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 los objetivos del Gobierno orientados a reforzar la competitividad de la economía española, favorecer la atracción de inversión de alto valor añadido y consolidar un modelo de crecimiento basado en la innovación y el desarrollo tecnológico.

En este contexto, las decisiones regulatorias que afectan al sector farmacéutico **trascienden el ámbito estrictamente sanitario y constituyen también instrumentos de política económica e industrial**, en la medida en que influyen sobre la capacidad de España para atraer inversión, impulsar la investigación biomédica, generar empleo altamente cualificado y reforzar la competitividad de un sector estratégico para la transformación productiva de la economía española.

AELMHU valora positivamente que el Anteproyecto de Ley de los Medicamentos y Productos Sanitarios incorpore diversas medidas que la Asociación ha venido promoviendo durante los últimos años y que contribuyen a reconocer las especificidades de los medicamentos huérfanos y a facilitar el acceso a la innovación.

Estos avances reflejan la voluntad del Gobierno de seguir desarrollando un marco regulatorio que favorezca la innovación farmacéutica y refuerce la competitividad del sector. 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 AELMHU, puede mejorarse antes de su aprobación definitiva: **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. **Esta posición fue igualmente trasladada a la Oficina de Asuntos Económicos el pasado mes de febrero.**

A lo largo de este proceso, AELMHU ha defendido que los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos deben mantenerse excluidos del ámbito de aplicación de la Disposición Adicional Sexta, al considerar que su aplicación plantea dudas desde la perspectiva de la necesidad, la proporcionalidad y la coherencia regulatoria. No obstante, la Asociación entiende que existe **una dimensión económica adicional que debe incorporarse al proceso de evaluación**: el impacto que esta medida puede tener sobre la competitividad, la atracción de inversión de alto valor añadido y la capacidad de España para seguir consolidándose como un país de referencia en innovación, investigación y acceso a terapias para enfermedades raras.

Por este motivo, AELMHU considera oportuno trasladar al Oficina de Asuntos Económicos y G20 una valoración de las implicaciones económicas que esta medida puede generar. La Asociación entiende que **su evaluación no debería limitarse exclusivamente a su impacto**

presupuestario, sino incorporar también un análisis de sus efectos sobre la competitividad, la inversión, la productividad y la innovación, con el fin de determinar si los beneficios esperados compensan el posible impacto sobre un sector estratégico para la economía española.

Las consideraciones que se exponen a continuación responden a este objetivo y se estructuran en torno a cuatro elementos principales.

delo de crecimiento basado en la innovación y el desarrollo tecnológico.

1. La Disposición Adicional Sexta debe evaluarse también desde la perspectiva de la competitividad

La **Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024-2028** identifica expresamente las **enfermedades raras** como una de las áreas terapéuticas estratégicas para España. En este contexto, reconoce que estas patologías suponen una carga significativa para los pacientes y sus familias debido al retraso en el diagnóstico, la ausencia de tratamientos y su impacto sobre la calidad de vida, y 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 resulta relevante desde la perspectiva económica, ya que pone de manifiesto que el valor de los medicamentos huérfanos trasciende el ámbito estrictamente sanitario. Su desarrollo y utilización no solo contribuyen a mejorar los resultados en salud, sino que pueden reducir la carga asistencial, favorecer la autonomía de los pacientes, disminuir las necesidades de cuidados y generar beneficios económicos derivados de una menor utilización de recursos sanitarios y de la reducción de los costes indirectos asociados a la enfermedad.

La evidencia disponible confirma esta aportación de valor. En determinadas patologías, los medicamentos huérfanos pueden generar reducciones relevantes de los costes asociados a la enfermedad, alcanzando ahorros superiores al **80 % en costes sanitarios directos** y próximos al **88 % en costes indirectos**, dependiendo de la patología y del tratamiento considerado. Estos resultados ponen de manifiesto que la evaluación económica de estos medicamentos debe incorporar no solo el coste farmacéutico, sino también los ahorros que generan para el Sistema Nacional de Salud y para el conjunto de la sociedad.

España se ha consolidado como uno de los países 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**, que representaron aproximadamente el **22 % del total de ensayos clínicos autorizados en España**, siendo el **98 % promovidos por la industria farmacéutica**. Esta actividad genera inversión, empleo altamente cualificado y actividad económica de alto valor añadido, además de reforzar la capacidad científica y tecnológica de nuestro país.

España compite con otros Estados europeos por atraer inversiones vinculadas a la investigación biomédica, los ensayos clínicos, el desarrollo de nuevas terapias y la implantación

de actividades de alto valor añadido. En este contexto, las decisiones de inversión se adoptan sobre la base de una evaluación global de factores como la capacidad científica e investigadora, la disponibilidad de talento, la estabilidad institucional, la seguridad jurídica y la previsibilidad del marco regulatorio.

En un mercado global, la excelencia científica y la calidad del sistema sanitario constituyen activos fundamentales, pero no son los únicos elementos que determinan la localización de las inversiones. La percepción sobre la estabilidad y competitividad del entorno regulatorio de cada país influye también en las decisiones empresariales a medio y largo plazo.

