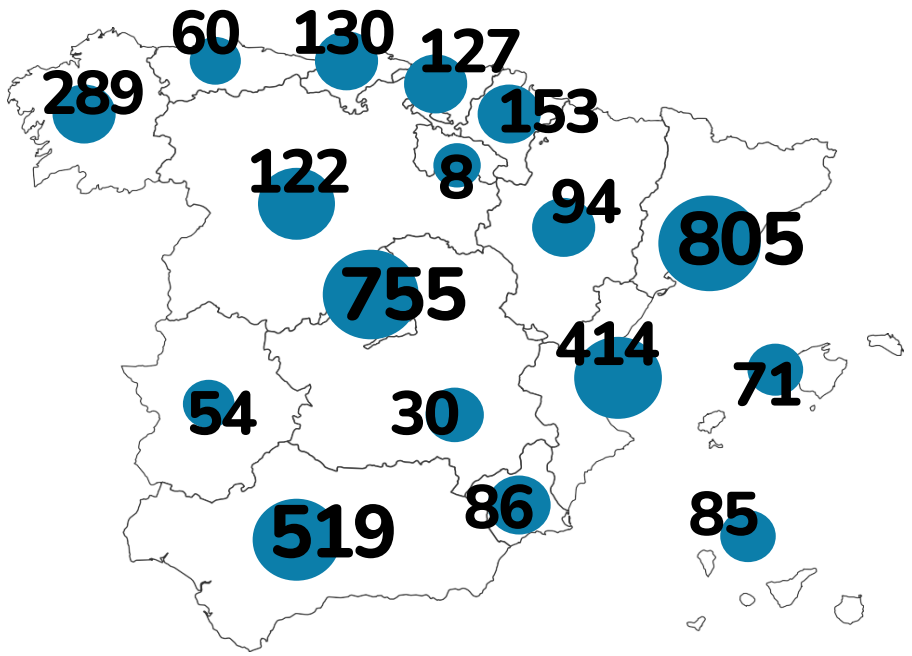


Documento exclusivo para asociados AELMHU

Participación *de* CC.AA. *en* ensayos clínicos *en* España

- **Las 17 comunidades autónomas** participaron en alguno de los 962 ensayos clínicos autorizados en 2025.
- Las CC.AA. con mayor participación fueron **Cataluña**, que participó en **805** ensayos de los 962 autorizados (84 % del total), la **Comunidad de Madrid**, con **755** (78 %), y **Andalucía**, con **519** (54 %). Las tres participaron en más de la mitad de los estudios autorizados durante 2025.
- También destacan la Comunidad Valenciana y Galicia, con una presencia relevante en los ensayos clínicos autorizados. En concreto, la **Comunidad Valenciana** participó en **414 ensayos** (43 % del total) y **Galicia** en 289 (30 %).
- En el extremo opuesto, **Asturias** (60 ensayos; 6 %), **Extremadura** (54; 6 %), **Castilla-La Mancha** (30; 3 %) y **La Rioja** (8; 1 %) registraron las cifras de participación más bajas.

Ensayos clínicos por comunidad autónoma en 2025



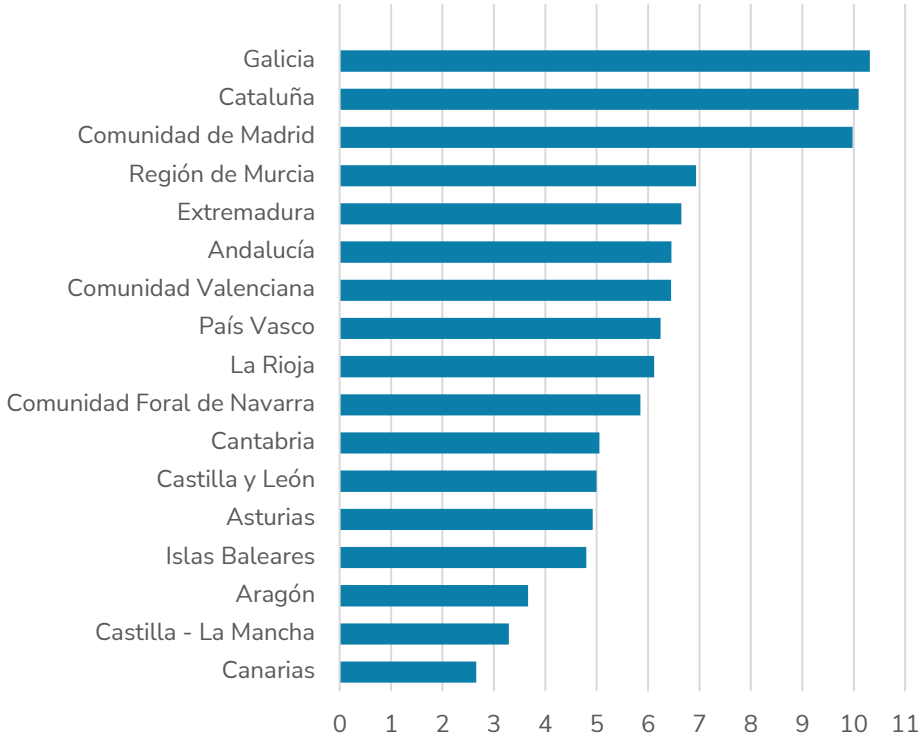
Documento exclusivo para asociados AELMHU

Nota: Los ensayos clínicos desarrollados en más de una comunidad autónoma han sido contabilizados en cada una de ellas, dado su carácter multicéntrico.

Distribución *de* ensayos clínicos *por población en* España

- El **número de ensayos clínicos ajustado por población** revela que **Galicia**, **Cataluña** y la **Comunidad de Madrid** son las comunidades con mayor número de ensayos clínicos por millón de habitantes.
- Les siguen **un grupo amplio de CC.AA.** con valores en torno a 6–7 ensayos por millón, como la Región de Murcia, Extremadura, Andalucía, la Comunidad Valenciana, País Vasco y La Rioja.
- En el extremo opuesto, **Canarias** y **Castilla-La Mancha**, con 3 ensayos cada una, y **Aragón**, con 4, registraron la menor actividad en investigación clínica.

Tasa de ensayos clínicos por millón de habitantes por comunidad autónoma en 2025



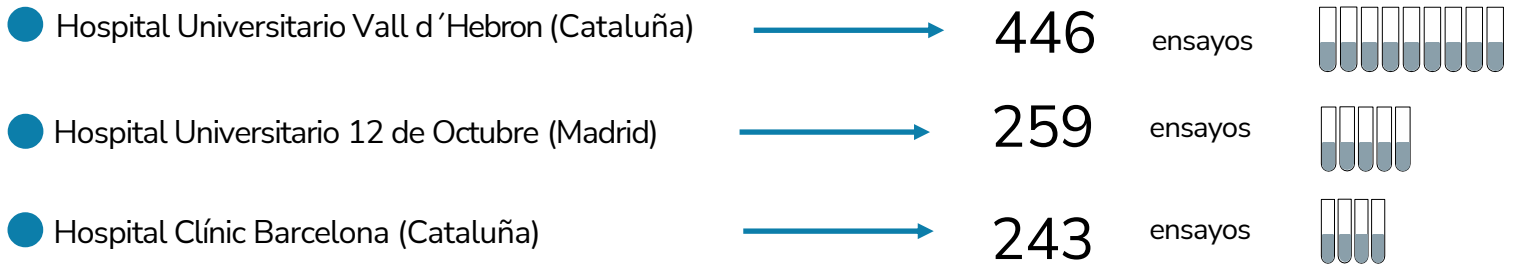
Nota: Los ensayos clínicos desarrollados en más de una comunidad autónoma han sido contabilizados en cada una de ellas, dado su carácter multicéntrico.
Fuente de los datos poblacionales: Población residente por Comunidad Autónoma - Instituto Nacional de Estadística (INE) (datos consultados en marzo de 2026)

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Participación *de* hospitales *en* ensayos clínicos *en* España

- Un total de **356 centros** participaron en los 962 ensayos clínicos autorizados en 2025. **Cataluña** (82 hospitales), la **Comunidad de Madrid** (71) y **Andalucía** (56) **concentraron el 59 % del total de centros implicados**, reafirmando su papel como referentes en infraestructura investigadora.
- Entre los centros que han albergado ensayos clínicos durante 2025, **destacan tres** por su alto volumen de participación: el **Hospital Universitario Vall d'Hebron** (446 ensayos), el **Hospital Universitario 12 de Octubre** (259 ensayos) y el **Hospital Clínic de Barcelona** (243 ensayos).

Centros con mayor número de EE.CC. en 2025



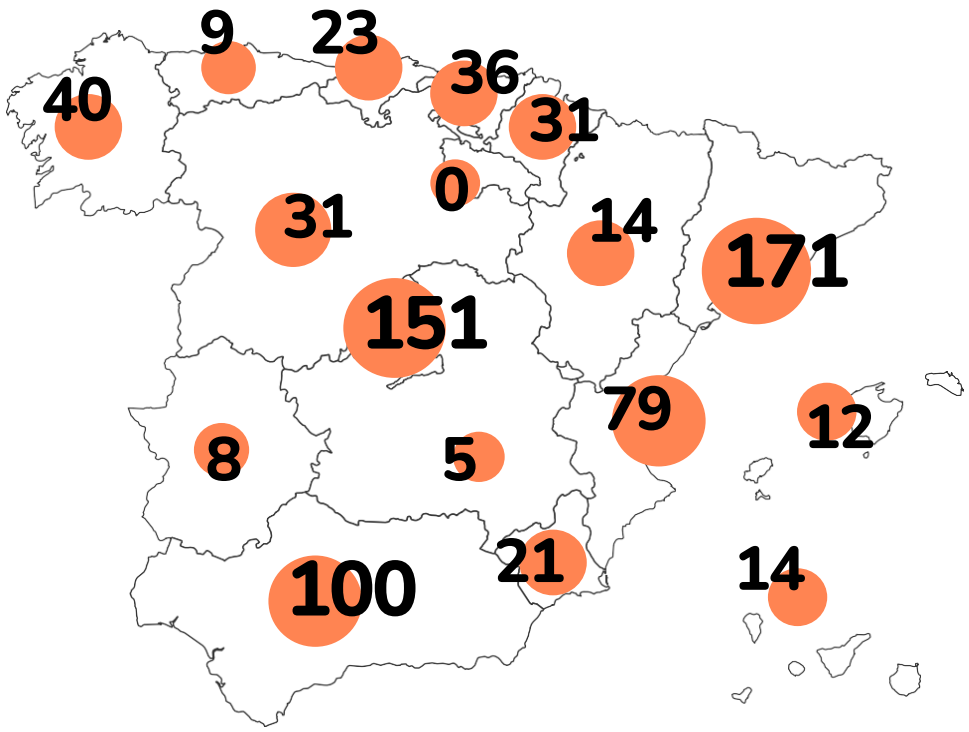
Nota: Los ensayos clínicos desarrollados en más de un centro han sido contabilizados en cada uno de ellos, dado su carácter multicéntrico.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

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

- **Todas las comunidades autónomas, salvo La Rioja**, participaron en alguno de los 216 ensayos clínicos para enfermedades raras autorizados en 2025.
- Entre las CC.AA. con mayor participación, **Cataluña** estuvo presente en el **79 % de estos estudios** (171 ensayos), mientras que la **Comunidad de Madrid** lo hizo en el **70 %** (151). A continuación, **Andalucía** participó en el **46 % de los ensayos** (100) y la **Comunidad Valenciana** en el **37 %** (79).
- Entre las comunidades con una menor participación se encuentran **Asturias** (4 %; 9 ensayos), **Extremadura** (4 %; 8) y **Castilla-La Mancha** (2 %; 5).

