APLICACIÓN DE LA DISPOSICIÓN ADICIONAL SEXTA DEL ANTEPROYECTO DE LEY DE LOS MEDICAMENTOS Y PRODUCTOS SANITARIOS A LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

La **Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU)** comparte plenamente los objetivos del Gobierno orientados a reforzar la competitividad de la industria farmacéutica española, favorecer la atracción de inversión de alto valor añadido, impulsar la investigación y la innovación biomédica y consolidar un sector estratégico para el crecimiento económico y la autonomía tecnológica del país.

En este contexto, AELMHU valora positivamente la **Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024-2028**, impulsada conjuntamente por el Gobierno de España y los principales agentes del sector, entre ellos la propia Asociación. La Estrategia configura una visión integrada de la política farmacéutica, en la que la innovación, la política industrial, la investigación, la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud y la competitividad forman parte de un mismo proyecto estratégico de país.

Este planteamiento **inspira buena parte de las reformas incorporadas al Anteproyecto de Ley de los Medicamentos y Productos Sanitarios**. En este sentido, AELMHU valora positivamente que el Anteproyecto incorpore diversas medidas que contribuyen a reconocer las especificidades de los medicamentos huérfanos y a facilitar el acceso a la innovación.

Precisamente por ello, las consideraciones recogidas en este documento no cuestionan el Anteproyecto en su conjunto, sino que se centran en un aspecto concreto que, a juicio de la Asociación, **puede resultar difícilmente conciliable con los objetivos de la Estrategia de la Industria Farmacéutica**: la aplicación de la **Disposición Adicional Sexta** a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos.

La posición de AELMHU respecto a esta disposición constituye una **posición institucional consolidada, que la Asociación mantiene desde 2022** y que ha trasladado de forma reiterada al Ministerio de Sanidad mediante aportaciones formales, reuniones institucionales y encuentros técnicos celebrados durante la tramitación de la reforma normativa. La Asociación considera que **la inclusión de los medicamentos huérfanos en el ámbito de aplicación de la Disposición Adicional Sexta plantea dudas desde la perspectiva de la necesidad, la proporcionalidad y la coherencia regulatoria.**

A estas consideraciones se añade una cuestión de política industrial. La Estrategia de la Industria Farmacéutica identifica las enfermedades raras como un ámbito estratégico para España y sitúa la innovación en este campo como una prioridad para **reforzar la competitividad, atraer inversión y consolidar el liderazgo científico e industrial de nuestro país**. Desde esta perspectiva, resulta oportuno **valorar si la aplicación de la Disposición Adicional Sexta es coherente con los objetivos que la propia Estrategia persigue.**

Por este motivo, AELMHU traslada al Ministerio de Industria y Turismo esta reflexión y solicita que, **en el ámbito de sus competencias,** valore el impacto que esta medida puede tener sobre sus objetivos y promueva el mantenimiento de la exclusión de los medicamentos huérfanos y

ultrahuérfanos del ámbito de aplicación de la Disposición Adicional Sexta durante la tramitación del Anteproyecto de Ley.

Las consideraciones que se exponen a continuación:

1. Las enfermedades raras constituyen un ámbito estratégico para la política industrial impulsada por el Gobierno

La **Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024-2028** establece un nuevo marco de política industrial para el sector farmacéutico basado en una visión integral que combina las necesidades de salud de la población con los objetivos de competitividad, resiliencia, innovación y desarrollo industrial. La Estrategia parte de la premisa de que las políticas públicas dirigidas al medicamento deben diseñarse de forma coordinada para fortalecer un ecosistema capaz de generar conocimiento, atraer inversión, impulsar la producción y mejorar el acceso a la innovación.

En este contexto, la Estrategia **identifica expresamente las enfermedades raras como una de las áreas terapéuticas estratégicas para España**, atendiendo a la elevada carga que representan para los pacientes y sus familias, a la existencia de importantes necesidades médicas no cubiertas y a su capacidad para impulsar el progreso científico y tecnológico.

La propia Estrategia señala que **«la inversión en las enfermedades raras no solo mejora directamente la vida de estos pacientes y sus familias, sino que también impulsa avances científicos más amplios»** (pág. 18). Este reconocimiento pone de manifiesto que la investigación en enfermedades raras trasciende el ámbito estrictamente asistencial y constituye un **motor de innovación**, capaz de generar conocimiento, desarrollar nuevas tecnologías y favorecer avances científicos con aplicación en múltiples áreas terapéuticas.

