1er Informe cuatrimestral de ACCESO 2026

a los medicamentos huérfanos en España*

aelmhu

*Análisis de todos los MM.HH. con nombre comercial que tienen vigente la designación huérfana europea, a 30 de abril de 2026.

elaborado por:
bio innova Consulting

Índice

1 Metodología
2 Medicamentos huérfanos Unión Europea y España
3 Medicamentos huérfanos España
4 Medicamentos huérfanos financiados en el primer cuatrimestre de 2026
5 Medicamentos huérfanos no financiados
6 Medicamentos de terapia avanzada para enfermedades raras
7 Medicamentos indicados para enfermedades raras que han perdido la designación huérfana
8 Resumen principales datos
9 Bibliografía
10 Acrónimos

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Metodología

01 De los más de 3.000 principios activos con designación huérfana (OD, por sus siglas en inglés) por parte del Comité de Medicamentos y Productos Huérfanos (COMP, por sus siglas en inglés) de la Agencia Europea del Medicamento (EMA, por sus siglas en inglés), se han identificado aquellos principios activos que tienen vigente la designación huérfana a fecha 30 de abril de 2026 (más de 2.000). La OD se otorga durante las primeras etapas de la investigación de un medicamento, por lo que dentro de los principios activos que cuentan con OD vigente se identifican, en cada informe, aquellos que tienen nombre comercial (más de 250) y, de éstos, se eliminan los duplicados por tener varias indicaciones. Eliminando esas duplicidades, se obtienen **230 medicamentos huérfanos (MM.HH.) con OD vigente** a fecha de 30 de abril de 2026 y con nombre comercial.

02 Después, se han analizado cuáles de estos MM.HH. han sido retirados (o todavía no han sido incluidos) en el Registro Comunitario de Medicamentos Huérfanos de la Comisión Europea para su comercialización en la Unión Europea (n=67). Como resultado, se obtiene **el número de MM.HH. con autorización de comercialización (AC)** a 30 de abril de 2026 en la Unión Europea **(n=163)**.

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

04 Por último, se han identificado cuáles y desde cuándo están **financiados por el Sistema Nacional de Salud (SNS)** los MM.HH. según la información recogida en el Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos (BIFIMED) del Ministerio de Sanidad **(n=106).** Como fecha de financiación se ha tomado la primera fecha de alta.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

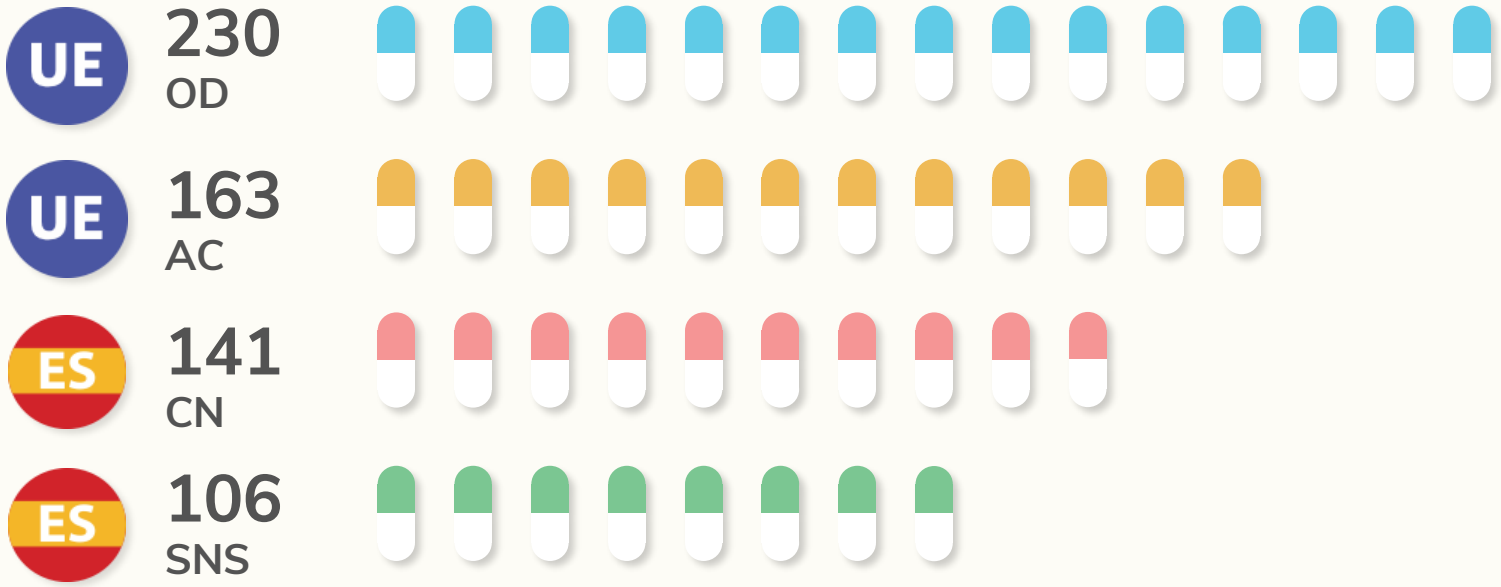
Fuentes de datos en la bibliografía e información detallada en acrónimos.

Medicamentos huérfanos

Unión Europea y España



*Principales indicadores 2026**



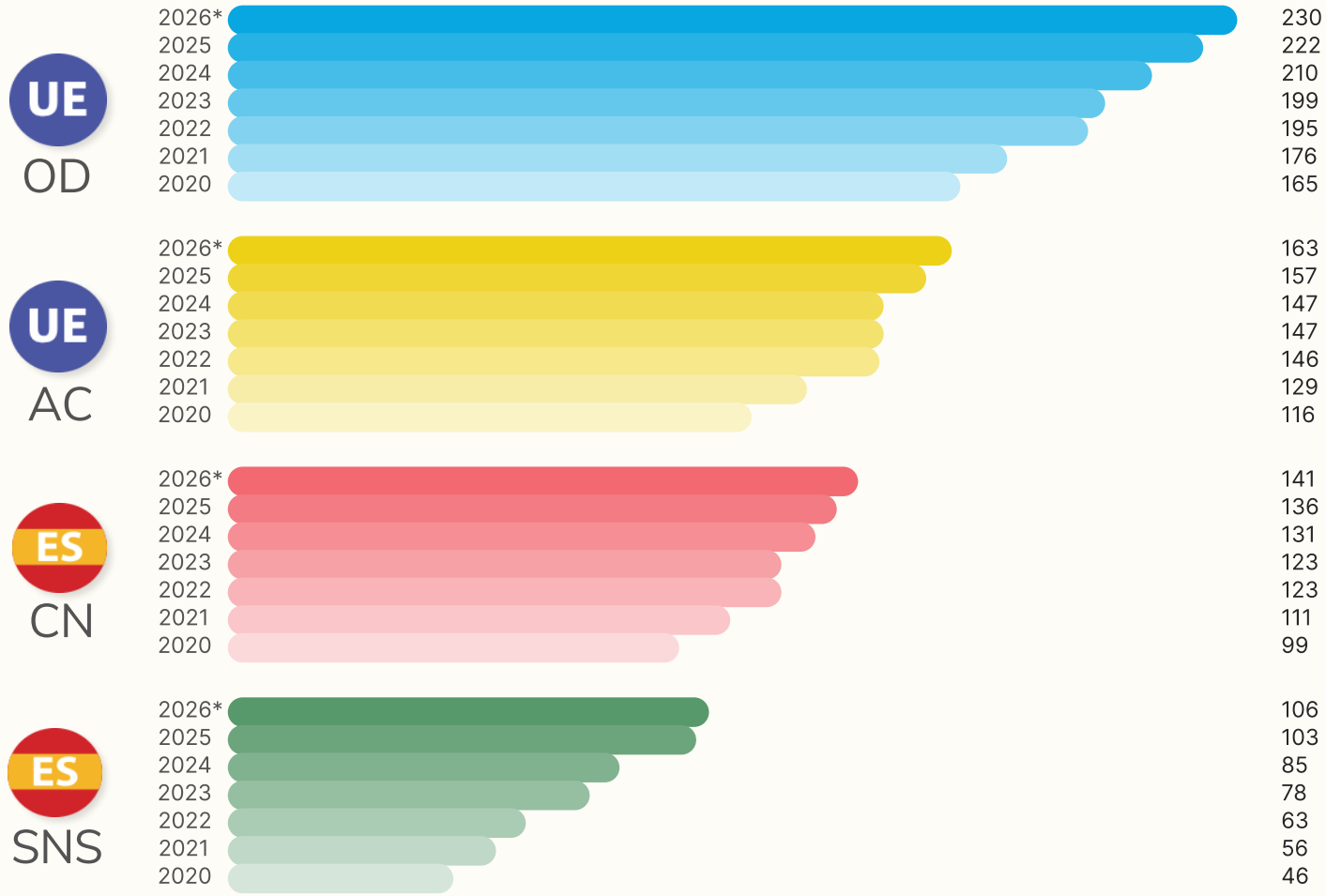
Notas:

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

*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Evolución de los indicadores 2020-2026*

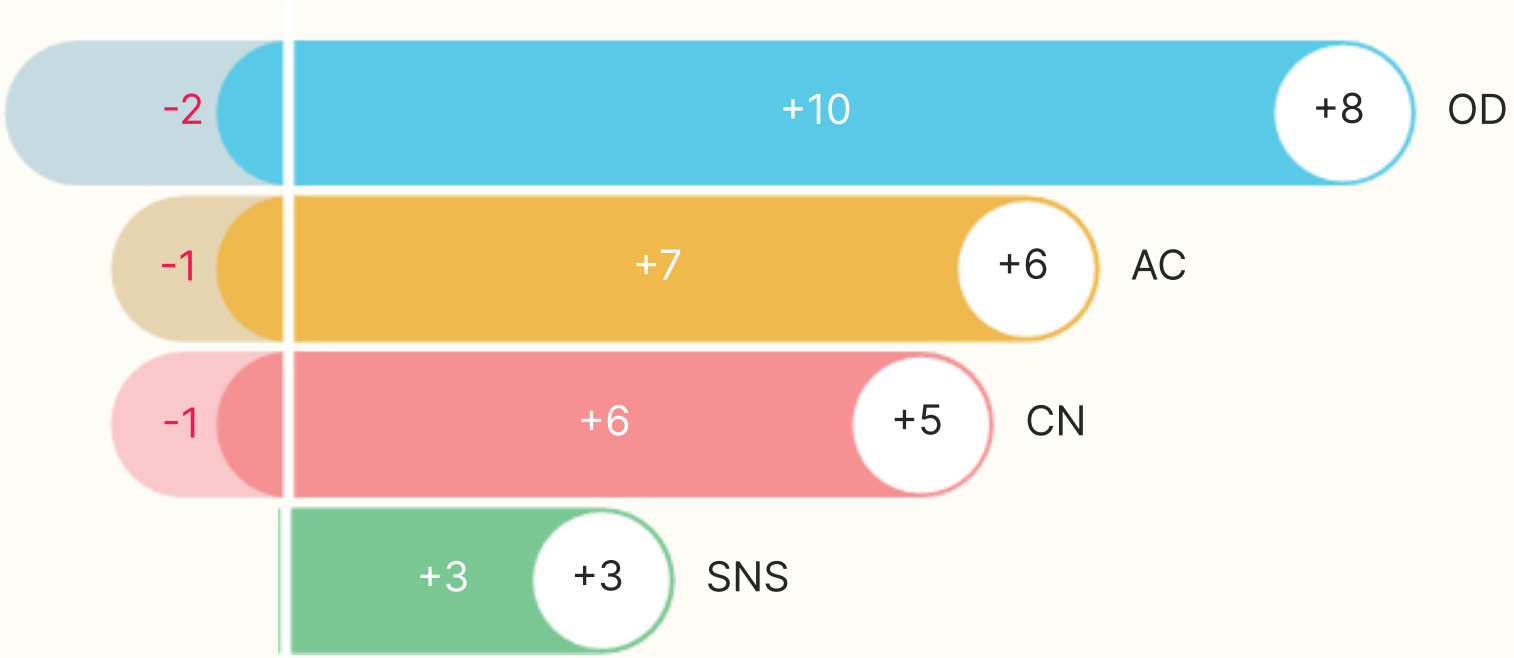


Nota 1: Debido a un error de actualización en la base de datos de la EMA, HOLOCLAR, comercializado por la compañía Holostem (que obtuvo una ampliación de su OD por 2 años el 23 de octubre de 2025), no fue contabilizado en los apartados de OD, AC y CN del informe anterior.
Nota 2: Debido a un error de actualización en la base de datos de la CIMA, ENJAYMO, comercializado por la compañía Sanofi (que obtuvo CN el 29 de diciembre de 2025), no fue contabilizado en el apartado de CN en el informe anterior.