Ensayos clínicos para EE.RR. por CC.AA. en 2025



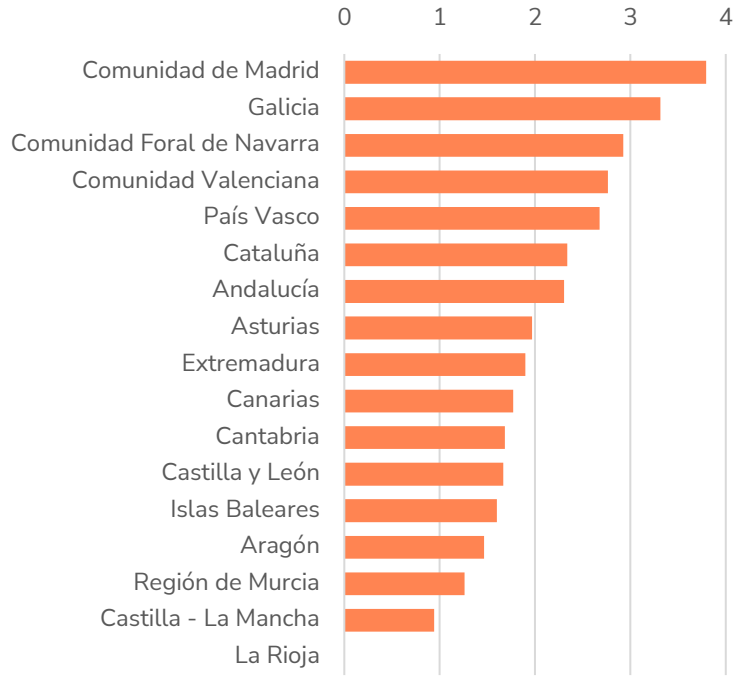
Nota: Los ensayos clínicos desarrollados en más de una comunidad autónoma han sido contabilizados en cada una de ellas, dado su carácter multicéntrico.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Distribución *de* ensayos clínicos *para* EE.RR. *por* población *en* España

- Al ajustar los datos por población, **la distribución de los ensayos clínicos muestra un patrón diferente al observado en términos absolutos**, observándose menor variabilidad entre la participación de las diferentes comunidades autónomas.
- La **Comunidad de Madrid** fue la comunidad con mayor número de ensayos clínicos por millón de habitantes (4), seguida de **Galicia**, la **Comunidad Foral de Navarra**, la **Comunidad Valenciana** y **País Vasco**, con aproximadamente 3 ensayos cada millón de habitantes.
- Por su parte, comunidades como **Cataluña** (2) y **Andalucía** (2), que sobresalen en volumen absoluto de ensayos, presentan **valores menores** al considerar su población.
- En el extremo inferior se encuentran **Castilla-La Mancha** (1) y la **Región de Murcia** (1).

Tasa de ensayos clínicos para EE.RR. por millón de habitantes por comunidad autónoma (2025)



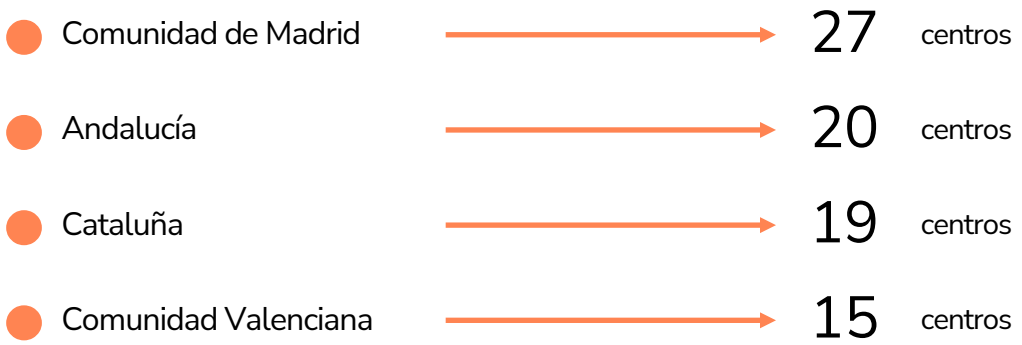
Documento exclusivo para asociados AELMHU

Nota: Los ensayos clínicos desarrollados en más de una comunidad autónoma han sido contabilizados en cada una de ellas, dado su carácter multicéntrico.
Fuente de los datos poblacionales: Población residente por Comunidad Autónoma - Instituto Nacional de Estadística (INE) (datos consultados en marzo de 2026)

Participación *de* hospitales *en* ensayos clínicos *para* enfermedades raras

- A nivel nacional, un total de **119 centros estuvieron implicados** en los 216 ensayos clínicos para enfermedades raras en 2025.
- El **68 % de estos centros** se encuentran en cuatro CC.AA.: **Comunidad de Madrid** (27 centros; 23 % del total), **Andalucía** (20; 17 %), **Cataluña** (19; 16 %) y la **Comunidad Valenciana** (15; 13 %).

Nº de centros por comunidad autónoma (2025)



Nota: Los ensayos clínicos desarrollados en más de un centro han sido contabilizados en cada uno de ellos, dado su carácter multicéntrico.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

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

Centro	Comunidad autónoma	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

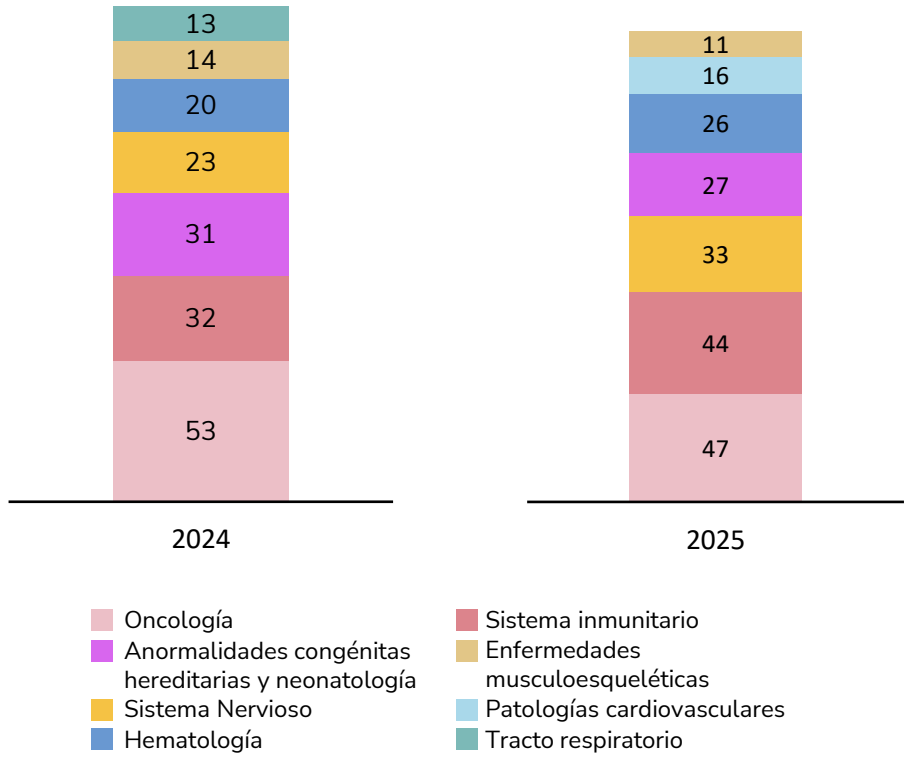
Nota: Los ensayos clínicos desarrollados en más de un centro han sido contabilizados en cada uno de ellos, dado su carácter multicéntrico.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

La investigación *en* *enfermedades raras* *por* área terapéutica

- **Oncología** siguió siendo el **área terapéutica predominante en la investigación en EE.RR.** durante 2025, con **47 ensayos clínicos** (22 % del total). **Sistema inmunitario** se consolida como la **segunda área más relevante**, mostrando un crecimiento significativo del 38 %, al pasar de 32 ensayos en 2024 a 44 en 2025 (20 %).
- Por detrás, se sitúa **sistema nervioso, con 33 ensayos** autorizados, por delante de **anormalidades congénitas, hereditarias y neonatología** (**27 ensayos**).
- En 2025, también destaca el **incremento de ensayos autorizados para enfermedades cardiovasculares**, con 16 ensayos clínicos (7 %), duplicando la cifra del año anterior (8 ensayos; 4 %).
- Por el contrario, el área terapéutica de **tracto respiratorio pierde representatividad**, al registrarse únicamente 8 estudios (4 %).

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



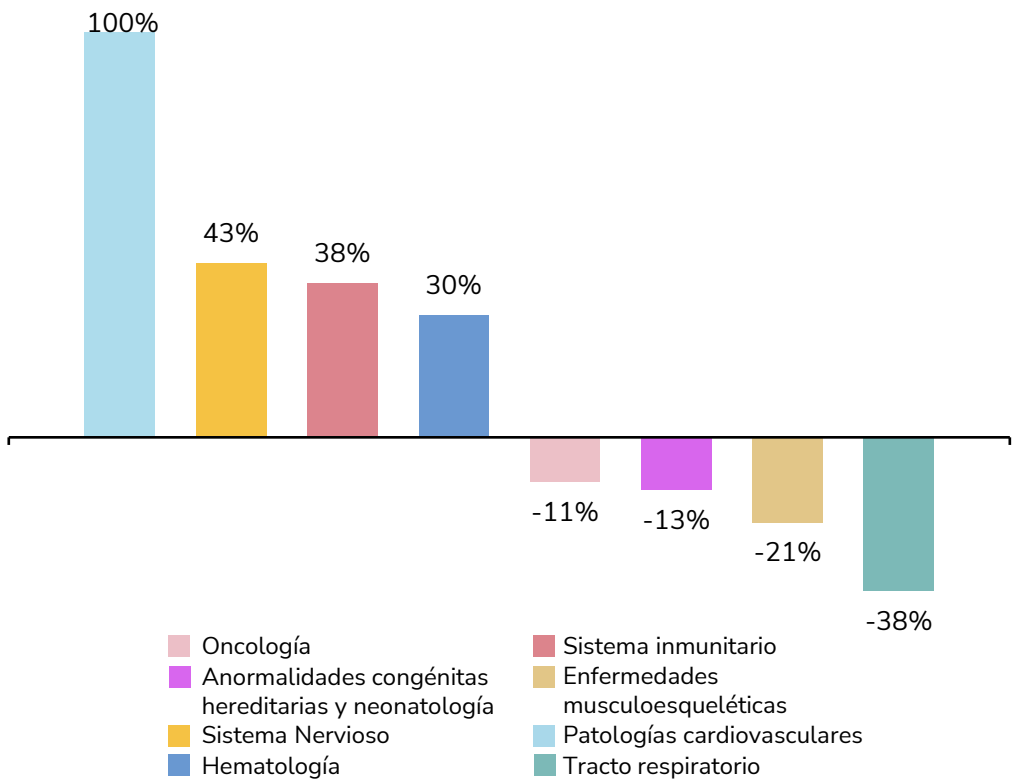
*Sólo se incluyen las áreas terapéuticas que representan más del 5 % del total de ensayos clínicos autorizados.
Nota: Los ensayos clínicos desarrollados para más de un área terapéutica han sido contabilizados en cada una de ellas.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

La investigación *en enfermedades raras por* área terapéutica

- **Cuatro áreas terapéuticas muestran un crecimiento relevante** en el número de ensayos clínicos respecto al año anterior.
- **Enfermedades cardiovasculares** duplica su actividad, pasando de 8 a 16 ensayos (+100 %). **Sistema nervioso** registra un **incremento del 43 %** (de 23 a 33 ensayos), seguido de **sistema inmunitario**, que **crece un 38 %** (de 32 a 44). Por su parte, **hematología** también presenta una evolución positiva, con un **aumento del 30 %** (de 20 a 26 ensayos).
- En contraste, algunas áreas presentan una tendencia descendente. **Oncología**, pese a mantenerse como área líder, **reduce su actividad un 11 %** (de 53 a 47 ensayos). Asimismo, el área de **anormalidades congénitas, hereditarias y neonatología desciende un 13 %** (de 31 a 27). **Enfermedades musculoesqueléticas** y **tracto respiratorio** muestran caídas más acusadas, del **21 %** (de 14 a 11) y del **38 %** (de 13 a 8), respectivamente.