A esta dimensión científica se añade un **importante impacto económico y social**. Las enfermedades raras generan una elevada carga para los pacientes, sus familias y los sistemas públicos, con repercusiones que afectan al empleo, la educación, la productividad, la participación social y la calidad de vida. En este contexto, el **desarrollo de medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos no solo responde a una necesidad clínica, sino que también puede contribuir a reducir hospitalizaciones, optimizar la utilización de recursos sanitarios y disminuir los costes sociales e indirectos asociados a la enfermedad.**

España se ha consolidado, además, como uno de los p**aíses europeos de referencia en investigación clínica** y ocupa una posición destacada en enfermedades raras y medicamentos innovadores. Durante 2025 se autorizaron **216 ensayos clínicos en enfermedades raras**, aproximadamente el **22 % del total nacional**, de los cuales el **98 % fueron promovidos por la industria farmacéutica**. Esta actividad contribuye a atraer inversión de alto valor añadido, generar empleo altamente cualificado, fortalecer la capacidad investigadora del Sistema Nacional de Salud y consolidar un tejido empresarial intensivo en investigación y desarrollo.

Todo ello explica que las enfermedades raras ocupen un lugar prioritario dentro de la Estrategia de la Industria Farmacéutica. La investigación, el desarrollo y la disponibilidad

de nuevos medicamentos huérfanos no constituyen únicamente un objetivo sanitario, sino también un elemento estratégico para reforzar la competitividad, la capacidad innovadora y el posicionamiento internacional de la industria farmacéutica española.

2. La aplicación de la Disposición Adicional Sexta puede comprometer los objetivos de la Estrategia de la Industria Farmacéutica

La **Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024-2028** parte de la premisa de que la competitividad del sector farmacéutico depende de la existencia de un entorno capaz de ofrecer confianza, estabilidad y previsibilidad a largo plazo. En este sentido, la Estrategia señala que uno de sus objetivos es **«fijar las prioridades públicas para la próxima década y lanzar las señales al ecosistema, al mercado y a los agentes inversores (…) con tiempo, seguridad y estabilidad»** (pág. 13), como condición para favorecer la inversión, fortalecer el tejido industrial y consolidar la posición de España como destino para el desarrollo de actividades de alto valor añadido.

Este planteamiento resulta especialmente relevante en el ámbito de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos. El desarrollo de tratamientos destinados a enfermedades raras exige **largos periodos de investigación, elevados niveles de inversión y un alto grado de incertidumbre científica, regulatoria y económica**. En consecuencia, las decisiones de inversión y de lanzamiento de nuevas terapias no dependen únicamente del potencial científico de un país, sino también de la estabilidad y previsibilidad de su marco regulatorio.

En este contexto, la aplicación de la Disposición Adicional Sexta debe valorarse también desde la perspectiva de la política industrial. **Más allá de sus posibles efectos presupuestarios**, la incorporación de una nueva obligación económica sobre una categoría de medicamentos que la propia Estrategia identifica como estratégica puede alterar la percepción del marco regulatorio español y **afectar al atractivo de nuestro país para el desarrollo de nuevas actividades de investigación, innovación y producción.**

Esta realidad afecta ya a un número significativo de empresas. Según los últimos datos de AELMHU, actualizados a **30 de abril de 2026**, **68 empresas** cuentan con medicamentos huérfanos con Código Nacional en España y **54 de ellas** tienen uno o varios medicamentos financiados por el Sistema Nacional de Salud. La aplicación de la Disposición Adicional Sexta tendría, por tanto, un **impacto directo sobre un número relevante de compañías que desarrollan actividad innovadora en nuestro país.**

A ello se añade que el mecanismo de minoración previsto a través del **Programa PROFARMA** no refleja plenamente el modelo de innovación de muchas de las compañías especializadas en enfermedades raras. De las **29 empresas** que integran actualmente AELMHU, únicamente **8 participan** en la convocatoria PROFARMA 2025-2026 y **ninguna ha obtenido la calificación de «Excelente»**, no por una menor capacidad innovadora, sino porque los criterios de evaluación responden a un modelo industrial distinto del que caracteriza a buena parte de las empresas especializadas en medicamentos huérfanos. En consecuencia, **una parte significativa de este tejido empresarial no puede compensar el impacto que supondría la**

aplicación de la Disposición Adicional Sexta mediante los mecanismos de minoración previstos en dicho programa.