*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

*Variación de los indicadores entre 2025 y 2026**



*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de la variación de las designaciones huérfanas

	2025 vs. 2026*	MM.HH.	Compañía	Comentarios
UE OD	+ 10 MM.HH. obtienen OD	DAYBU IMDYLLTRA JOENJA KYGEVVI OJEMDA PALSONIFY REDEMPLO VIOKAT XOLREMDI ZEPZELCA	Acadia Pharmaceuticals Amgen Pharming Technologies UCB Pharma Ipsen Crinetics Pharmaceuticals Arrowhead Pharmaceuticals Soleno Therapeutics X4 Pharmaceuticals PharmaMar	CHMP - 26/02/2026 CHMP + 26/03/2026 CHMP + 26/03/2026 AC 26/03/2026 CHMP + 26/02/2026 AC 23/04/2026 CHMP + 23/04/2026 No AC 23/04/2026 CHMP + 26/02/2026 CHMP + 26/03/2026
	- 2 MM.HH. pierden OD	HETRONIFLY SOHONOS	Accord Ipsen	Pérdida OD Pérdida OD

*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de la variación de las autorizaciones de comercialización

	2025 vs. 2026*	MM.HH.	Compañía	Comentarios
UE AC	+ 7 MM.HH. obtienen AC	AQNEURSA KYGEVVI OJEMDA PALSONIFY REZUROCK WASKYRA XOLREMDI	IntraBio UCB Pharma Ipsen Crinetics Pharmaceuticals Sanofi Fondazione Telethon X4 Pharmaceuticals	AC 19/01/2026 AC 26/03/2026 AC 20/04/2026 AC 23/04/2026 AC 24/03/2026 AC 09/01/2026 AC 27/04/2026
	- 1 MM.HH. pierde OD	HETRONIFLY	Accord	Pérdida OD

*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de la variación de los códigos nacionales

	2025 vs. 2026*	MM.HH.	Compañía	Comentarios
ES CN	+ 6 MM.HH. obtienen CN	EZMEKLY OGSIVEO REZUROCK VORANIGO WAYRILZ ZYNYZ	SpringWorks Therapeutics Springworks Therapeutics Sanofi Servier Sanofi Incyte	CN 18/02/2026 CN 02/01/2026 CN 31/03/2026 CN 02/01/2026 CN 17/04/2026 CN 02/03/2026
	- 1 MM.HH. pierde OD	HETRONIFLY	Accord	Pérdida OD

*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

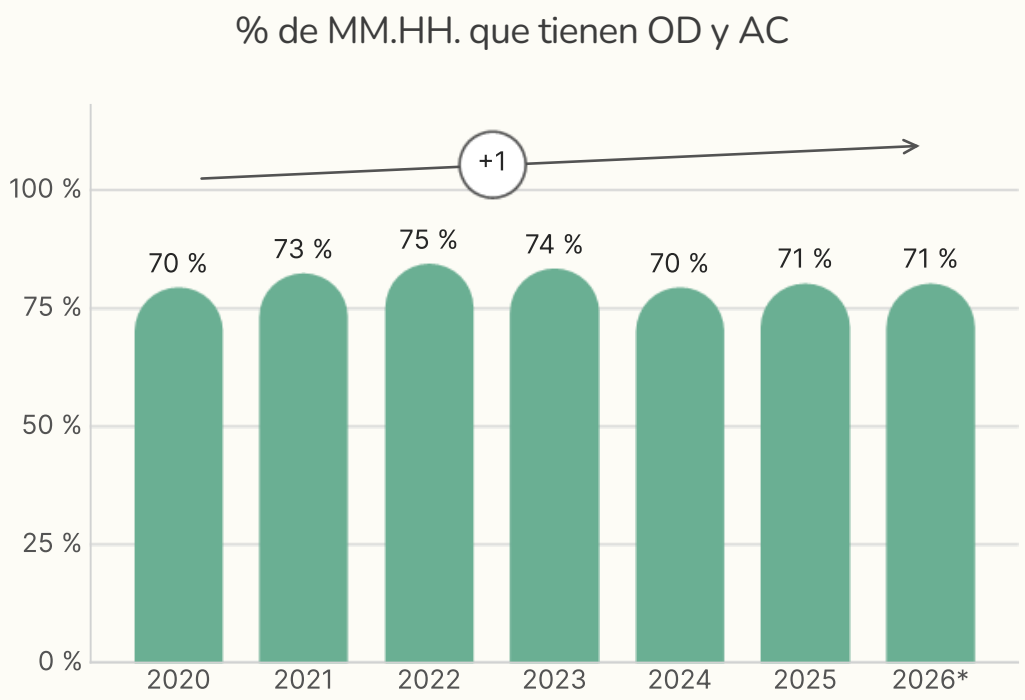
Detalle de la variación de MM.HH. Financiados

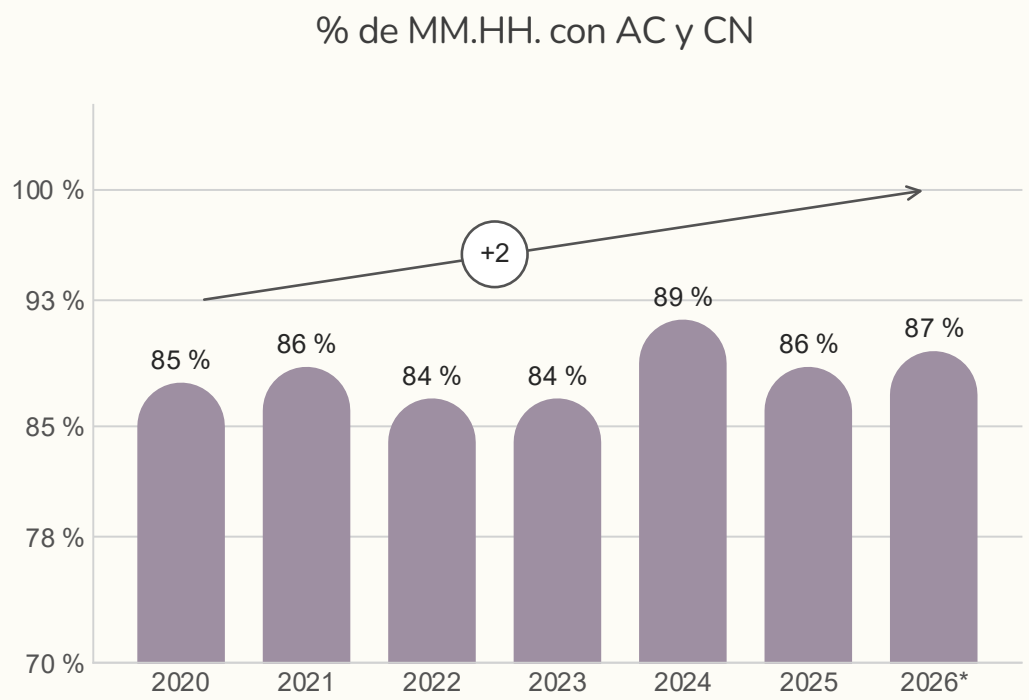
	2025 vs. 2026*	MM.HH.	Compañía	Comentarios
SNS	+ 3 MM.HH. obtienen financiación	AGAMREE FILSPARI SKYCLARYS	Santhera Pharmaceuticals Vifor Biogen	SNS 01/04/2026 SNS 01/04/2026 SNS 01/03/2026
	0 MM.HH. pierden OD, AC y/o CN	-	-	-

*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Comparativa entre los indicadores