Variación porcentual de los ensayos clínicos por área terapéutica* (2024 vs 2025)



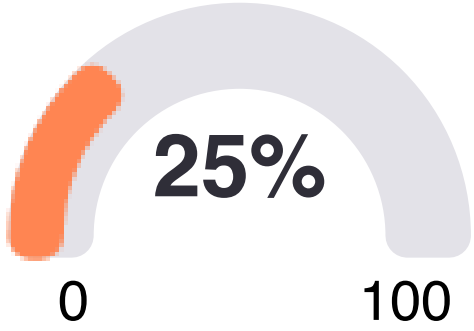
*Sólo se incluyen las áreas terapéuticas que han representado más del 5 % del total de ensayos clínicos autorizados.

Nota: Los ensayos clínicos desarrollados para más de un área terapéutica han sido contabilizados en cada una de ellas.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

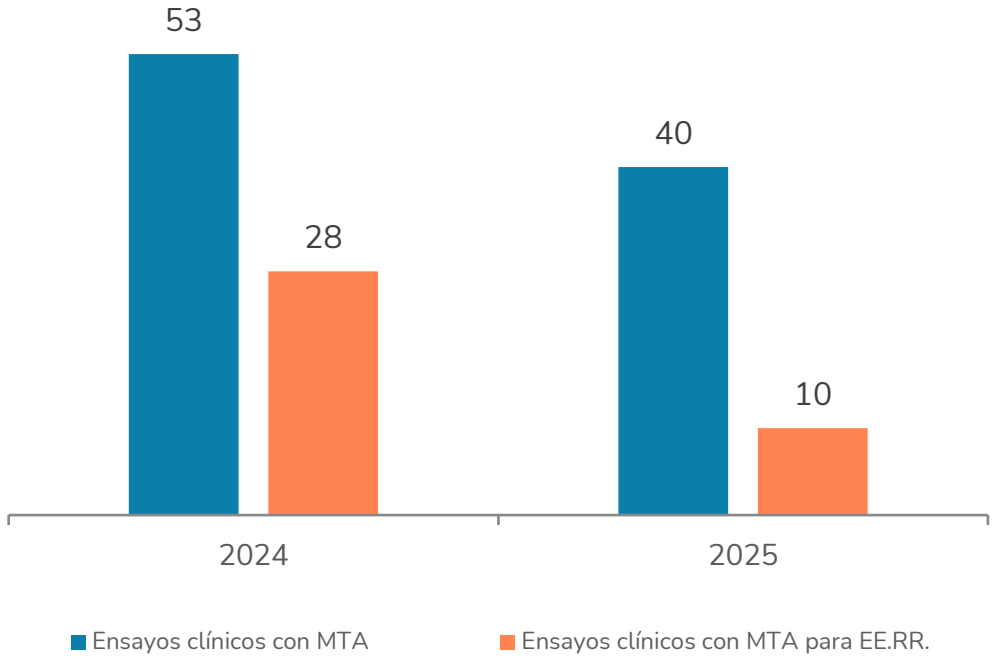
Ensayos clínicos *con* terapias avanzadas *en* España

- De los 962 ensayos clínicos autorizados en 2025, 40 de ellos, es decir, aproximadamente **el 4 %,** se realizaron **con medicamentos de terapias avanzadas (MTA).** En este sentido, el número total de ensayos con MTA se **redujo un 25 %** (-13 ensayos) respecto el 2024.
- En el ámbito de las **enfermedades raras**, también se produjo una **disminución en el número de ensayos clínicos con MTA**, pasando de 28 en 2024 a 10 en 2025 (- 64 %).



De los ensayos clínicos con **MTA** autorizados son **para enfermedades raras**

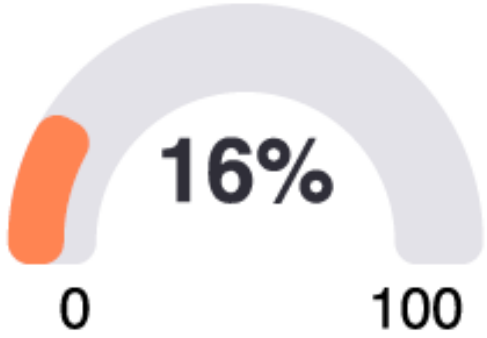
Ensayos clínicos con MTA autorizados (2024-2025)



Documento exclusivo para asociados AELMHU

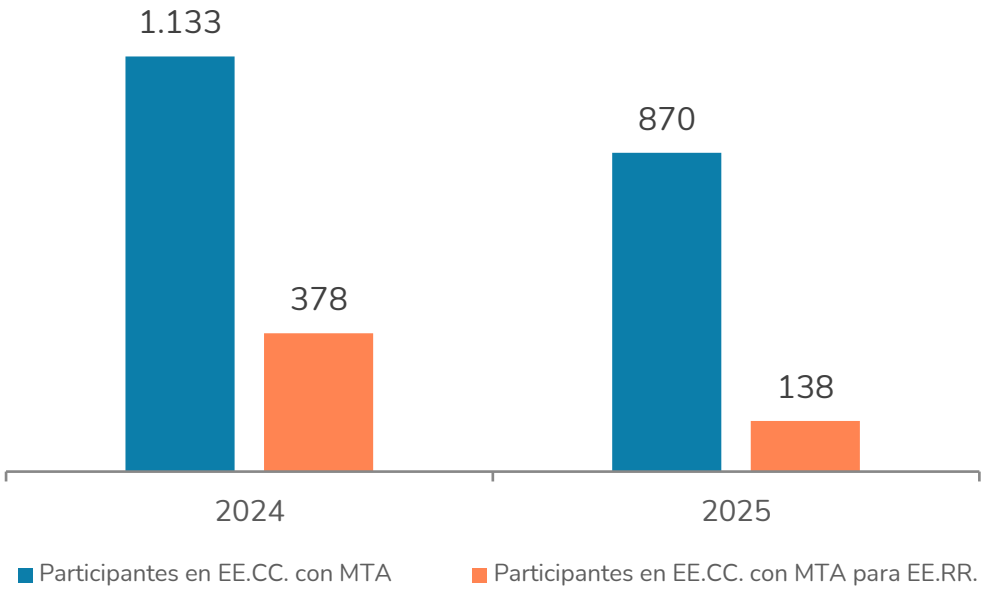
Número *de* participantes *en* ensayos clínicos *con* terapias avanzadas

- **870 participantes** fueron incluidos en **ensayos clínicos con medicamentos de terapias avanzadas.** De ellos, 138 participaron en estudios para enfermedades raras (16 %).
- Si bien estas cifras son inferiores a las de 2024 (1.133 participantes, de los cuales 378 para EE.RR.), **la actividad investigadora en terapias avanzadas sigue representando una vía clave** para hacer accesibles estos tratamientos innovadores a los pacientes con enfermedades raras.



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

Participantes en ensayos clínicos con MTA (2024 v. 2025)



Documento exclusivo para asociados AELMHU

Ensayos clínicos
autorizados
2020-2025

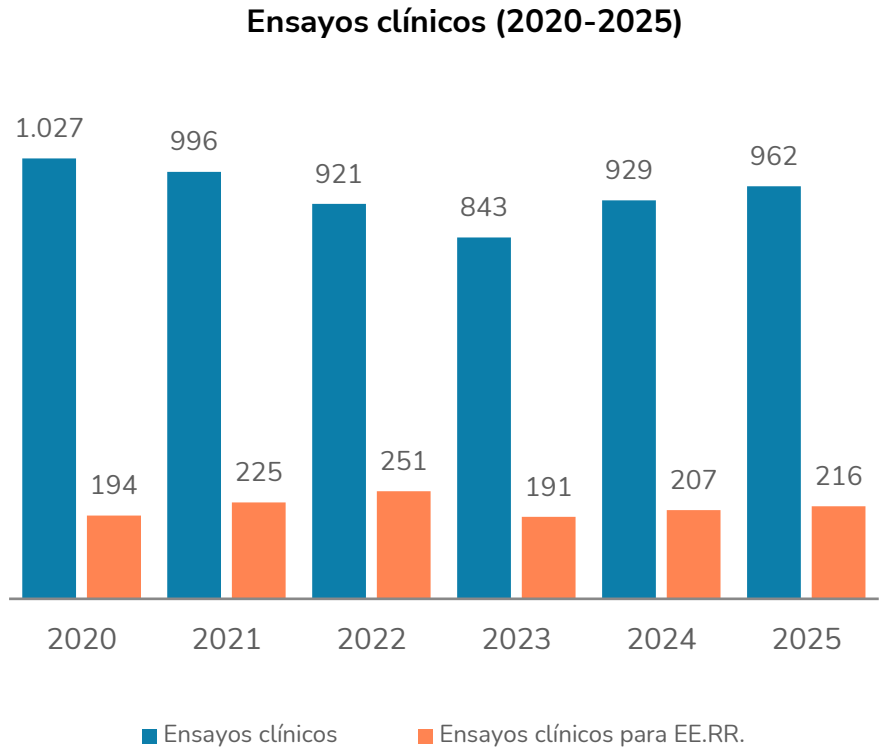


Nota. Las cifras correspondientes a los años 2020 a 2024 pueden presentar ligeras variaciones respecto a informes anteriores, ya que este análisis se ha realizado con datos actualizados del Registro Español de Estudios Clínicos (REec), con fecha de febrero de 2026.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Ensayos clínicos *autorizados en* España 2020-2025

- Entre 2020 y 2025 se autorizaron en España **5.678 ensayos clínicos**, de los que 1.284 se dirigieron a enfermedades raras (23 % del total).
- Entre 2020 y 2023 se observa una tendencia descendente, pasando de 1.027 a 843 ensayos (-18 %). Sin embargo, **a partir de 2024** se produce un **aumento de la actividad investigadora**, alcanzando los 962 ensayos en 2025.
- En contraste, los ensayos clínicos dirigidos a **enfermedades raras** muestran una **evolución más estable**, con un **crecimiento progresivo entre 2020 y 2022** (de 194 a 251 ensayos), seguido de un **descenso en 2023** (191 ensayos) y un **posterior aumento en 2024 y 2025** (207 y 216 ensayos, respectivamente).
- En términos relativos, el peso de **los ensayos clínicos para enfermedades raras** se mantiene estable a lo largo del periodo analizado, situándose en torno al **20–23 % del total**. Si bien en 2020 representaban aproximadamente el 19 %, en los años posteriores se observa una estabilización en torno al **22 % de los ensayos totales en los años 2024 y 2025**.