A ello se añade el ecosistema empresarial en desarrollo. El ejercicio de **Horizon Scanning** de AELMHU identifica actualmente **alrededor de 35 compañías** con terapias avanzadas para enfermedades raras en distintas fases de desarrollo y pendientes de su futura incorporación al mercado español. Las **decisiones regulatorias que se adopten durante la tramitación del Anteproyecto constituirán también una señal para estas empresas** a la hora de planificar sus estrategias de inversión y de lanzamiento de nuevos tratamientos.

El principal riesgo no reside necesariamente en la deslocalización inmediata de empresas ya implantadas, sino en la influencia que el entorno regulatorio puede ejercer sobre las decisiones futuras de inversión. En un mercado internacional altamente competitivo, la acumulación de **nuevas obligaciones económicas puede reducir el atractivo de España para nuevos proyectos de investigación y desarrollo, retrasar la incorporación de medicamentos huérfanos y ultrahuérfanas al mercado español o condicionar la priorización de nuestro país en las estrategias internacionales de lanzamiento de nuevas terapias.**

Desde esta perspectiva, la cuestión no es únicamente cuál puede ser el beneficio presupuestario derivado de la Disposición Adicional Sexta, sino si dicho beneficio compensa el posible coste de oportunidad asociado a una menor capacidad para atraer inversión, innovación y actividad empresarial hacia un ámbito que el propio Gobierno identifica como estratégico para la competitividad de la industria farmacéutica española.

3. La aplicación de la Disposición Adicional Sexta requiere una justificación específica para los medicamentos huérfanos

Uno de los principios de la buena regulación es que toda nueva obligación económica debe responder a una necesidad objetivamente acreditada, ser proporcionada respecto al objetivo perseguido y aportar un valor añadido respecto a los instrumentos ya existentes.

En el caso de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos, **AELMHU considera que, con la información actualmente disponible, no se ha acreditado la existencia de un problema específico de sostenibilidad que justifique la incorporación de una obligación económica adicional.**

Los datos publicados por el Ministerio de Sanidad muestran que, entre **2020 y 2024**, los medicamentos huérfanos han mantenido una participación estable, **en torno al 10 % del gasto farmacéutico hospitalario**, mientras que el número de medicamentos financiados aumentó de **46 a 85**. Durante ese mismo periodo, el consumo hospitalario creció un **52,8 %**, mientras que el consumo medio por medicamento financiado se redujo un **17,3 %**.

Estos datos indican que el incremento del gasto responde fundamentalmente a la incorporación progresiva de nuevas alternativas terapéuticas y al aumento del número de pacientes que acceden a ellas, **y no a un incremento desproporcionado del coste medio de los medicamentos huérfanos**.

A ello se añade que los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos **ya están sometidos los procesos de evaluación, negociación y financiación más exigentes del Sistema Nacional de Salud**. La financiación condicionada, las restricciones de uso, los acuerdos de financiación, los modelos de pago por resultados, las revisiones periódicas de precio y los mecanismos de seguimiento forman parte habitual de su financiación pública.

En consecuencia, **la incertidumbre clínica y presupuestaria ya se gestiona mediante instrumentos individualizados acordados para cada medicamento**, lo que limita el valor añadido que pueda aportar un mecanismo general como el previsto en la Disposición Adicional Sexta.

Desde esta perspectiva, la incorporación de una nueva obligación económica requiere una justificación específica que permita acreditar no solo su necesidad y proporcionalidad, sino también el beneficio adicional que aportaría respecto a los mecanismos de control económico ya existentes.