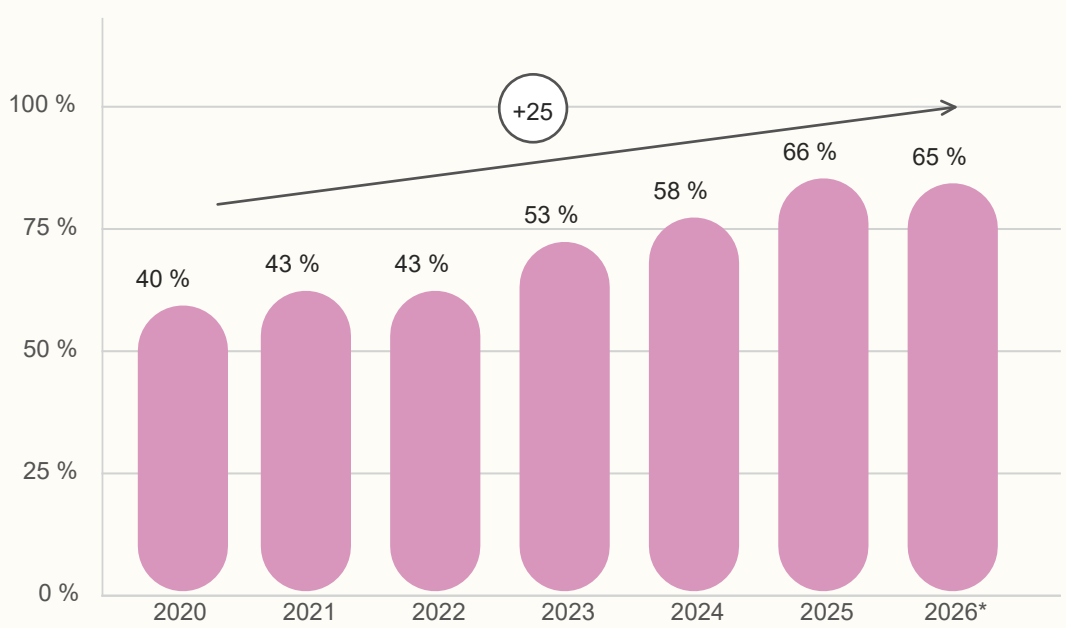


Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

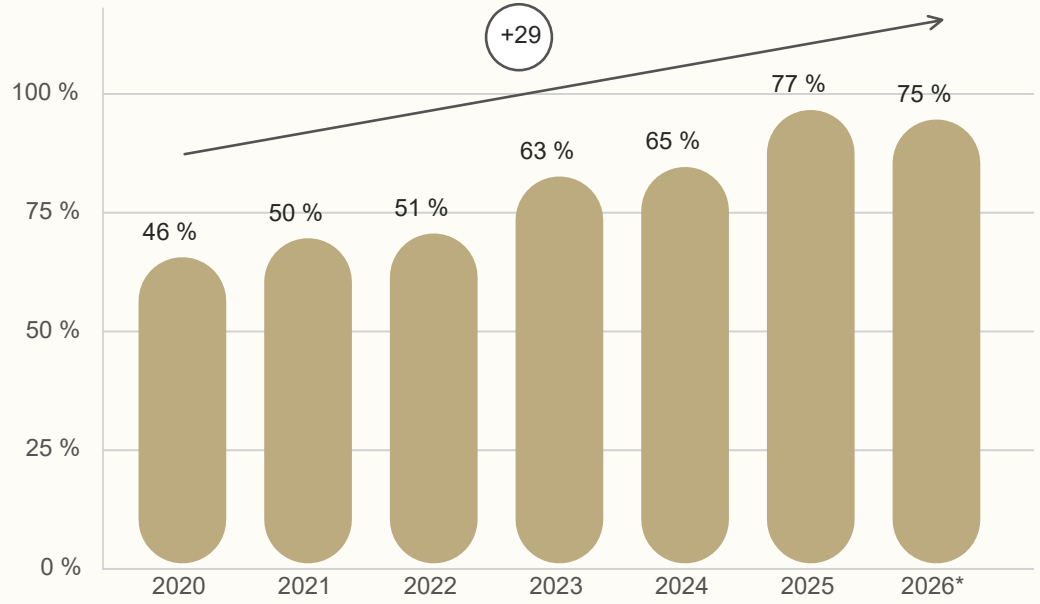
*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

Comparativa entre los indicadores

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



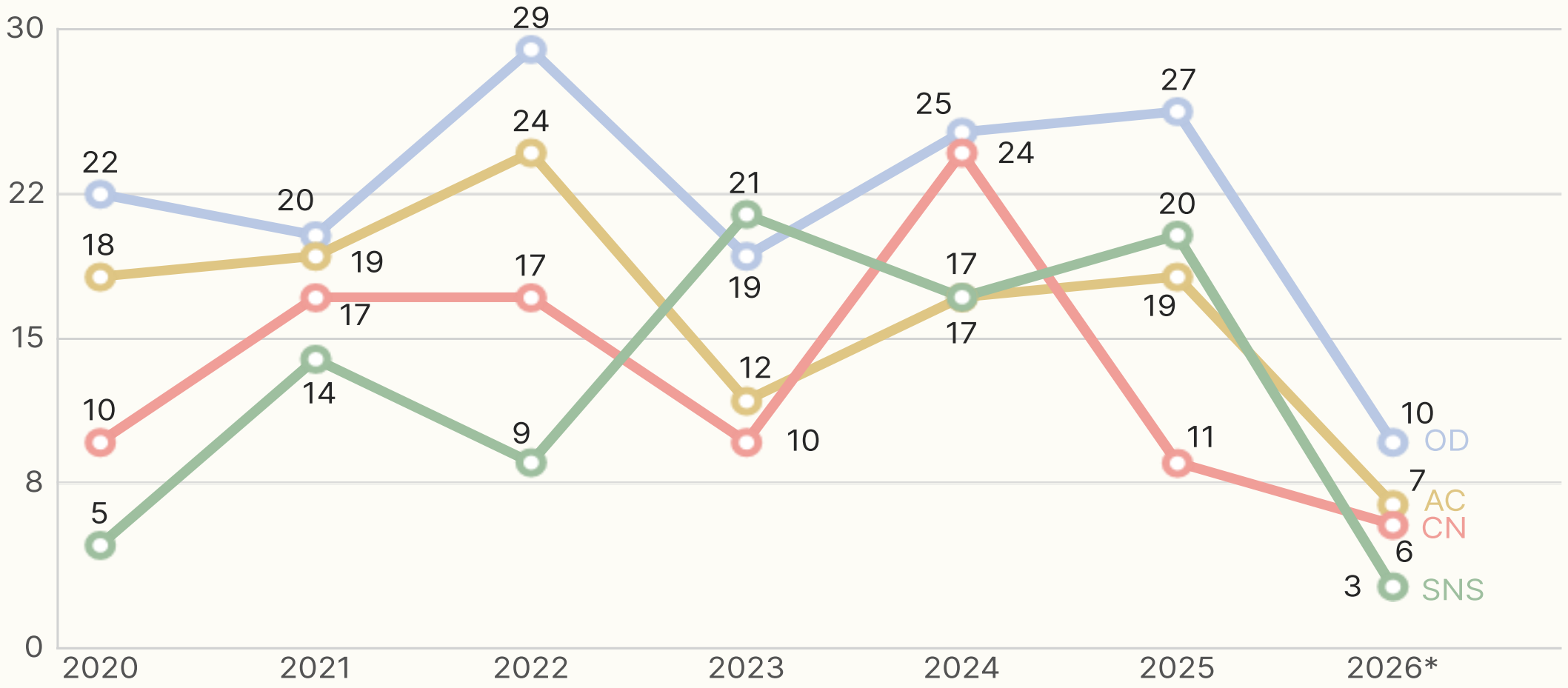
% de MM.HH. con CN financiados por el SNS



*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Resumen de los indicadores por año

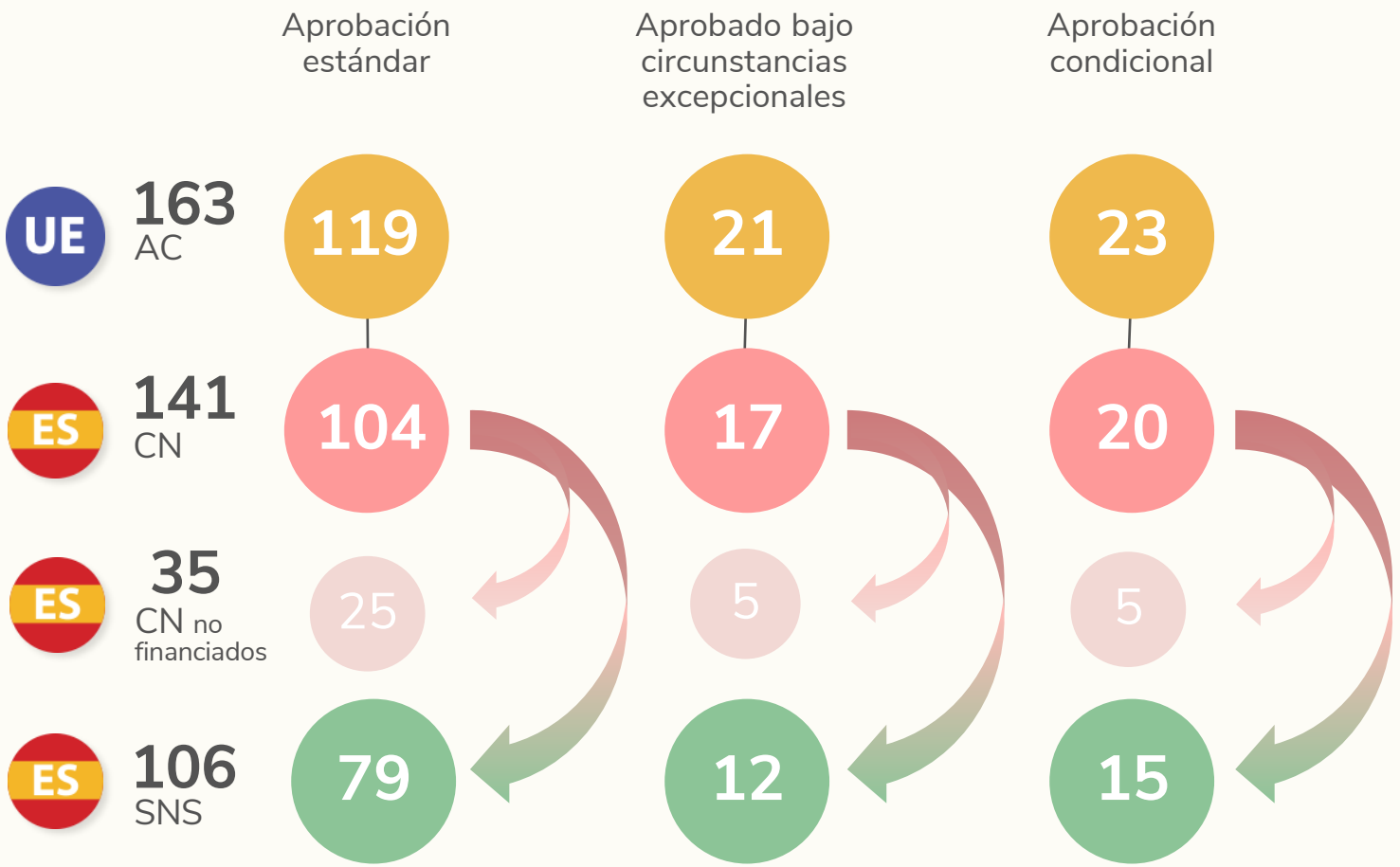


Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Nota 1: Debido a un error de actualización en la base de datos de la EMA, HOLOCLAR, comercializado por la compañía Holostem (que obtuvo una ampliación de su OD por 2 años el 23 de octubre de 2025), no fue contabilizado en los apartados de OD, AC y CN del informe anterior.
Nota 2: Debido a un error de actualización en la base de datos de la CIMA, ENJAYMO, comercializado por la compañía Sanofi (que obtuvo CN el 29 de diciembre de 2025), no fue contabilizado en el apartado de CN en el informe anterior.