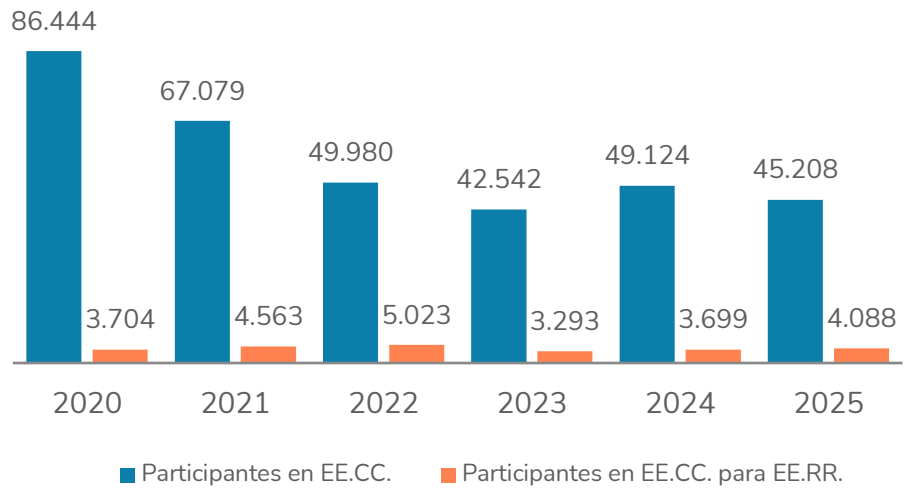


Documento exclusivo para asociados AELMHU

Participantes *en* ensayos clínicos 2020-2025

- Un total de **340.377 personas participaron** en ensayos clínicos entre 2020 y 2025.
- En 2020 se registró el número de participantes más alto, con 86.444, seguido de un descenso en los años posteriores. **A partir de 2022**, el volumen de participación anual se estabiliza en torno a **una media de 46.000 participantes anuales.**
- En contraste, el número de participantes en ensayos clínicos para **enfermedades raras** se mantuvo relativamente estable a lo largo de los últimos seis años, con un **promedio anual cercano a los 4.000 participantes** y un **total acumulado de 24.370** en el periodo analizado.
- El peso relativo de la participación en **ensayos clínicos para enfermedades raras** respecto al total pasó del 4 % en 2020 al 10 % en 2022, seguido de una estabilización en torno al 8–9 % en los últimos tres años**.**

Participantes en ensayos clínicos (2020-2025)



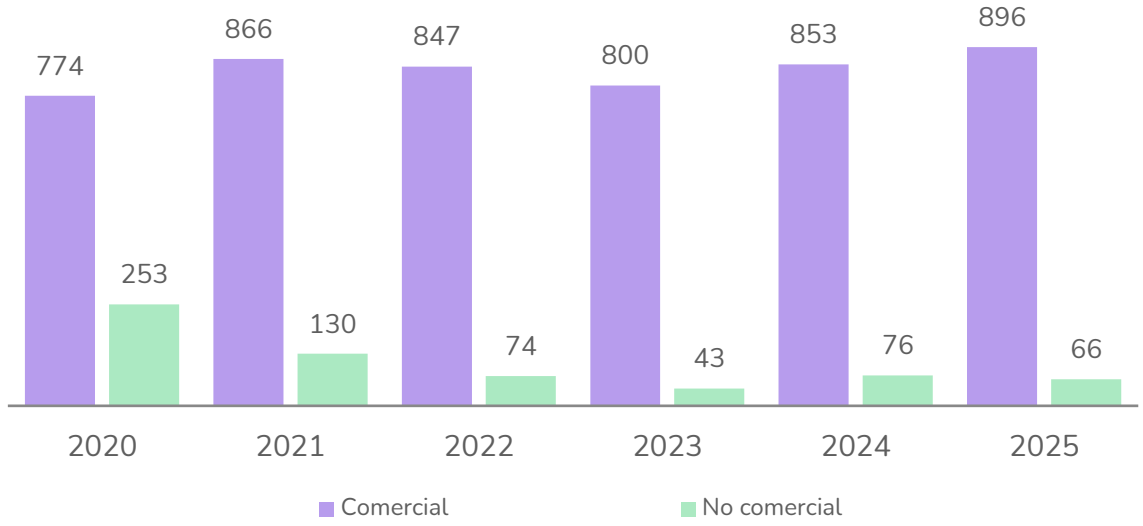
Documento exclusivo para asociados AELMHU

Nota 2: Se han excluido los ensayos clínicos con identificador 2023-506977-36-00 y 2024-516600-42-00, ambos de fase IV y pertenecientes al área terapéutica de enfermedades víricas, debido a que el elevado número de participantes incluidos (114.011 y 200.000 pacientes, respectivamente) distorsionaba el análisis agregado de los datos.

Promotores *de ensayos clínicos* 2020-2025

- En España, los ensayos clínicos son **impulsados mayoritariamente por promotores comerciales**, una tendencia que se ha mantenido constante en los últimos seis años.
- En **2020**, los **promotores comerciales** impulsaron **el 75 % de los ensayos**. A partir del 2021, la proporción de ensayos impulsados por este tipo de promotores no ha descendido del **90 % del total**.
- En los últimos seis años, se ha producido un **aumento en el número de ensayos promovidos por la industria**, pasando de 774 en 2020 a 896 en 2025. Por otro lado, los ensayos con **promotor no comercial** han **disminuido un 74 %** en este periodo (de 253 ensayos a 66).

Ensayos clínicos por tipo de promotor (2020-2025)



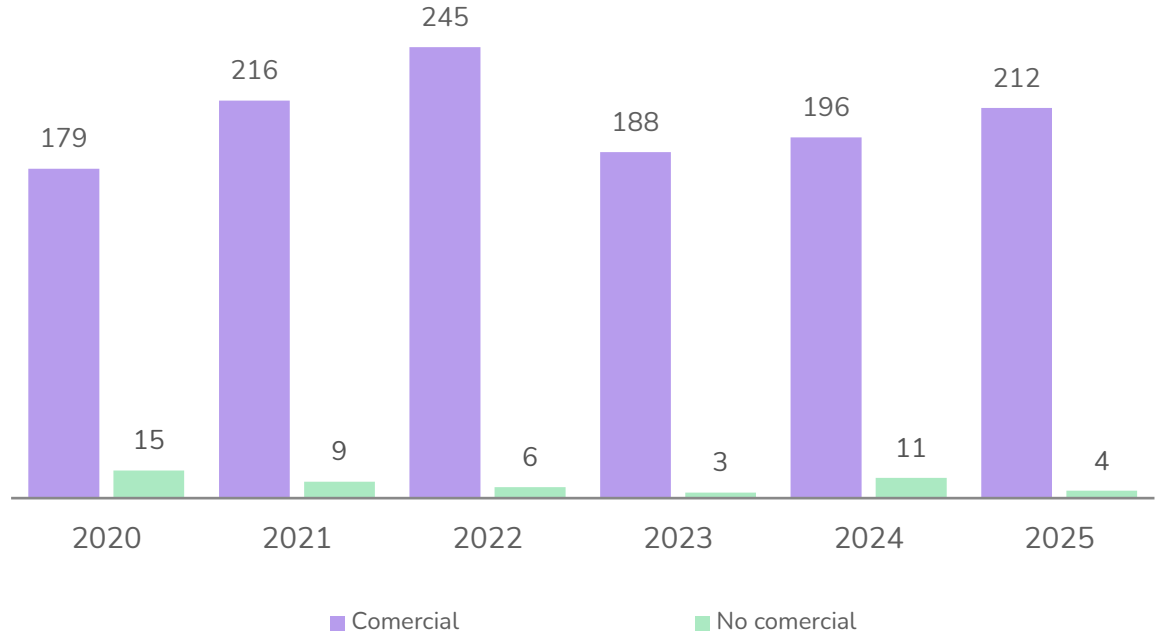
Nota: Los datos relativos al tipo de promotor (comercial/no comercial) se han obtenido del Registro Español de Estudios Clínicos (REec). No obstante, debido a limitaciones en el volcado de esta variable desde los sistemas europeos de registro, algunos estudios podrían no estar correctamente clasificados según su tipo de promotor.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Promotores *de ensayos clínicos para EE.RR.* 2020-2025

- De los 1.284 ensayos clínicos para enfermedades raras realizados en los últimos seis años, el **96 %** fueron promovidos por **promotores comerciales**.
- Desde el 2020, **1.236 ensayos** fueron impulsados por **promotores comerciales** y **48** por **no comerciales**.

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



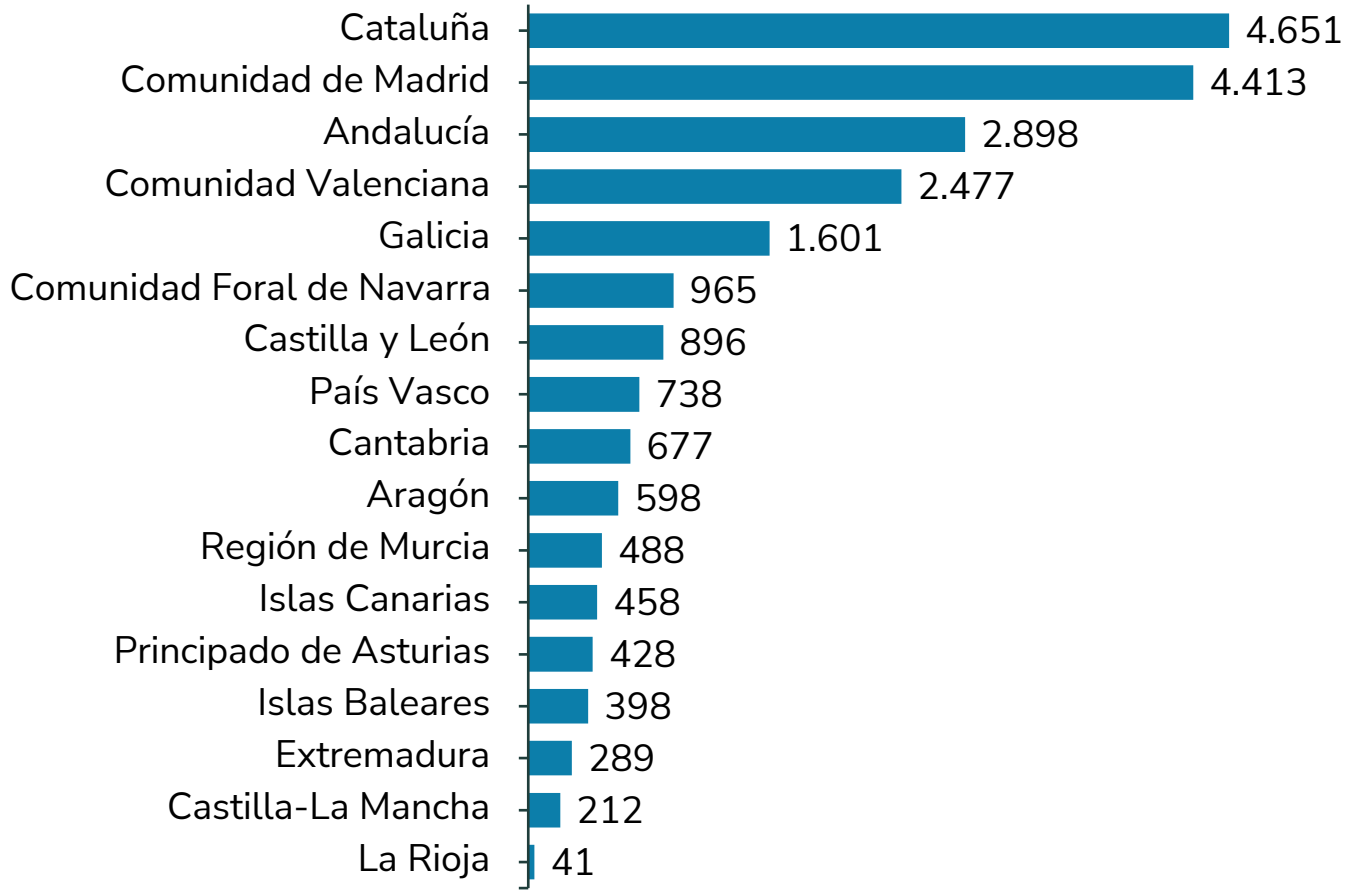
Documento exclusivo para asociados AELMHU

Nota: Los datos relativos al tipo de promotor (comercial/no comercial) se han obtenido del Registro Español de Estudios Clínicos (REec). No obstante, 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.

Participación *de las comunidades autónomas en* ensayos clínicos 2020-2025

- **Todas las comunidades autónomas** participaron en alguno de los **5.678 ensayos clínicos autorizados** en España entre **2020 y 2025.**
- **Cataluña** (4.651 ensayos; 82 % del total) y la **Comunidad de Madrid** (4.413; 78 %) **concentraron la mayor actividad,** posicionándose como los principales polos de investigación clínica en nuestro país.
- **La media de participación por ensayo clínico es de 4 comunidades autónomas**, lo que indica que la mayoría de los ensayos se concentran en estas regiones.