4. La aplicación de la Disposición Adicional Sexta debe valorarse de forma coherente con la Estrategia de la Industria Farmacéutica

La **Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024-2028** parte de la necesidad de garantizar la **coherencia entre la política sanitaria, la política industrial y el resto de las políticas públicas** que inciden sobre el sector farmacéutico. Desde esta perspectiva, las medidas que afectan a ámbitos considerados estratégicos deben evaluarse no solo por sus efectos presupuestarios, sino también por **su impacto sobre la competitividad, la innovación, la atracción de inversión y el desarrollo del tejido empresarial.**

La aplicación de la **Disposición Adicional Sexta** a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos **trasciende**, por tanto, **el ámbito estrictamente sanitario**. Aunque su finalidad se vincula a la financiación del Sistema Nacional de Salud, puede generar efectos sobre un ámbito que la propia Estrategia identifica como prioritario para reforzar la competitividad de la industria farmacéutica española.

La **coherencia entre la política sanitaria y la política industrial** también se refleja en la evolución del propio marco regulatorio español. **Nuestro ordenamiento jurídico ya reconoce la singularidad de los medicamentos huérfanos mediante instrumentos específicos destinados a favorecer su desarrollo y disponibilidad.** Así ocurre, por ejemplo, con **la deducción prevista en el Real Decreto-ley 8/2010, que el propio Anteproyecto mantiene mediante una deducción específica del 4 % para los medicamentos huérfanos**, o con **su exclusión del sistema de precios de referencia**, cuya continuidad también consolida el propio texto.

En este contexto, la aplicación de la Disposición Adicional Sexta introduciría una obligación económica adicional difícilmente conciliable con ese tratamiento diferenciado y con los objetivos de política industrial que inspiran la Estrategia de la Industria Farmacéutica.

En consecuencia, **AELMHU considera que la aplicación de esta medida debe ser objeto de una valoración específica desde la perspectiva de la política industrial**, con el fin de garantizar que las decisiones adoptadas durante la tramitación del Anteproyecto resulten coherentes con los objetivos definidos en la Estrategia de la Industria Farmacéutica.

Desde esta perspectiva, **mantener la exclusión de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos del ámbito de aplicación de la Disposición Adicional Sexta no supone establecer un tratamiento excepcional, sino preservar la coherencia entre el Anteproyecto de Ley y la Estrategia de la Industria Farmacéutica**, reforzando un ámbito que el propio Gobierno identifica como estratégico para la innovación, la competitividad y el desarrollo industrial de España.

CONCLUSIONES

La **Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024-2028** identifica las enfermedades raras como un ámbito estratégico para España y reconoce que la inversión en este campo no solo mejora la vida de los pacientes, sino que impulsa avances científicos, favorece la innovación y fortalece la competitividad de la industria farmacéutica.

En este contexto, **la aplicación de la Disposición Adicional Sexta a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos debería evaluarse también desde la perspectiva de la política industrial**, considerando sus posibles efectos sobre la atracción de inversión, la innovación, el desarrollo empresarial y la capacidad de España para mantener su posición como uno de los principales polos europeos de investigación biomédica.

Asimismo, **no se ha acreditado la existencia de un problema específico de sostenibilidad** asociado a los medicamentos huérfanos que justifique la incorporación de una obligación económica adicional sobre una categoría de medicamentos que ya está sometida a uno de los procesos de evaluación, negociación y control económico más exigentes del Sistema Nacional de Salud.

Por otra parte, la medida **afecta a un ecosistema empresarial consolidado y en expansión**, integrado por compañías que ya desarrollan actividad innovadora en España y por nuevas empresas que deberán decidir en los próximos años dónde localizar sus inversiones y priorizar el lanzamiento de nuevos tratamientos.

Desde esta perspectiva, AELMHU considera que la aplicación de la Disposición Adicional Sexta puede resultar difícilmente conciliable con los objetivos de competitividad, innovación y desarrollo industrial que inspiran la Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024-2028.

POSICIONAMIENTO DE AELMHU

AELMHU considera que **mantener la exclusión de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos del ámbito de aplicación de la Disposición Adicional Sexta constituye la**

solución más coherente con los objetivos de la Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024-2028, con la política industrial impulsada por el Gobierno y con el marco regulatorio específico que la Unión Europea reconoce para esta categoría de medicamentos.

Por ello, **AELMHU solicita al Ministerio de Industria y Turismo** que, en el ámbito de sus competencias, **valore el impacto que la aplicación de la Disposición Adicional Sexta puede tener sobre los objetivos de dicha Estrategia y promueva el mantenimiento de la exclusión de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos durante la tramitación del Anteproyecto de Ley de los Medicamentos y Productos Sanitarios.**