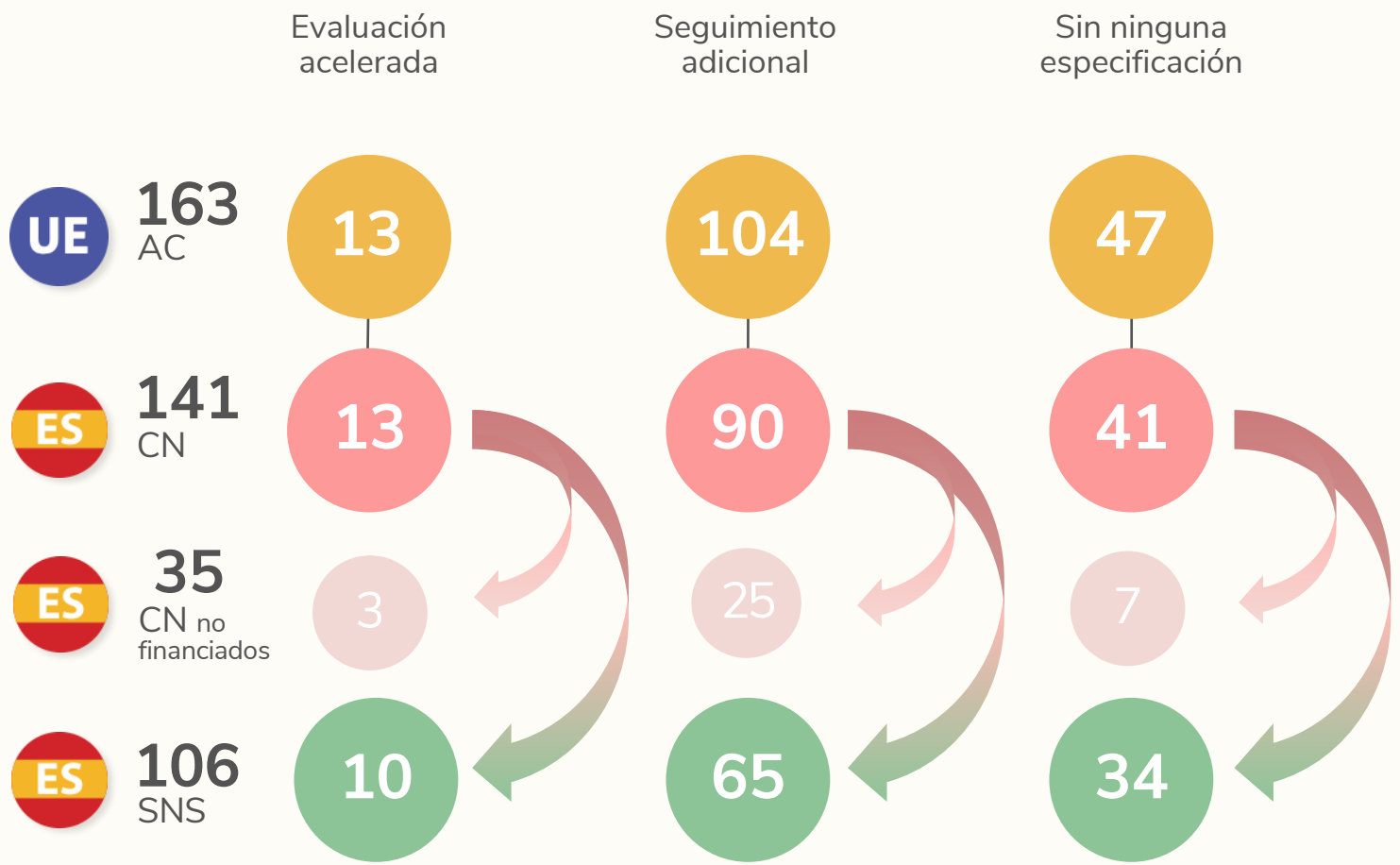
*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

Tipo de aprobación de los medicamentos huérfanos



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

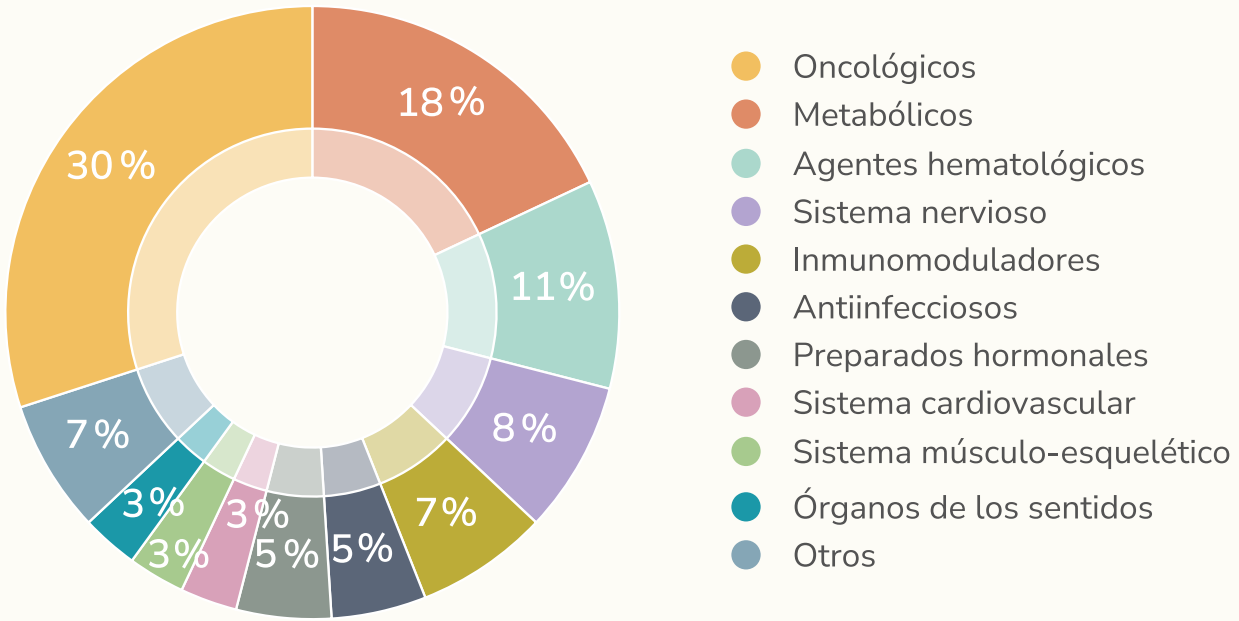


*Un mismo medicamento huérfano puede estar sujeto simultáneamente a más de una condición especial. Por este motivo, la suma de "evaluación acelerada", "seguimiento adicional" y "sin ninguna especificación" no coincide necesariamente con el total de MM.HH.

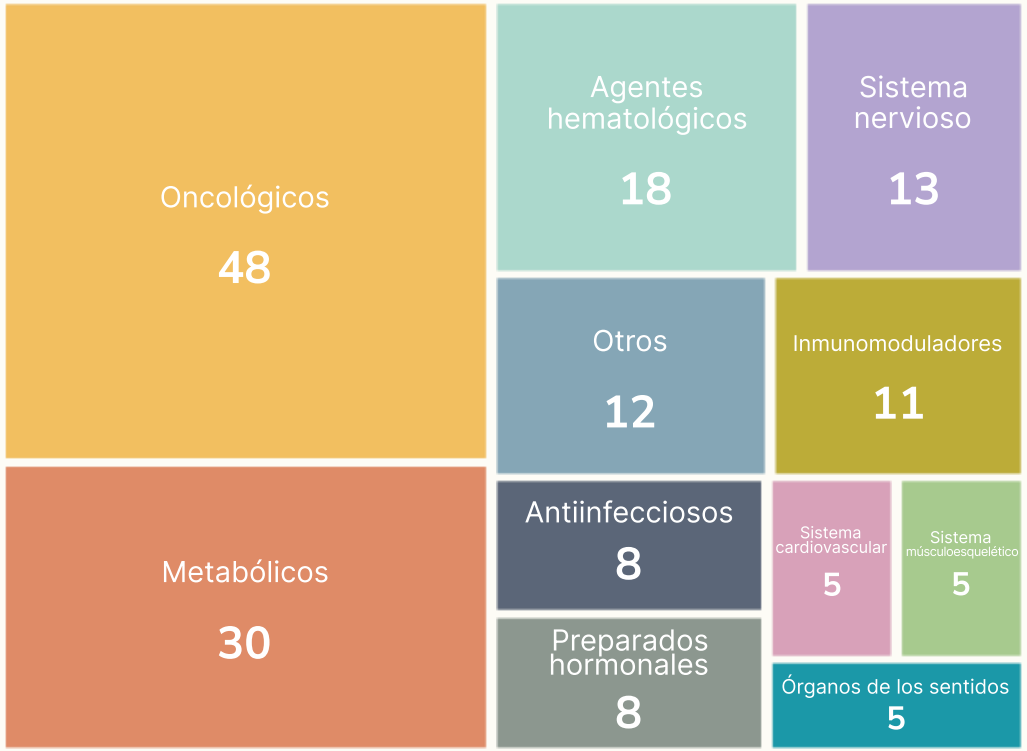
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos huérfanos con autorización de comercialización

Por área terapéutica

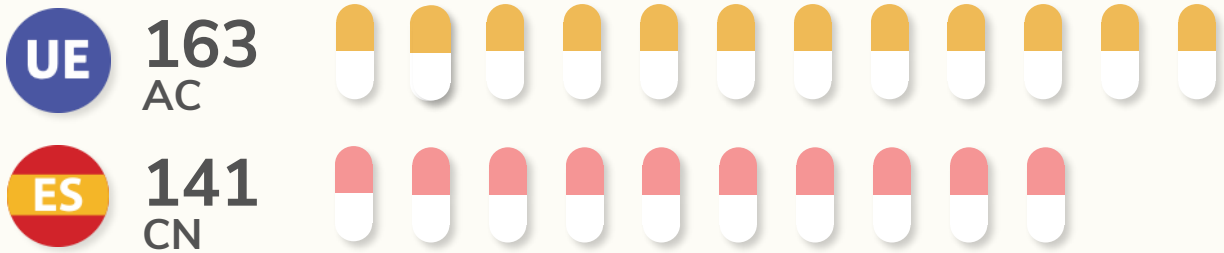


Valores absolutos



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos huérfanos con AC vs. CN



A fecha 30 de abril de 2026, el 87 % de los MM.HH. que tienen AC han llegado a España.

22 medicamentos aún no tienen CN.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Información detallada de los 22 MM.HH. con AC sin CN (1/2)

	Nombre comercial	Compañía	Fecha AC	Meses de espera (AC – 30/04/2026)	Área terapéutica	MTA
1	**AQNEURSA**	IntraBio	19/01/2026	3	Sistema nervioso	
2	**ARIKAYCE**	Insmed	27/10/2020	67	Antiinfecciosos	
3	**DOVPRELA**	Mylan	31/07/2020	70	Antiinfecciosos	
4	**EKTERLY**	Kalvista	17/09/2025	8	Agentes hematológicos	
5	**EMCITATE**	Rare Thyroid Therapeutics International	12/02/2025	15	Agentes hematológicos	
6	**HYFTOR**	PlusUltra	15/05/2023	36	Dermatológicos	
7	**KYGEVVI**	UCB Pharma	26/03/2026	1	Metabólicos	
8	**MAAPLIV**	Recordati	28/07/2025	9	Metabólicos	
9	**NULIBRY**	Comharsa	15/09/2022	44	Metabólicos	
10	**OJEMDA**	Ipsen	20/04/2026	0	Oncológicos	
11	**PALSONIFY**	Crinetics Pharmaceuticals	23/04/2026	0	Preparados hormonales	