Ensayos clínicos por CC.AA. (2020-2025)



Nota: Los ensayos clínicos desarrollados en más de una comunidad autónoma han sido contabilizados en cada una de ellas, dado su carácter multicéntrico.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Participación *de* hospitales *en* ensayos clínicos 2020-2025

- En cuanto a la infraestructura investigadora, en los últimos seis años destacan tres hospitales por su elevada participación en ensayos clínicos.
- El **Hospital Universitario Vall d'Hebron** participó en 2.544 ensayos, lo que representa el **45 % del total** de ensayos autorizados entre 2020 y 2025. Por otro lado, el **Hospital Universitario 12 de Octubre** participó en el 26 % (1.489), mientras que el **Hospital Clínic de Barcelona** lo hizo en el 25 % (1.435).

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



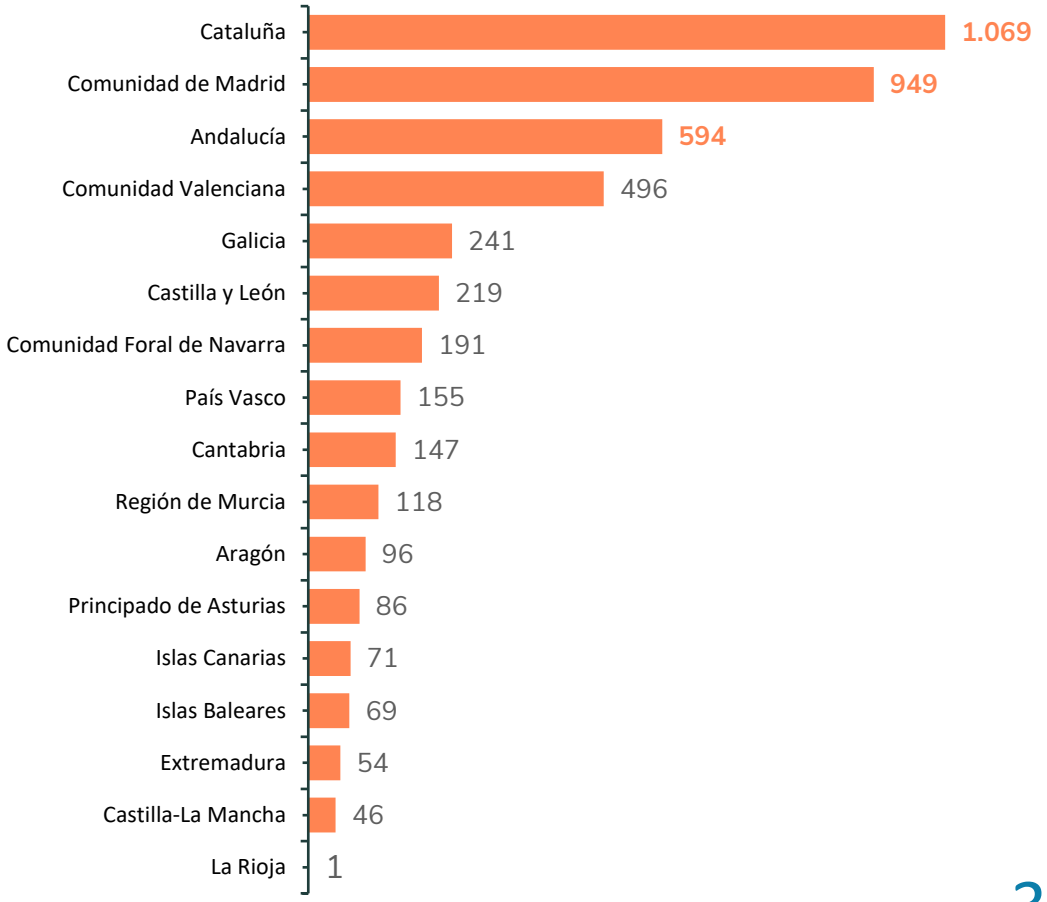
Nota: Los ensayos clínicos desarrollados en más de un centro han sido contabilizados en cada uno de ellos, dado su carácter multicéntrico.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Participación *de* las comunidades autónomas *en* ensayos clínicos *para* EE.RR. 2020-2025

- **Las 17 comunidades autónomas** participaron en alguno de los **1.284 ensayos clínicos** autorizados para **enfermedades raras** entre **2020 y 2025**, lo que refleja un compromiso compartido por impulsar la investigación.
- **Cataluña** participó en el **83 %** (1.069 ensayos) **del total de ensayos clínicos** autorizados en los últimos seis años, y la **Comunidad de Madrid** lo hizo en el **74 %** (949).
- **Andalucía** y la **Comunidad Valenciana** también participaron en un elevado número de ensayos clínicos, alcanzando el **46 %** (594) y **39 %** (496) del total a nivel nacional, respectivamente.
- Por otro lado, las comunidades con una **participación inferior al 5 %** del total fueron **Islas Baleares** (69 ensayos), **Extremadura** (54), **Castilla-La Mancha** (46) y **La Rioja** (1).

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

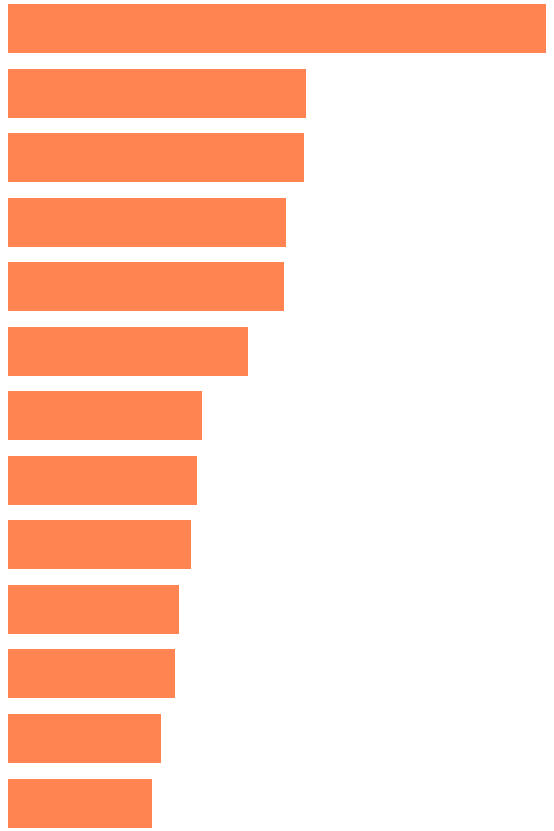


Nota: Los ensayos clínicos desarrollados en más de una comunidad autónoma han sido contabilizados en cada una de ellas, dado su carácter multicéntrico.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Hospitales líderes *en* investigación clínica *para* enfermedades raras 2020-2025

Centro	Comunidad autónoma	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 León	187
Clínica Universidad de Navarra	Comunidad Foral de Navarra	171
Hospital Sant Joan de Déu Barcelona	Cataluña	161

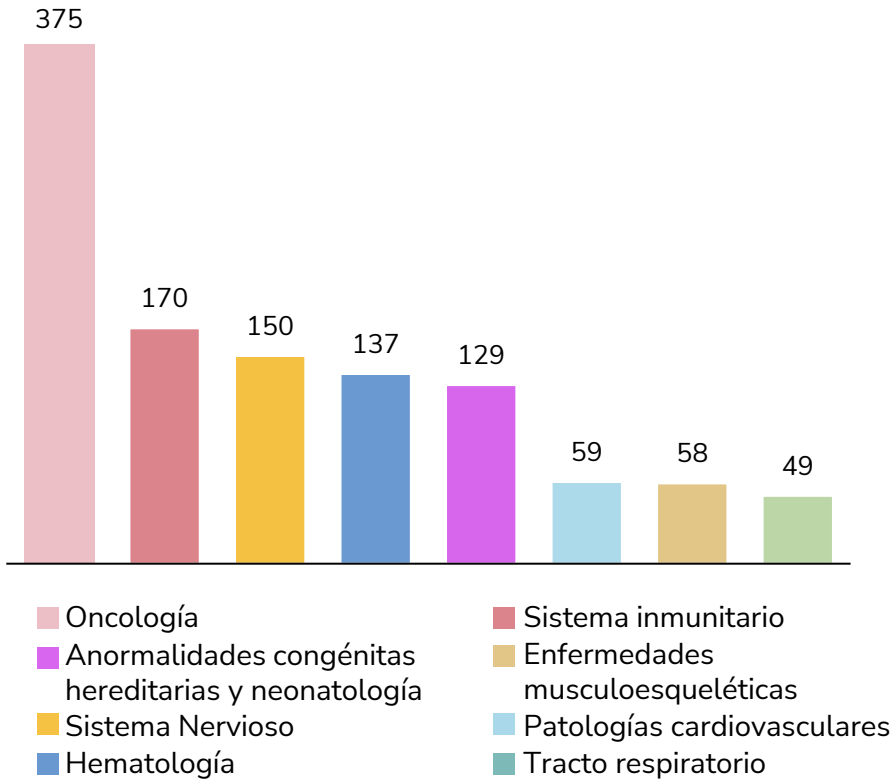


Documento exclusivo para asociados AELMHU

Ensayos clínicos *para* EE.RR *por* área terapéutica 2020-2025

- En los últimos seis años, **Oncología** es el área terapéutica con **mayor número de ensayos clínicos para EE.RR.**, concentrando el 29 % de los ensayos autorizados entre 2020 y 2025.
- A continuación, destacan las áreas del **sistema inmunitario** (170 ensayos; 13 %), **sistema nervioso** (150; 12 %), **hematología** (137; 11%) y **anormalidades congénitas, hereditarias y neonatología** (129; 10%).

Número de ensayos clínicos para EE.RR. por área terapéutica* (2020-2025)

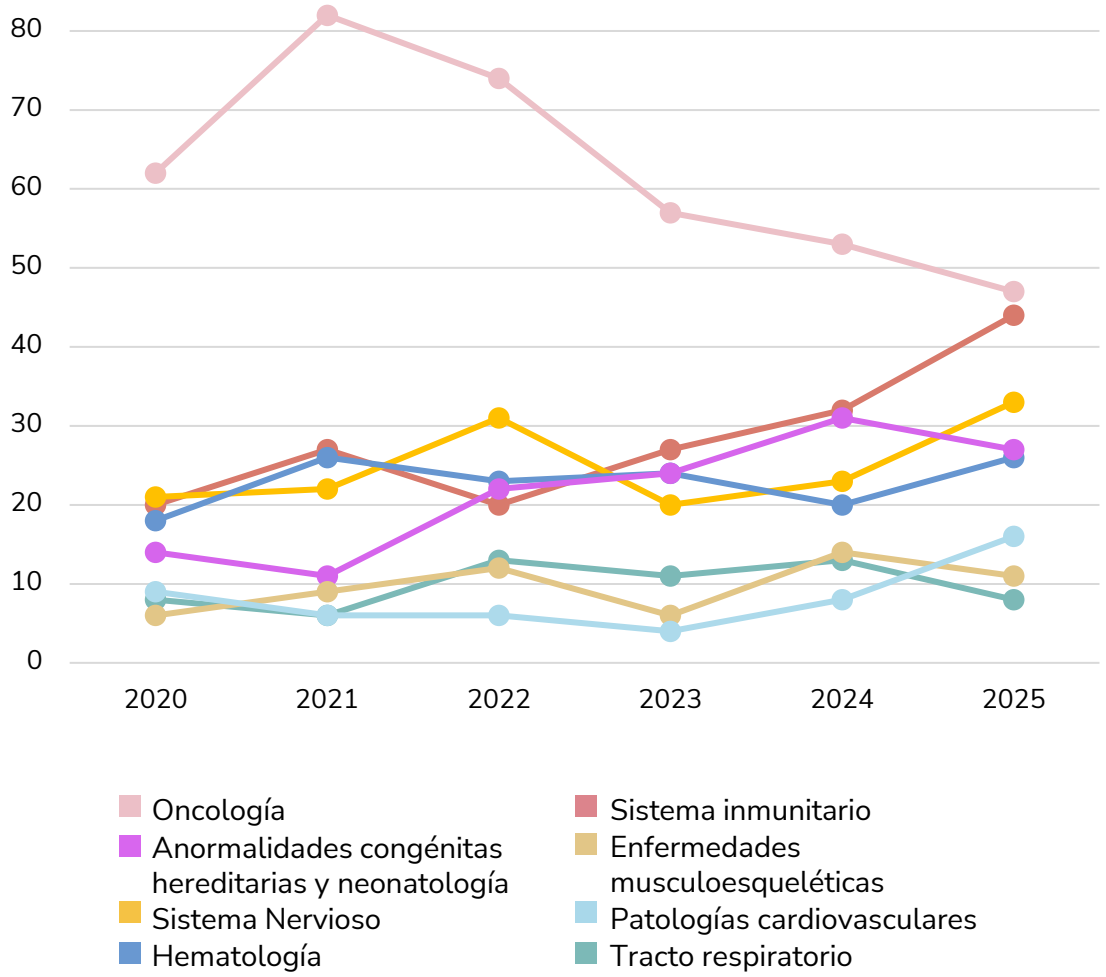


* Sólo se representan las áreas terapéuticas que incluyen más del 3 % del total de ensayos clínicos autorizados en el periodo 2020–2025.
Nota: Los ensayos clínicos desarrollados para más de un área terapéutica han sido contabilizados en cada una de ellas.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