Por ello, **las medidas regulatorias que afectan a este sector deben evaluarse no solo por su impacto sobre la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud, sino también por sus efectos sobre la competitividad, la atracción de inversión de alto valor añadido y la capacidad de España para seguir consolidándose como uno de los principales países europeos en investigación e innovación biomédica.**

2. La evaluación económica de la Disposición Adicional Sexta debe incorporar el coste de oportunidad

La evaluación de la Disposición Adicional Sexta no debería limitarse al análisis de su impacto presupuestario, sino incorporar también el **coste de oportunidad** asociado a su aplicación, entendido como el posible efecto que una modificación del entorno regulatorio puede tener sobre la capacidad de España para atraer inversión de alto valor añadido, impulsar la investigación biomédica y reforzar su competitividad.

La investigación y el desarrollo de medicamentos huérfanos se desarrollan en un mercado global altamente competitivo. Las compañías asignan sus inversiones considerando un conjunto de factores, entre los que se encuentran la calidad del sistema científico, la disponibilidad de talento, la capacidad investigadora de los centros sanitarios, la seguridad jurídica, la estabilidad institucional y la previsibilidad del marco regulatorio.

La regulación constituye, por tanto, un factor de competitividad. Aunque una medida pueda tener un impacto presupuestario limitado, puede influir en la percepción internacional sobre el atractivo de un país para localizar nuevos proyectos de investigación, ensayos clínicos, actividades de desarrollo o inversiones industriales.

Esta reflexión resulta especialmente relevante en el ámbito de las enfermedades raras, donde la competencia internacional por atraer inversión y conocimiento es cada vez mayor. En este contexto, preservar un entorno regulatorio estable, predecible y coherente constituye un elemento esencial para mantener la posición competitiva alcanzada por España.

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

Por ello, AELMHU **considera que la evaluación de la Disposición Adicional Sexta debería incorporar expresamente un análisis de sus efectos sobre la competitividad, la inversión y la innovación**, de acuerdo con los principios de buena regulación y de evaluación del impacto económico que inspiran tanto la normativa europea como las políticas de mejora regulatoria impulsadas por la Administración General del Estado.

La cuestión no es únicamente cuál puede ser el beneficio presupuestario derivado de esta medida, sino si dicho beneficio compensa el posible coste de oportunidad asociado a una menor capacidad para atraer inversión de alto valor añadido hacia un sector estratégico para la economía española.

3. La aplicación de la Disposición Adicional Sexta requiere una justificación económica específica.

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.

AELMHU considera que, con la información actualmente disponible, no se ha acreditado la existencia de un problema específico de sostenibilidad asociado a los medicamentos huérfanos que justifique la aplicación 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 reflejan que el crecimiento del gasto responde fundamentalmente a la incorporación de nuevas alternativas terapéuticas y no a un incremento desproporcionado del coste medio de los medicamentos huérfanos. En consecuencia, el esfuerzo presupuestario

responde al aumento del número de pacientes que pueden acceder a tratamientos innovadores y no a una pérdida de sostenibilidad derivada del comportamiento económico de esta categoría de medicamentos.

A ello se añade que **los medicamentos huérfanos ya están sometidos a uno de los regímenes de evaluación, negociación y control económico más exigentes del Sistema Nacional de Salud**. La financiación condicionada, las restricciones de utilización, 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 proceso de financiación pública.

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

A ello se añade que **el mantenimiento de la exclusión de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos y con indicación para enfermedades raras del ámbito de aplicación de la Disposición Adicional Sexta resultaría coherente con la política regulatoria que España ha venido desarrollando durante los últimos años y con el propio Anteproyecto de Ley**. Nuestro ordenamiento jurídico ya reconoce la singularidad de estos medicamentos mediante instrumentos específicos, como **la deducción prevista en el Real Decreto-ley 8/2010,** que el Anteproyecto mantiene mediante una **deducción específica del 4 % para los medicamentos huérfanos**, o **su exclusión del sistema de precios de referencia**, cuya continuidad también consolida el propio texto. La aplicación de la Disposición Adicional Sexta introduciría, por tanto, un tratamiento difícilmente conciliable con ese reconocimiento diferenciado que el propio legislador mantiene para esta categoría de medicamentos.

Por ello, AELMHU **considera que la aplicación de esta medida requiere una justificación económica 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 ser coherente con la política económica e industrial del Gobierno

Asimismo, Durante los últimos años, el Gobierno de España ha impulsado, junto con los principales agentes del sector, la **Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024-2028**, con el objetivo de favorecer la atracción de inversión de alto valor añadido, reforzar la competitividad de la industria farmacéutica y consolidar a España como un país de referencia en investigación e innovación biomédica. La Estrategia configura un marco de actuación en el que la política industrial, la política sanitaria y la política de innovación deben actuar de forma coordinada para fortalecer un sector estratégico por su capacidad para generar conocimiento, empleo cualificado y crecimiento económico.