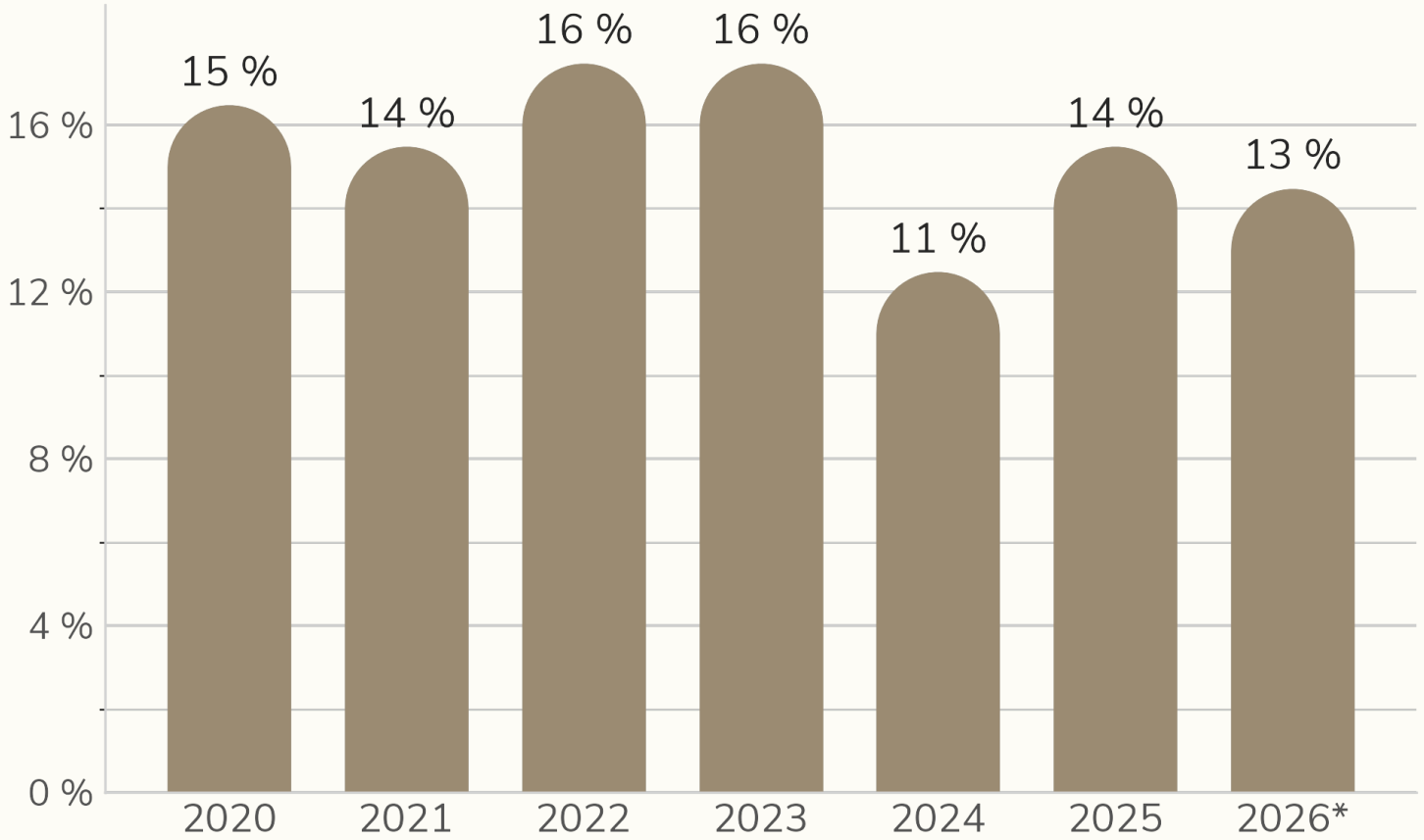
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Información detallada de los 22 MM.HH. con AC sin CN (2/2)

	Nombre comercial	Compañía	Fecha AC EMA	Meses de espera (AC –30/04/2026)	Área terapéutica	MTA
12	**PYRUKYND**	Agios	9/11/2022	42	Agentes hematológicos	
13	**RYTELO**	Geron	7/03/2025	14	Oncológicos	
14	**SEPHIENCE**	PTC Therapeutics	19/06/2025	11	Metabólicos	
15	**SKYTROFA**	Ascendis Pharma	11/01/2022	52	Preparados hormonales	
16	**STRIMVELIS**	Kyowa Kirin	26/05/2016	121	Inmunomoduladores	●
17	**VORANIGO**	Servier	17/09/2025	8	Oncológicos	
18	**WASKYRA**	Fondazione Telethon	09/01/2026	4	Agentes hematológicos	●
19	**XOLREMDI**	X4 Pharmaceuticals	27/04/2026	0	Inmunomoduladores	
20	**ZEMCELPRO**	Cordex	25/08/2025	8	Agentes hematológicos	●
21	**ZIIHERA**	Jazz Pharmaceuticals	27/06/2025	10	Oncológicos	
22	**ZOKINVY**	EigerBio	18/07/2022	46	Metabólicos	

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Porcentaje de medicamentos huérfanos con AC sin CN

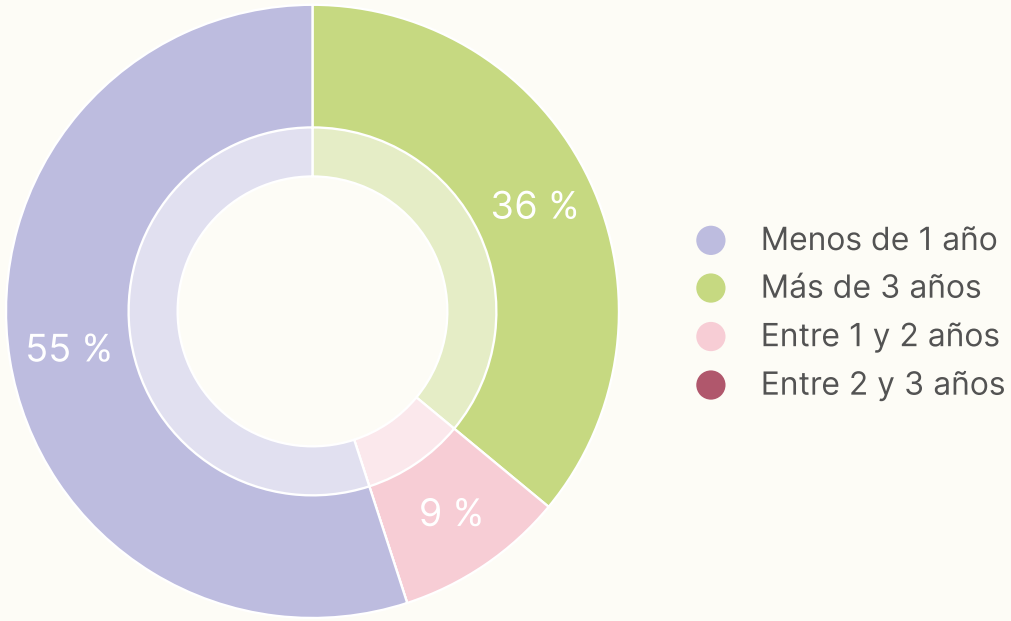


*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

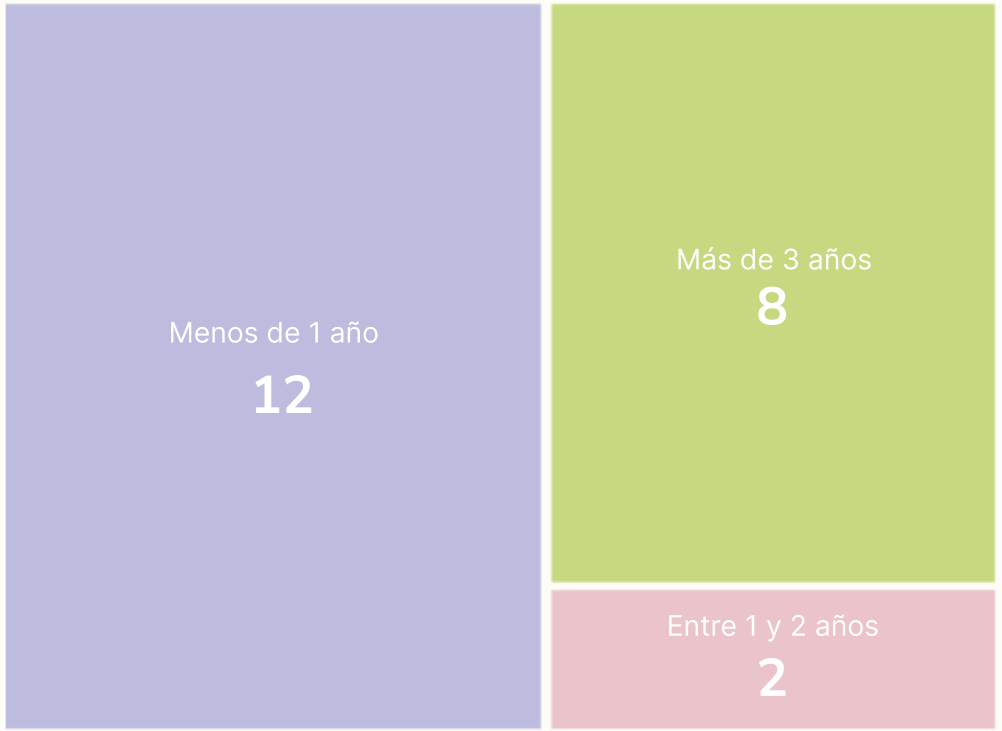
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos huérfanos con AC sin CN por años de espera

Por años de espera



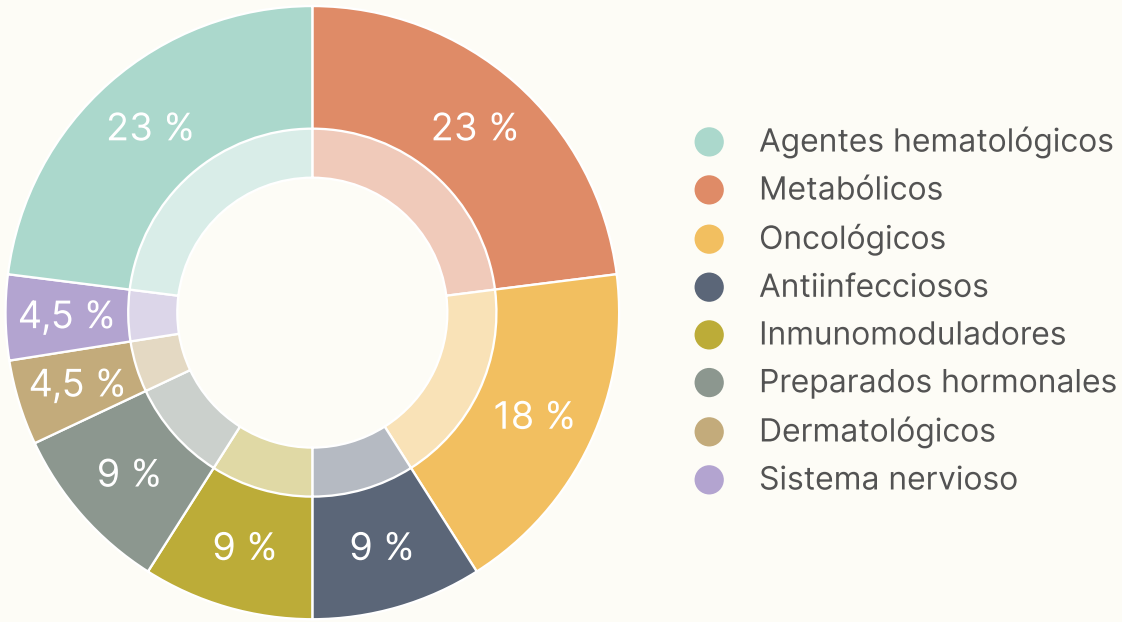
Valores absolutos



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos huérfanos con AC sin CN por área terapéutica