- **Oncología** se mantiene como el **área predominante en ensayos clínicos para enfermedades raras**, alcanzando su máximo en 2021 (82 ensayos) y experimentando posteriormente una **tendencia descendente** hasta 2025 (47 ensayos).
- **Sistema inmunitario**, en cambio, pasó de 20 ensayos en 2020 a 44 en 2025, lo que refleja un aumento del interés en esta área terapéutica. **Sistema nervioso** se posiciona en 2025 (con 33 ensayos clínicos) como la tercera área terapéutica con mayor número de ensayos clínicos autorizados, después de Oncología (47) y Sistema inmunitario (44).
- En conjunto, los datos reflejan un desplazamiento progresivo desde una fuerte concentración en Oncología hacia una **mayor diversificación** en otras áreas terapéuticas, especialmente en Sistema inmunitario.

Ensayos clínicos para EE.RR. por área terapéutica* (2020-2025)



*Sólo se representan las áreas terapéuticas que incluyen más del 3 % del total de ensayos clínicos autorizados en el periodo 2020–2025.
Nota: Los ensayos clínicos desarrollados para más de un área terapéutica han sido contabilizados en cada una de ellas.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Ensayos clínicos *para* EE.RR *por* área terapéutica 2020-2025

- Desglose de los **datos de ensayos clínicos para EE.RR. por año en el periodo entre 2020 y 2025**. Se representan solo las áreas terapéuticas que incluyen más del 3 % del total de ensayos clínicos autorizados en este periodo.

	2020	2021	2022	2023	2024	2025
Oncología	62	82	74	57	53	47
Sistema inmunitario	20	27	20	27	32	44
Sistema Nervioso	21	22	31	20	23	33
Hematología	18	26	23	24	20	26
Anormalidades congénitas hereditarias y neonatología	14	11	22	24	31	27
Tracto respiratorio	8	6	13	11	13	8
Enfermedades musculoesqueléticas	6	9	12	6	14	11
Patologías cardiovasculares	9	6	6	4	8	16

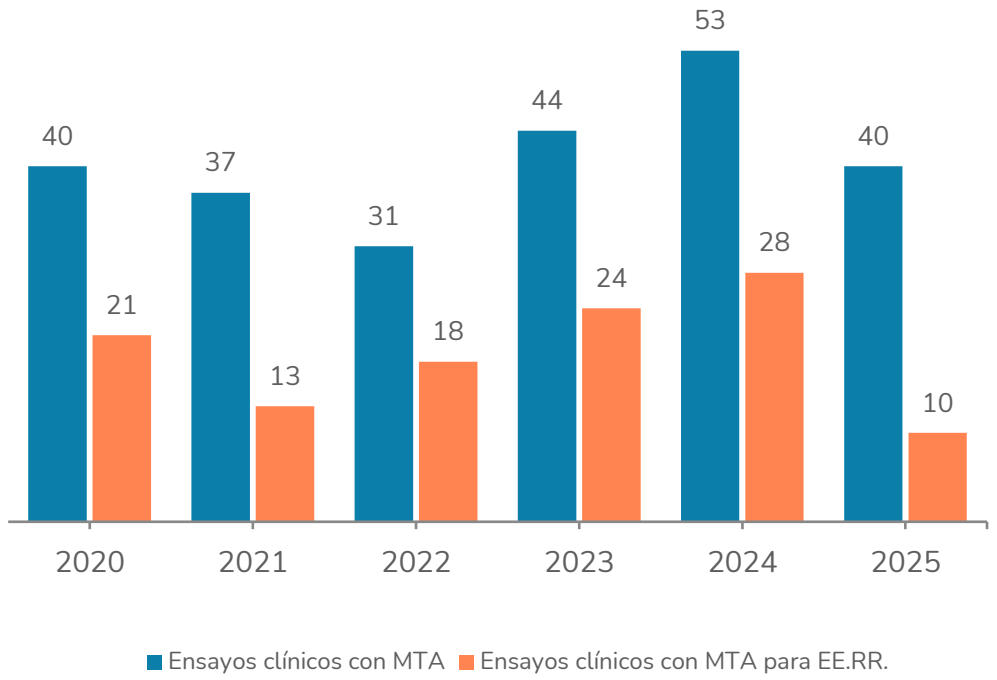
Nota: Los ensayos clínicos desarrollados para más de un área terapéutica han sido contabilizados en cada una de ellas.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Ensayos clínicos *con* terapias avanzadas 2020-2025

- Entre 2020 y 2025, se autorizaron un total **de 245 ensayos clínicos con terapias avanzadas** en España, de los cuales **114** (47 %) eran **para enfermedades raras.**
- Tras una **fase de descenso entre 2020 y 2022**, el número de ensayos clínicos con MTA aumentó hasta **alcanzar su máximo en 2024**, con **53.**
- En el **ámbito de las enfermedades raras**, el número de ensayos con MTA aumentó de manera progresiva entre 2021 y 2024, pasando de 13 a 28 (+15) y manteniendo una representación en torno al 50–55 % del total de ensayos con MTA. **En 2025**, este número **descendió a 10 ensayos**, **reduciendo su peso relativo** sobre el total de ensayos con MTA **al 25 %.**

Ensayos clínicos con MTA autorizados (2020-2025)

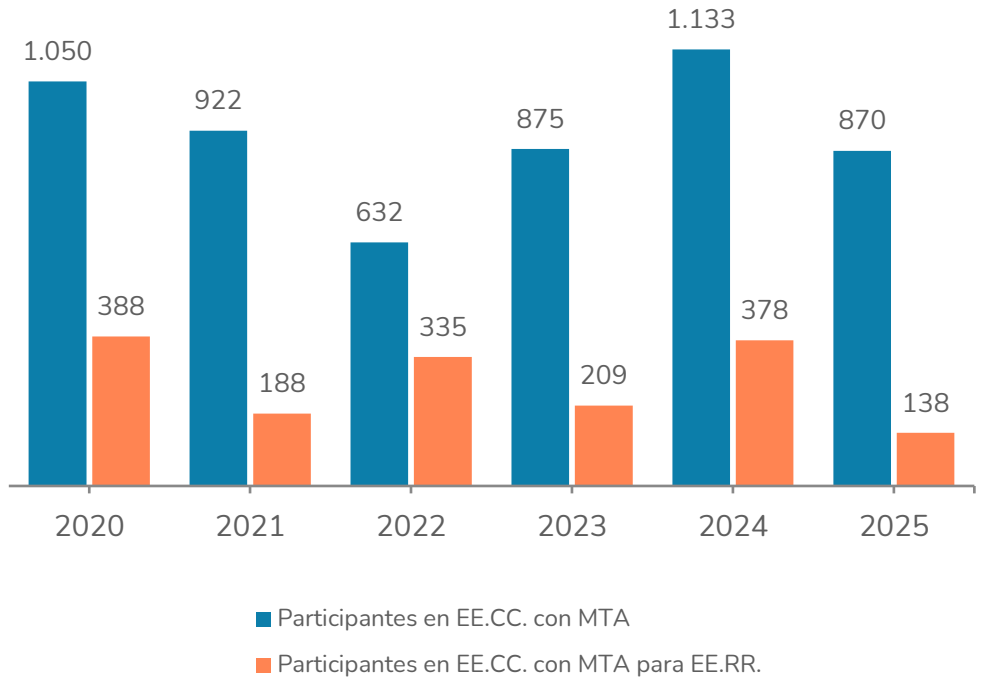


Documento exclusivo para asociados AELMHU

Participantes *en* ensayos clínicos *con* terapias avanzadas 2020-2025

- Los **ensayos con medicamentos de terapias avanzadas para enfermedades raras** incluyeron a 1.636 personas entre 2020 y 2025, lo que representa el **30 % del total de participantes en ensayos clínicos con MTA** (5.482 personas) en los últimos seis años.
- Destaca el año 2022, en el que **el 53 % de los participantes en ensayos con MTA formaron parte de estudios para enfermedades raras**, y el año 2020, que registró el mayor número absoluto de participantes **(388 personas)** en ensayos con MTA para enfermedades raras.
- En los últimos seis años, **la menor participación en ensayos con MTA para enfermedades raras se registró en 2025**, cuando los 10 ensayos con MTA para enfermedades raras incluyeron a 138 participantes (una media de 14 personas por ensayo).

Participantes en ensayos clínicos con MTA (2020-2025)



Documento exclusivo para asociados AELMHU

Análisis de los EE.CC. de los asociados de AELMHU entre 2020-2025

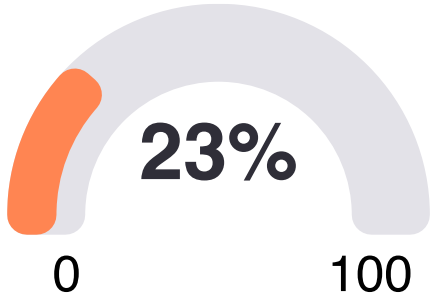
Nota: Para este informe, se han considerado como asociado a aquellas empresas que formaban parte de AELMHU en febrero de 2026.

Documento exclusivo para asociados AELMHU



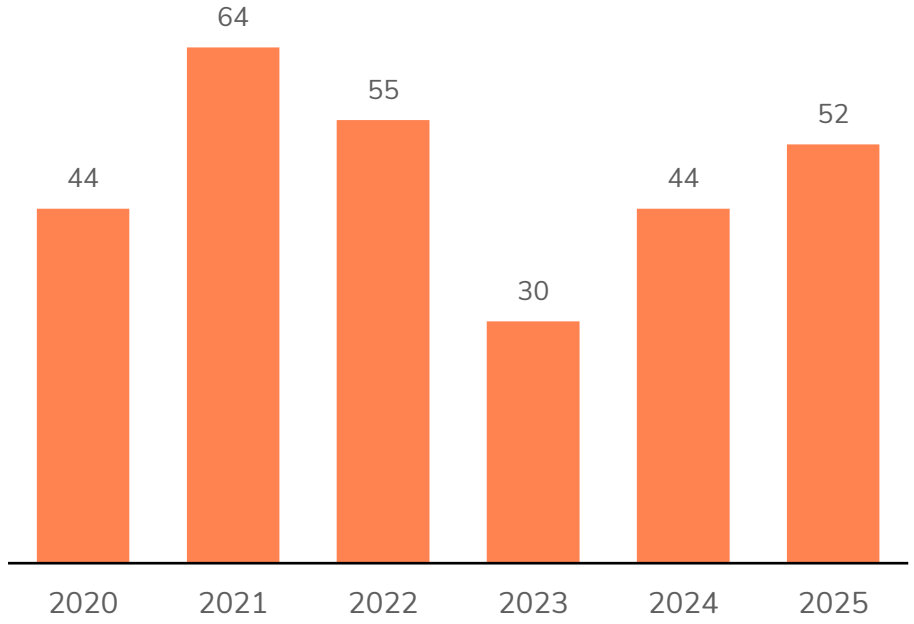
Ensayos clínicos *de los* asociados *de* AELMHU

- En el periodo de 2020 a 2025, **los 29 asociados actuales de AELMHU impulsaron un total de 289 ensayos clínicos para enfermedades raras**, consolidando su compromiso con la investigación en este ámbito.
- La actividad investigadora de los asociados de AELMHU alcanzó su máximo en 2021 con 64 ensayos y el mínimo en 2023 con 30 ensayos. En 2025, esta cifra se situó en **52 ensayos clínicos**.
- Los asociados de AELMHU impulsaron de media el **23 % del total de ensayos clínicos para enfermedades raras autorizados en España** entre 2020 y 2025.