La propia Estrategia subraya la necesidad de mantener un entorno regulatorio **estable, predecible y coherente**, que proporcione confianza a los agentes económicos y favorezca las decisiones de inversión. Desde esta perspectiva, las medidas que afectan al acceso y financiación de los medicamentos deben resultar compatibles con los objetivos de política económica e industrial perseguidos por el propio Gobierno, evitando introducir señales que puedan reducir el atractivo de España para el desarrollo de nuevas actividades de investigación, innovación y producción.

La aplicación de la Disposición Adicional Sexta debe analizarse también desde esta perspectiva. La incorporación de una nueva obligación económica sobre los medicamentos huérfanos podría resultar difícilmente conciliable con las políticas públicas orientadas a favorecer la atracción de inversión de alto valor añadido, reforzar la competitividad de la industria farmacéutica e impulsar la innovación en uno de los ámbitos que la propia Estrategia identifica como prioritarios para España.

Esta reflexión adquiere una relevancia adicional si se considera la estructura empresarial del sector. Según los últimos datos de AELMHU, a **30 de abril de 2026**, **68 empresas** cuentan con medicamentos huérfanos que disponen de **Código Nacional** en España y **54 de ellas** tienen uno o varios medicamentos financiados por el Sistema Nacional de Salud. Se trata, por tanto, de una medida con impacto potencial sobre un número significativo de compañías innovadoras que desarrollan actividad 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.

Además, el ejercicio de **Horizon Scanning** realizado por 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. En este contexto, el principal efecto de la medida no reside necesariamente en la deslocalización de empresas ya implantadas, sino en la influencia que puede ejercer sobre futuras decisiones de inversión y sobre la priorización de España en las estrategias internacionales de desarrollo y lanzamiento de nuevos medicamentos.

AELMHU no cuestiona la necesidad de avanzar en políticas que contribuyan a garantizar la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud. Sin embargo, considera que dichas políticas deben diseñarse de forma coherente con los objetivos de política económica, industrial y de innovación impulsados por el propio Gobierno, evitando que una medida de naturaleza

presupuestaria pueda generar efectos no deseados sobre un ámbito que el propio Ejecutivo considera estratégico para la competitividad, la innovación y el crecimiento económico.

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 las políticas públicas dirigidas a reforzar la competitividad de la economía española, favorecer la atracción de inversión de alto valor añadido y consolidar a España como uno de los principales polos europeos de innovación biomédica.**

CONCLUSIONES

El análisis realizado pone de manifiesto que la aplicación de la Disposición Adicional Sexta a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos **trasciende el ámbito estrictamente sanitario**. Se trata de una medida con potenciales implicaciones sobre la competitividad, la atracción de inversión de alto valor añadido, la innovación y la capacidad de España para mantener su posición como uno de los principales países europeos en investigación biomédica.

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

Desde la perspectiva de la buena regulación, la aplicación de la Disposición Adicional Sexta plantea dudas en términos de **necesidad, proporcionalidad y valor añadido**, al no haberse justificado suficientemente que el mecanismo previsto aporte beneficios adicionales respecto de los instrumentos de control económico ya existentes.

Por otra parte, la medida puede generar un **coste de oportunidad** que trasciende su eventual impacto presupuestario. La aplicación de nuevas obligaciones económicas afecta ya a un número significativo de empresas innovadoras presentes en España y puede influir en futuras decisiones de inversión, investigación y lanzamiento de nuevos medicamentos huérfanos, reduciendo el atractivo de nuestro país en un entorno internacional altamente competitivo.

En consecuencia, AELMHU considera que la evaluación de la Disposición Adicional Sexta debe incorporar una visión económica integral que valore no solo sus efectos presupuestarios, sino también su impacto sobre la competitividad, la inversión, la innovación y la coherencia con las políticas públicas dirigidas a reforzar un sector que el propio Gobierno identifica como estratégico para el crecimiento económico y la transformación productiva.

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 principios de buena regulación y con los objetivos de política económica, competitividad e innovación impulsados por el Gobierno de España.**

La Asociación entiende que la evaluación de esta medida debe incorporar, junto a sus efectos presupuestarios, una valoración de su impacto sobre la competitividad, la atracción de inversión de alto valor añadido, la innovación, el desarrollo empresarial y la capacidad de España para seguir consolidándose como un entorno atractivo para la investigación biomédica y el desarrollo de nuevas terapias.

Por ello, AELMHU solicita al Oficina de Asuntos Económicos y G20 que, en el ámbito de sus competencias, incorpore esta perspectiva al proceso de evaluación del Anteproyecto y traslade al Ministerio de Sanidad la conveniencia de mantener la exclusión de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos del ámbito de aplicación de la Disposición Adicional Sexta.

Mantener dicha exclusión permitiría compatibilizar los objetivos de sostenibilidad financiera del Sistema Nacional de Salud con las políticas del Gobierno dirigidas a reforzar la competitividad, favorecer la atracción de inversión de alto valor añadido y consolidar a España como un referente europeo en investigación e innovación biomédica.