Por área terapéutica



Valores absolutos



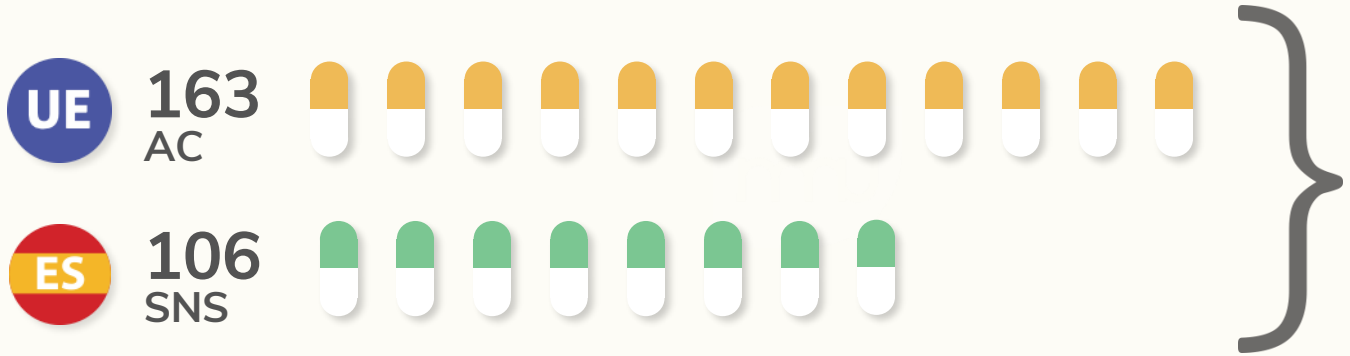
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos huérfanos

España



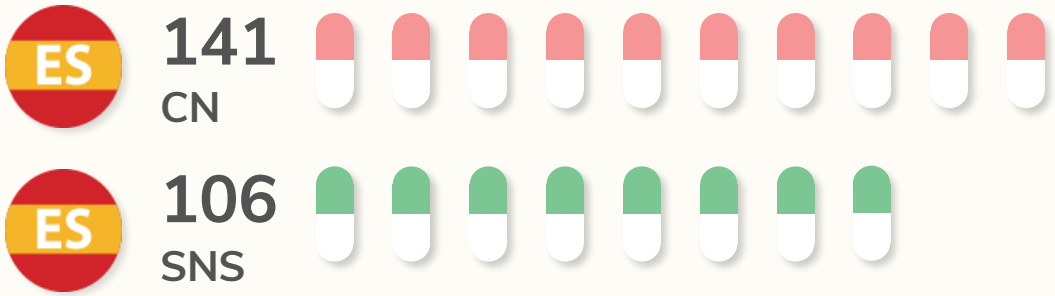
Medicamentos huérfanos con AC vs. financiados



A fecha 30 de abril 2026, el **65 %** de los MM.HH. que tienen AC están financiados por el SNS.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

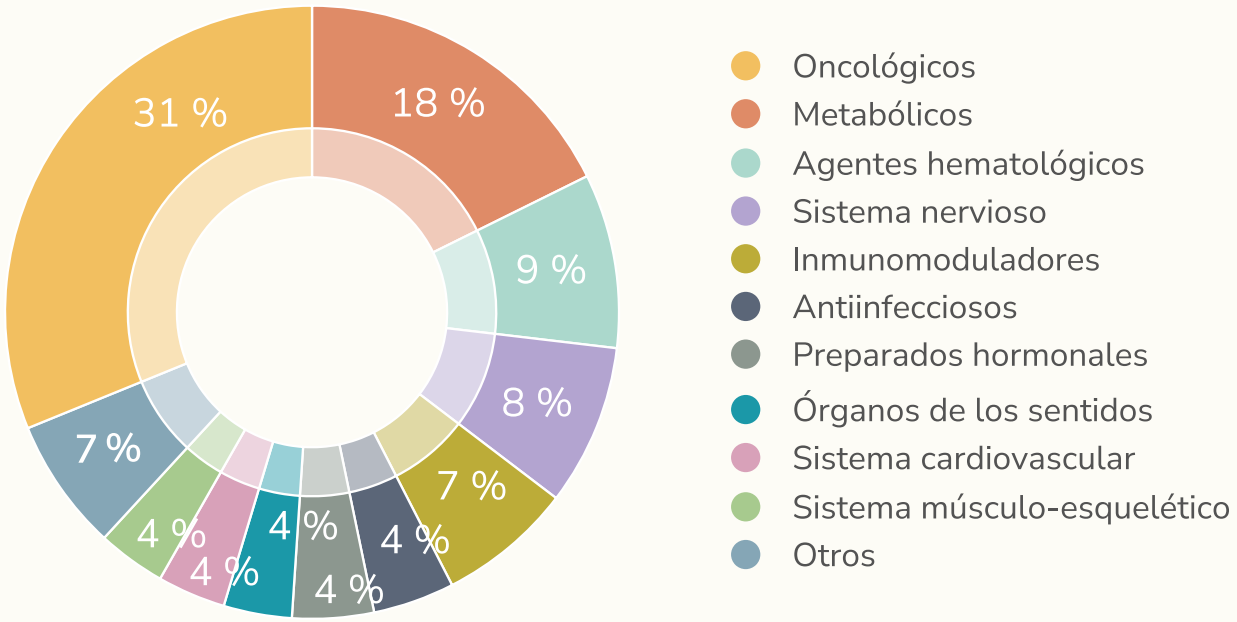


A fecha 30 de abril de 2026, **el 75 % de los MM.HH** que han llegado a España están financiados actualmente por el SNS.

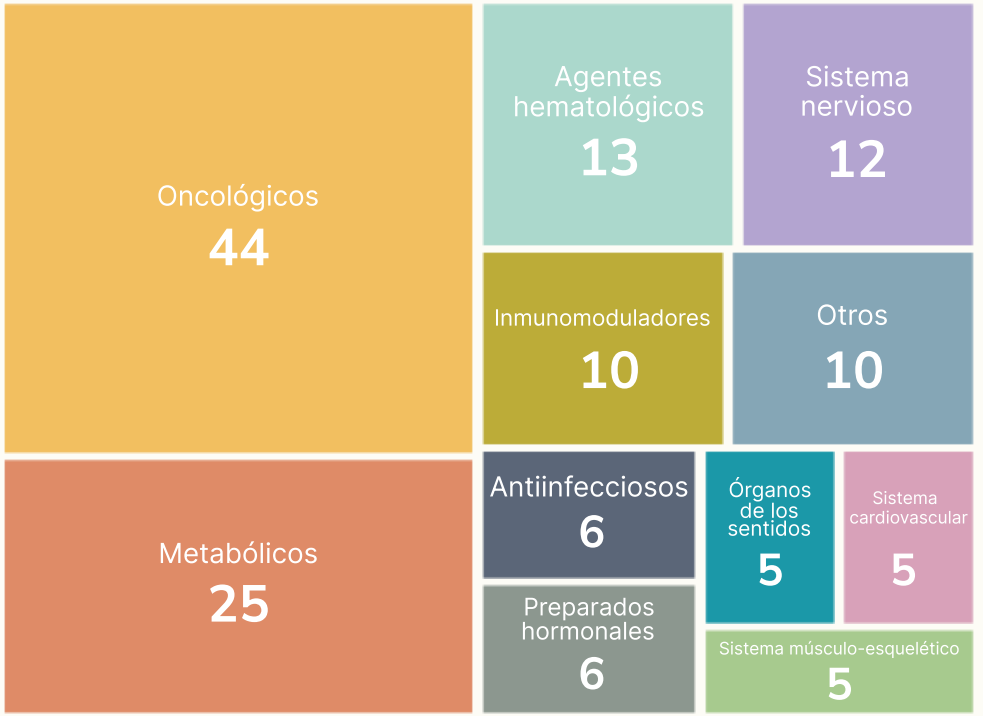
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. con CN por área terapéutica

Por área terapéutica



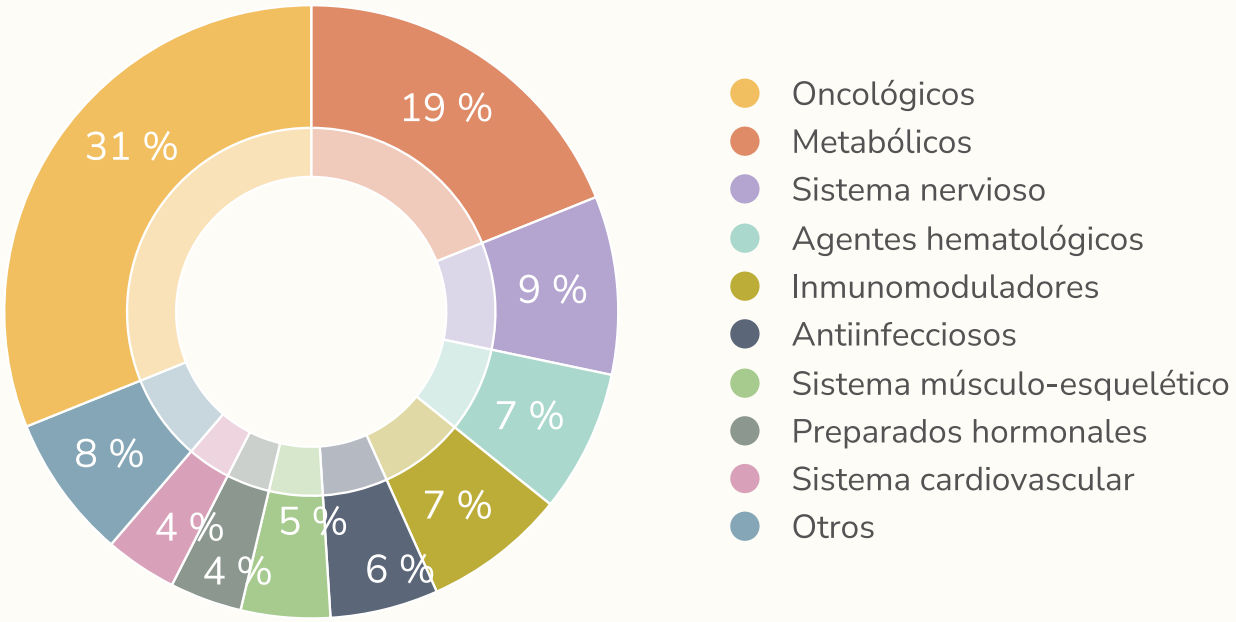
Valores absolutos



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. financiados por área terapéutica