De los ensayos clínicos en enfermedades raras son impulsados por asociados de AELMHU

Ensayos clínicos para EE.RR. de los asociados de AELMHU (2020-2025)

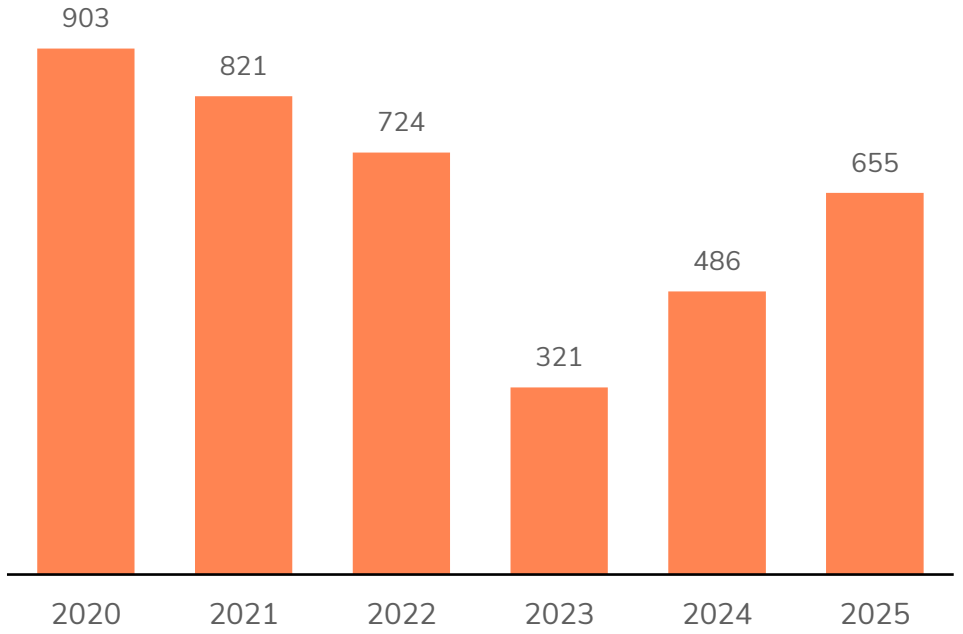


Documento exclusivo para asociados AELMHU

Participantes *en* ensayos clínicos *de los* asociados *de* AELMHU

- En los últimos seis años, los ensayos clínicos para enfermedades raras promovidos por los asociados de AELMHU incluyeron **un total de 3.910 participantes**.
- **El año con mayor participación fue 2020**, con 903 personas, mientras que 2023 registró la cifra más baja (321 participantes). Tras 2023 esta cifra ha ido en aumento, hasta alcanzar los 655 participantes en 2025.

Participantes en ensayos clínicos para EE.RR. de los asociados de AELMHU (2020-2025)



(1) Para este informe, se han considerado como asociados aquellas empresas que formaban parte de AELMHU en febrero de 2026.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Ensayos clínicos *de los* asociados *de* AELMHU *por* comunidad autónoma

- Entre 2020 y 2025, los 289 ensayos clínicos promovidos por los asociados de AELMHU en el ámbito de las enfermedades raras **se distribuyeron prácticamente por todo el territorio nacional**, con la única excepción de La Rioja.
- Sin embargo, se mantienen diferencias notables entre comunidades. **Cataluña** con 240 ensayos (83 % del total) y la **Comunidad de Madrid** con 206 ensayos (71 %) concentran el mayor volumen de ensayos clínicos, seguidas por **Andalucía** (138; 48 %) y la **Comunidad Valenciana** (115; 40 %).
- Por el contrario, regiones como **Aragón**, con 13 ensayos, **Castilla-La Mancha**, con 9, y **Extremadura**, con 6, muestran una menor actividad.

Ensayos clínicos para EE.RR. por CC.AA. de los asociados de AELMHU (2020-2025)



Nota: Los ensayos clínicos desarrollados en más de una comunidad autónoma han sido contabilizados en cada una de ellas, dado su carácter multicéntrico.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Ensayos clínicos *de los* asociados *de* AELMHU *por* hospitales

- Entre los centros implicados en los ensayos clínicos para enfermedades raras impulsados por los asociados de AELMHU, destacan especialmente cinco por su alto volumen de participación: el **Hospital Universitario Vall d'Hebron** (144 ensayos; 50 % del total), el **Hospital Universitario y Politécnico La Fe** (78 ensayos; 27 %), el **Hospital Universitario Virgen del Rocío** (71 ensayos; 25 %), el **Hospital Clínic de Barcelona** (69 ensayos; 24 %), y el **Hospital Universitario La Paz** (68 ensayos; 24 %).

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

Centro	CC.AA.	Nº EE.CC. para EE.RR.
Hospital Universitario Vall d'Hebron	**Cataluña**	**144**
Hospital Universitario y Politécnico La Fe	**Comunidad Valenciana**	**78**
Hospital Universitario Virgen del Rocío	**Andalucía**	**71**
Hospital Clínic de Barcelona	Cataluña	69
Hospital Universitario La Paz	Comunidad de Madrid	68

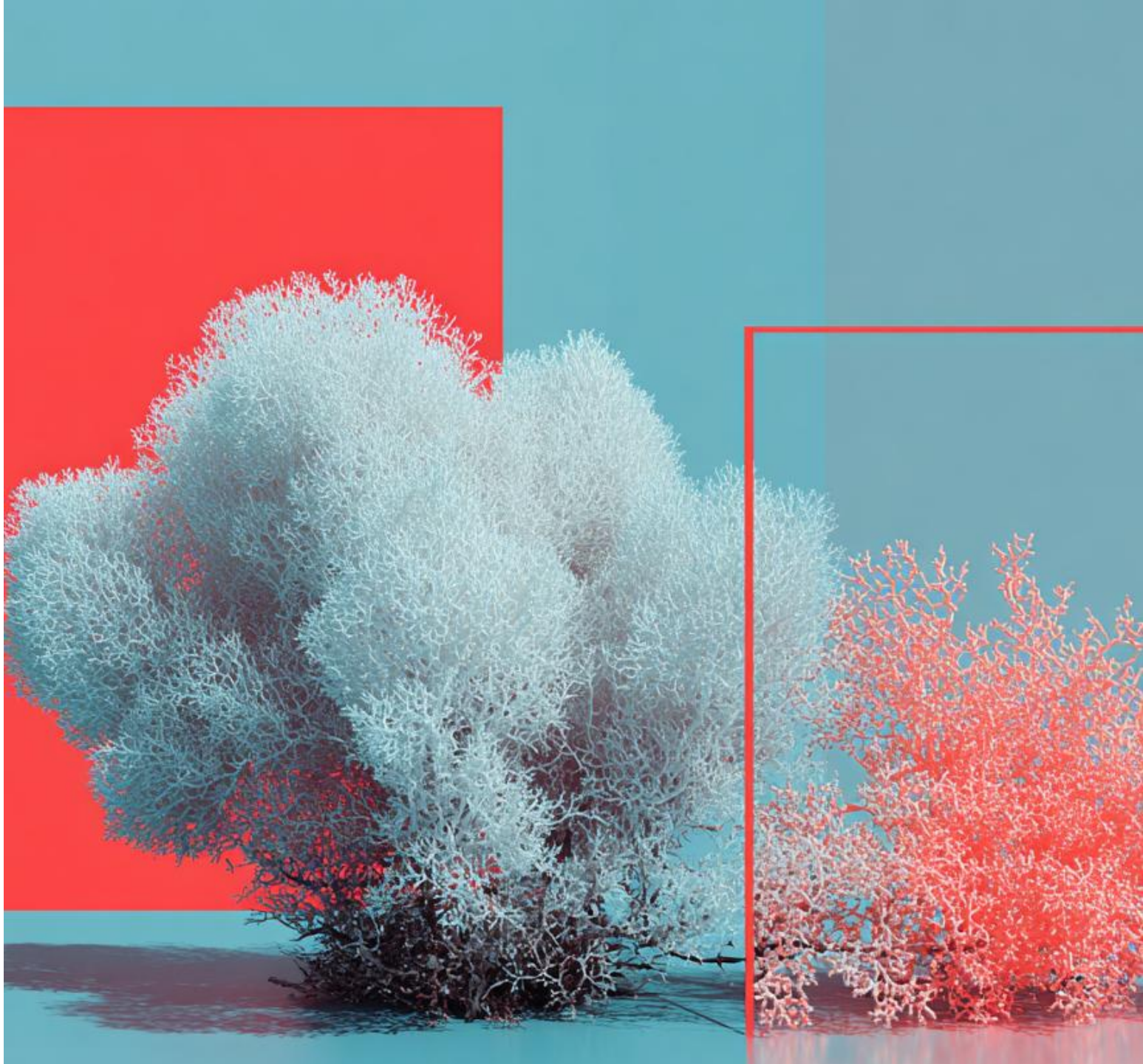
Nota: Los ensayos clínicos desarrollados en más de un centro han sido contabilizados en cada uno de ellos, dado su carácter multicéntrico.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Resumen