Por área terapéutica

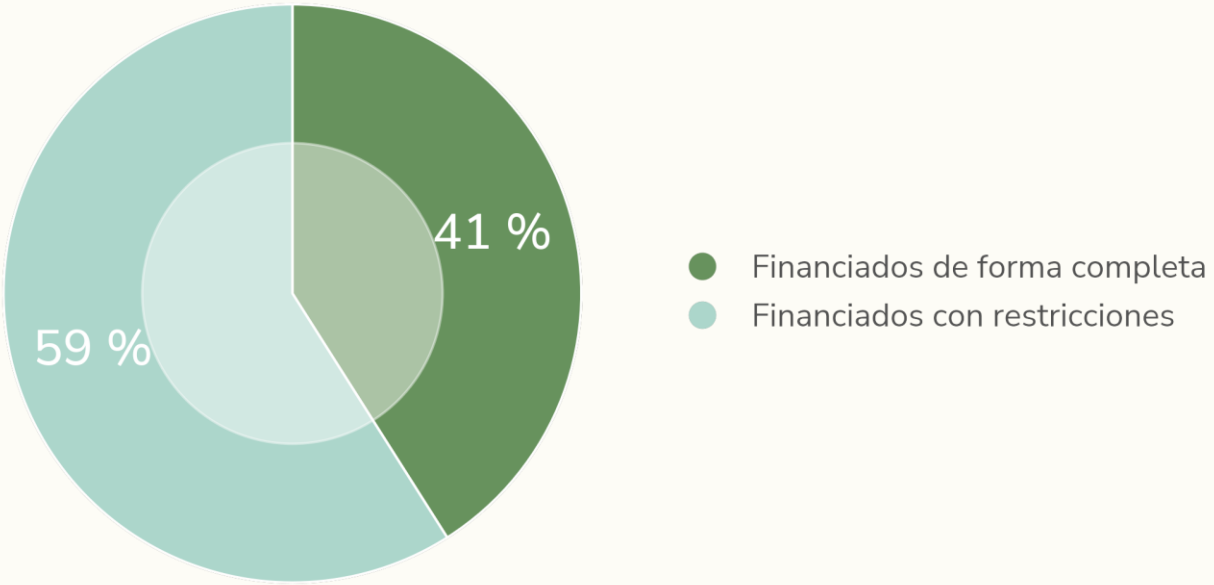


Valores absolutos



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

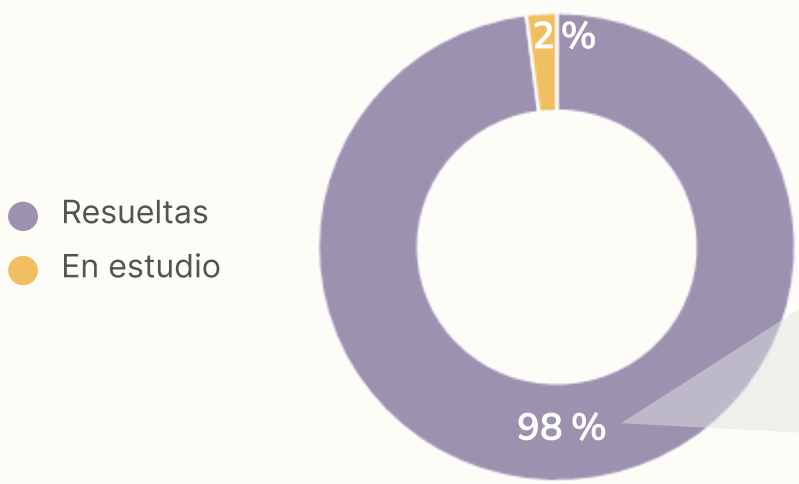


De los **106 MM.HH. financiados** por el SNS, un **59 %** (63) están financiados **con restricciones**, ya sea debido a restricciones en la/s indicación/es autorizada/s, o debido a que tienen alguna indicación no financiada en nuestro país.

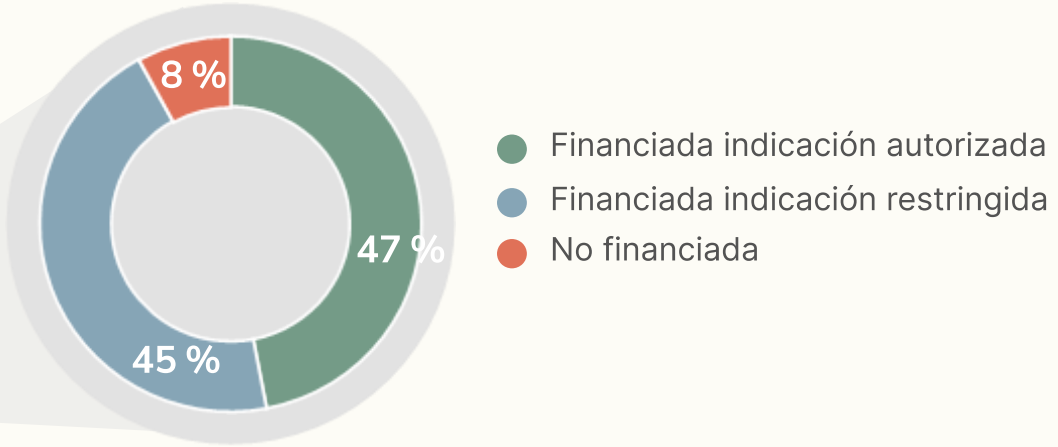
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Situación de indicaciones autorizadas de MM.HH. financiados

Situación del expediente por indicación



Resolución del expediente de financiación por indicación

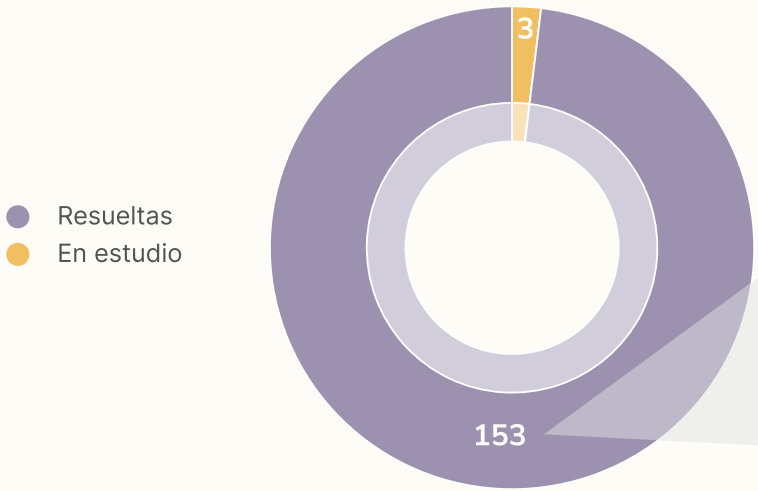


Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

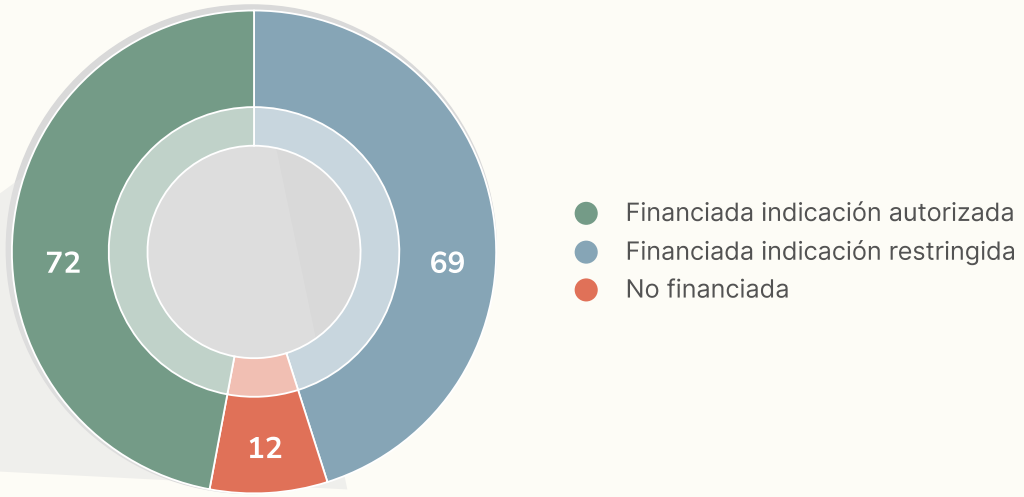
Fuente: BIFIMED (consultado en mayo 2026)

Situación de indicaciones autorizadas de MM.HH. financiados

Situación del expediente por indicación
Valores absolutos



Resolución del expediente de financiación por indicación
Valores absolutos



De las **156 indicaciones autorizadas por la EMA,** un 90 % (141) están financiadas.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU


Medicamentos huérfanos
financiados
en el 1er cuatrimestre de 2026

Nuevos medicamentos huérfanos financiados en el 1er c. 2026

En el primer cuatrimestre de 2026 se han financiado **3 nuevos medicamentos huérfanos** en España.

4 meses
Tiempo promedio desde la AC de la EMA hasta la obtención de CN

5 meses
Mediana de tiempo desde la AC de la EMA hasta la obtención de CN

22 meses
Tiempo promedio desde el CN hasta la financiación por el SNS

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

100 %
Aprobados con condiciones de financiación por el SNS

0 MM.HH.
Medicamentos financiados en el primer año tras la obtención de CN

2 MM.HH.
Medicamentos han tardado más de dos años en ser financiados después de obtener el CN

0 MM.HH.
Medicamentos financiados en su primera reunión de la CIPM

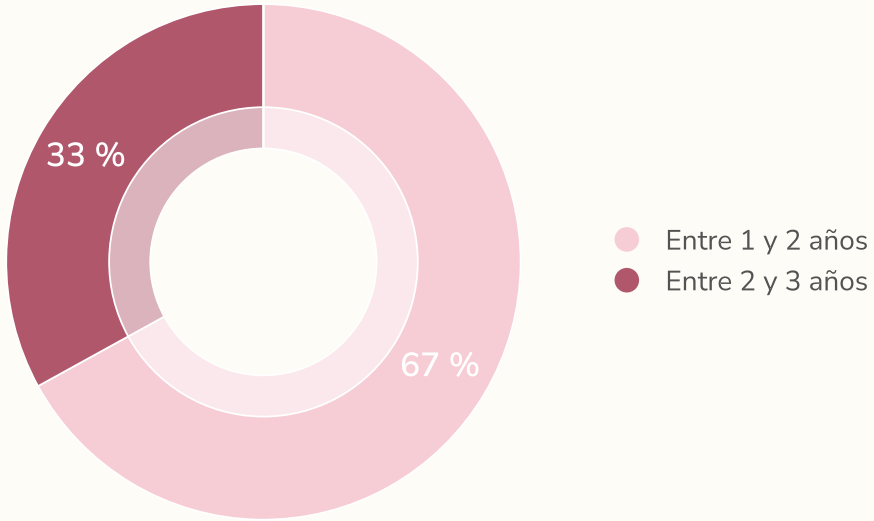
2 MM.HH.
Medicamentos han acudido a al menos cuatro reuniones de la CIPM hasta ser financiados

100 %
Financiados de forma restringida

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Nuevos medicamentos huérfanos financiados en el 1er c. 2026*

Por años de espera



Valores absolutos por años de espera



Valores absolutos por área terapéutica



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

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

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Nuevos medicamentos huérfanos financiados en el 1er c. 2026*

Medicamentos financiados en 2026 por tipo de condición de financiación

Condiciones de financiación	Número	%
Seguimed	3	100 %
Techo de gasto	2	67 %
Umbral de ventas	1	33 %
Devolución diferencia de PVL y precio por MSE	2	67 %
Suministro de tratamiento parcial o prueba sin coste	1	33 %
Valtermed	0	0%

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

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

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

Detalle criterios y condiciones de los 3 MM.HH. financiados por el SNS en el 1er c. 2026