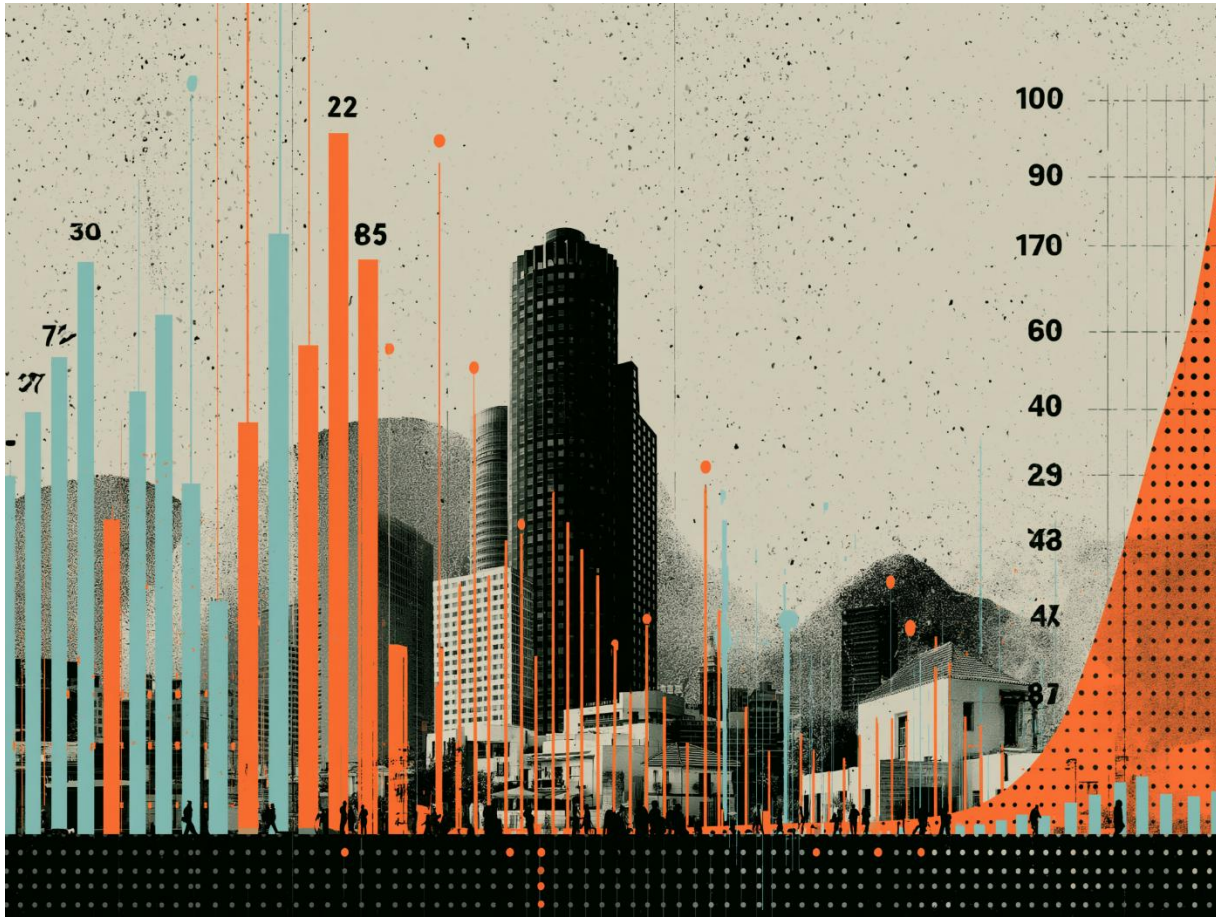
Principales datos



Resumen: principales datos

01. BALANCE 2024 - 2025

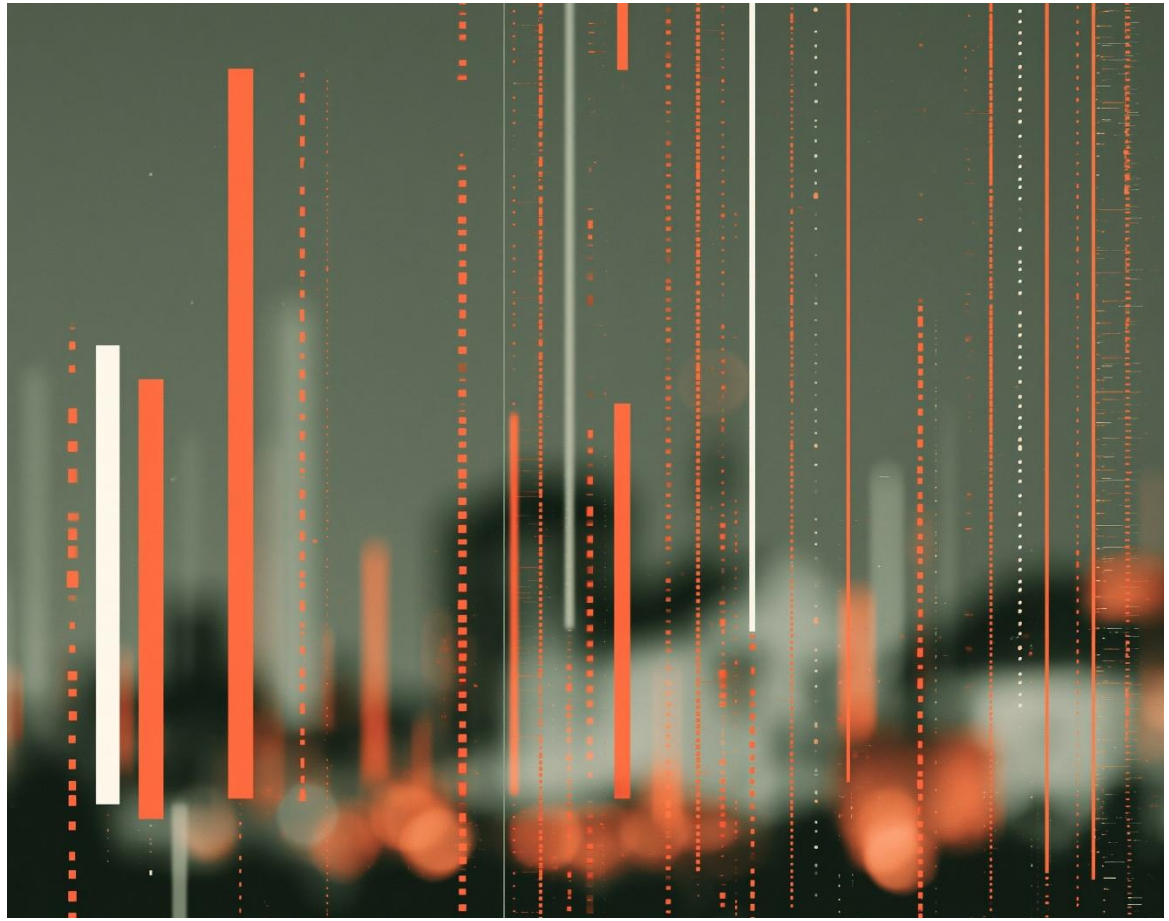
- En 2025 se autorizaron **962 ensayos clínicos** en España, un 3 % más que en 2024. De ellos, **216 se dirigieron a enfermedades raras** (22,5 % del total).
- La participación total en ensayos clínicos en España descendió un 8 % (de 49.124 a 45.208 personas), especialmente en población pediátrica **(–24 % global).**
- Sin embargo, **la participación para en ensayos clínicos para enfermedades raras creció un 11 %,** alcanzando los 4.088 participantes.
- Las **fases II y III concentran el 72 % de los ensayos para enfermedades raras**. Respecto el 2024, destaca el aumento de ensayos en la fase III (+22 %, de 77 a 94 ensayos).



Documento exclusivo para asociados AELMHU

Resumen: principales datos

01. BALANCE 2024 - 2025



- **Cataluña, Madrid y Andalucía** lideran la actividad en ensayos clínicos, albergando más del 50% de los ensayos autorizados para enfermedades raras. Sin embargo, al ajustar por población, comunidades como **Navarra, Galicia, País Vasco o la Comunidad Valenciana** destacan al superar la tasa por millón de habitantes presentada por Cataluña y Andalucía.
- **Oncología** sigue siendo el área con mayor numero de ensayos (47). **Sistema inmunitario** (+38 % respecto el 2024), **sistema nervioso** (+43 %) y **enfermedades cardiovasculares** (+100 %) aumentaron el número de EE.CC. respecto al año pasado.
- Los ensayos con **terapias avanzadas** en 2025 descendieron respecto a 2024 tanto en los ensayos totales (-25%) como en aquellos dirigidos a EE.RR. (-64 %).

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Resumen: principales datos



02. TRAYECTORIA DESDE 2020 A 2025

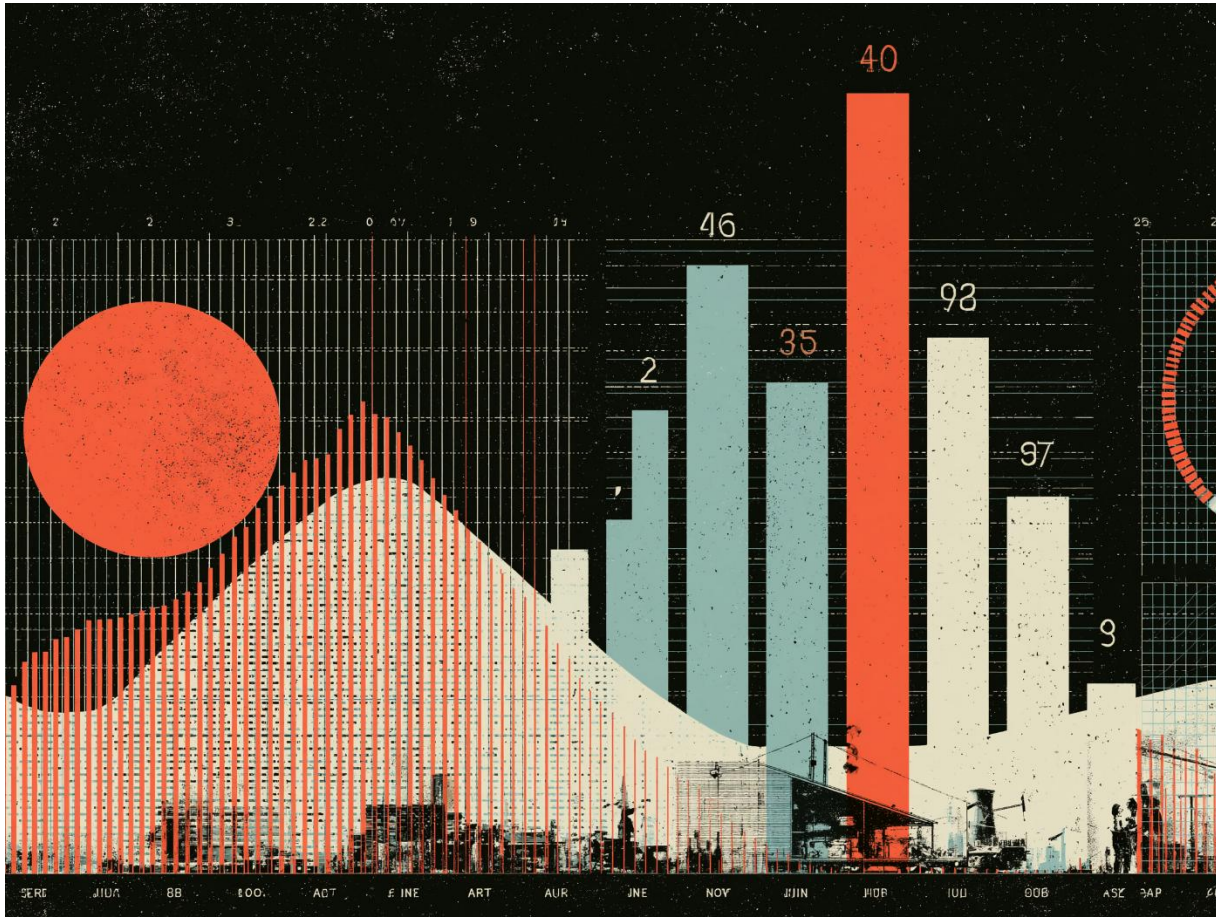
- Desde 2020 se han autorizado **5.678 ensayos clínicos**, de los cuales **1.284 (23 % del total) se han dirigido a enfermedades raras**. Tras un descenso entre 2020 y 2023, la actividad se ha recuperado en los dos últimos años.
- 340.377 personas han participado en ensayos clínicos en este periodo, siendo **24.370 participantes de ensayos para enfermedades raras**, con un promedio anual cercano a 4.000 participantes y un peso relativo que ha pasado del 4 % en 2020 al 9 % en 2025.
- Se observa una **mayor diversificación en áreas terapéuticas**, con un aumento de los ensayos destinados al sistema inmunitario, sistema nervioso y hematología.
- El **Hospital Universitario Vall d´Hebron**, el **Hospital Universitario 12 de Octubre** y el **Hospital Clínic de Barcelona** concentran el mayor volumen de ensayos en este periodo.

Documento exclusivo para asociados AELMHU

Resumen: principales datos

03. CONTRIBUCIÓN DE LOS ASOCIADOS DE AELMHU

- 29 asociados de AELMHU impulsaron **289 ensayos clínicos para enfermedades raras entre 2020 y 2025**, lo que representa el 23 % del total autorizado en España en este ámbito.
- Tras los 30 ensayos realizados en 2023, la actividad se ha recuperado hasta alcanzar los **52 ensayos en 2025** (+18 % respecto a 2020), con 655 participantes incluidos.
- **Cataluña** y **Madrid** concentran la mayor parte de la actividad investigadora de los asociados de AELMHU.
- **Cinco hospitales destacan como motores de la investigación impulsada por los asociados de AELMHU**: el Hospital Universitario Vall d´Hebron, el Hospital Universitario y Politécnico La Fe, el Hospital Universitario Virgen del Rocío, el Hospital Clínic de Barcelona y el Hospital Universitario La Paz.



Documento exclusivo para asociados AELMHU

Informe de:

asociación española de laboratorios de medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

aelmhu.es

Documento exclusivo para asociados AELMHU