	Nombre comercial	Compañía	Fecha de CN	Fecha de financiación SNS	Resolución expediente de financiación indicación	Meses desde AC hasta obtención CN	Meses desde CN hasta financiación	Reuniones CIPM	Criterios para la financiación[1]	Condiciones de financiación
1	**AGAMREE**	Santhera Pharmaceuticals	09/05/2024	01/04/2026	Sí para determinadas indicaciones	5	23	25/02/2026 28/01/2026 22/10/2025 19/06/2025	a) y c)	• Seguimed • Techo de gasto • Devolución PVL/MSE • Suministro tratamiento parcial prueba sin coste
2	**FILSPARI**	Vifor	20/09/2024	01/04/2026	Sí para determinadas indicaciones	5	19	25/02/2026 17/12/2025	a) y c)	• Seguimed • Umbral de ventas
3	**SKYCLARYS**	Biogen	29/02/2024	01/03/2026	Sí para determinadas indicaciones	1	24	28/01/2026 19/11/2025 24/04/2025 29/01/2025	a) y c)	• Seguimed • Techo de gasto • Devolución entre PVL y precio por MSE

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

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

[1] Criterios para la financiación:

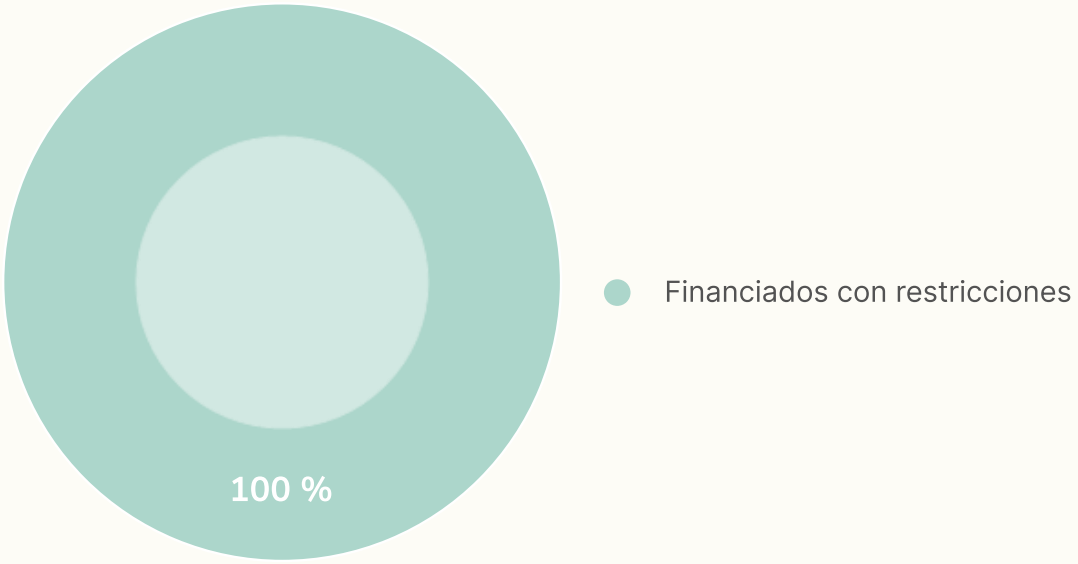
a) Gravedad, duración y secuelas de las distintas patologías para las que resulten indicados.

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Análisis de los MM.HH. financiados en el 1er c. 2026 por tipo de resolución

Por tipo de resolución



Valores absolutos



De los **3 medicamentos huérfanos financiados** durante el 1er c. de 2026, ninguno está financiado de forma completa. Los 3 están financiados con algún tipo de restricción.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de indicaciones de los 3 MM.HH. financiados (1/2)

	Nombre comercial	Compañía	Situación de financiación	Resolución expediente de financiación indicación	Indicaciones financiadas (Ministerio de Sanidad)	Indicación EMA
1	**AGAMREE**	Santhera Pharmaceuticals	Sí para determinadas indicaciones	Sí, con restricción a la indicación autorizada	La inclusión de AGAMREE® en la prestación del SNS queda restringida a una segunda línea para los pacientes con diagnóstico de distrofia muscular de Duchenne (DMD) confirmada mediante prueba genética, de 4 años o más, que hayan estado en tratamiento previo con glucocorticoides y que necesiten que se les reduzca la dosis más de un 30% (deflazacort, dosis media por debajo de 0,63 mg/kg/día) o se interrumpa el tratamiento, debido a EA. Criterios de Discontinuación: 1.Si no se cumplen criterios objetivos de seguridad ósea: si, tras los primeros 24 meses de tratamiento, en cualquier periodo anual de evaluación posterior se produce un cambio de > 3 puntos de IDE (índice de deformidad espinal) confirmado por referencia a una radiografía lateral de la columna vertebral al inicio de cada periodo de evaluación de 12 meses. No se considerarán las fracturas vertebrales causadas por traumatismo. 2. En caso de toxicidad inasumible. 3. Cuando el paciente requiera ventilación asistida permanente.	AGAMREE está indicado para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en pacientes a partir de 4 años de edad.
2	**FILSPARI**	Vifor	Sí para determinadas indicaciones	Sí, con restricción a la indicación autorizada	Se restringe la indicación autorizada para adultos con nefropatía por IgA confirmada por biopsia, y alto riesgo de progresión con una excreción de proteínas≥1,0 g/día (proteínas/creatinina en orina ≥ 0,75 g/g) en tratamiento con dosis estables de IECA y/o ARA-II a la dosis máxima establecida en FT o a la dosis máxima tolerada, y TFGe ≥30 mL/min/1,73m2. No se financia en combinación con KINPEYGO®. Criterios de discontinuación: - Pacientes que, tras 36 semanas de tratamiento, no hayan alcanzado una reducción ≥20% de la proteinuria respecto al VB, confirmada mediante al menos dos determinaciones consecutivas en condiciones clínicas estables, y que mantengan una proteinuria en rango de alto riesgo, excreción urinaria de proteínas ≥2,0 g/día o un UPCR ≥1,76 g/g. - Cualquier momento tras la evaluación inicial de la semana 36 cuando, en las reevaluaciones realizadas al menos cada 6 meses, no se mantenga una reducción ≥20 % de la proteinuria respecto al VB, confirmada mediante al menos dos determinaciones consecutivas en condiciones clínicas estables, y la proteinuria persista en rango de alto riesgo. - La función renal (TFGe) será objeto de seguimiento periódico, en el marco de las reevaluaciones realizadas al menos cada 6 meses. La valoración del TFGe se realizará atendiendo a su evolución en el tiempo, basada en determinaciones sucesivas realizadas en condiciones clínicas estables, tras descartar causas transitorias o potencialmente reversibles. La confirmación de un deterioro clínicamente relevante y sostenido de la función renal, evidenciado por la evolución del TFGe y tomando como referencia una disminución del TFGe ≥30 % respecto al VB previo al tratamiento, se considerará un criterio para la reevaluación del beneficio clínico y la posible discontinuación. -El VB de proteinuria se establecerá al inicio del tratamiento, una vez finalizado cualquier tratamiento previo no concomitante. - Las determinaciones de proteinuria y función renal se considerarán realizadas en condiciones clínicas estables cuando el tratamiento de base con IECA y/o ARA-II no haya sufrido cambios relevantes en las 4 semanas previas y el paciente se encuentre libre de procesos intercurrentes agudos recientes.	Filspari está indicado para el tratamiento de adultos con nefropatía primaria por inmunoglobulina A (NIgA) con una proteinuria mayor o igual a 1,0 g/día (o relación proteína/creatinina en orina mayor o igual a 0,75 g/g, ver sección 5.1).

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Fuente: BIFIMED (consultado en mayo 2026)

Detalle de indicaciones de los 3 MM.HH. financiados (2/2)

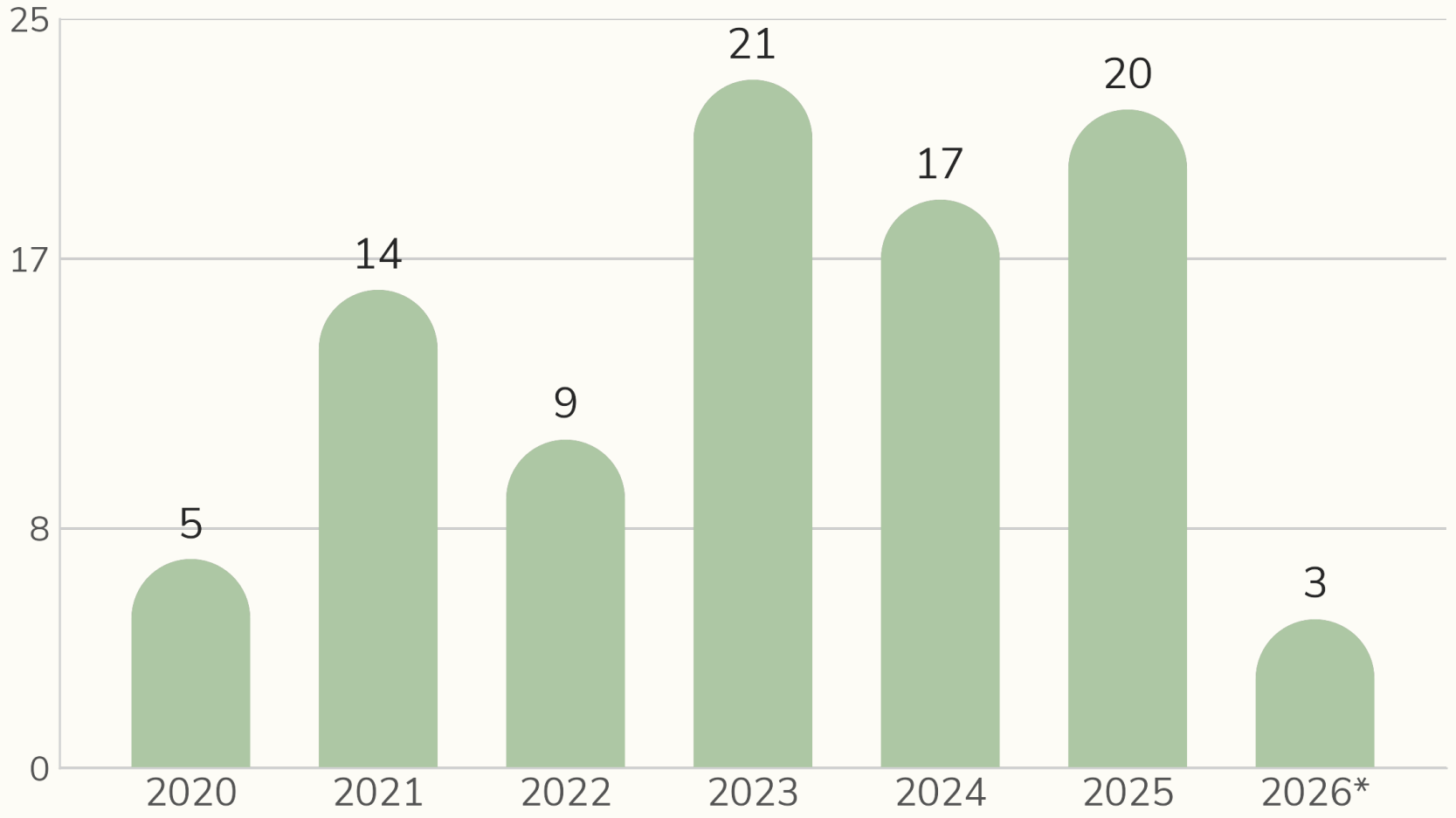
	Nombre comercial	Compañía	Situación de financiación	Resolución expediente de financiación indicación	Indicaciones financiadas (Ministerio de Sanidad)	Indicación EMA
3	**SKYCLARYS**	Biogen	Sí para determinadas indicaciones	Sí, con restricción a la indicación autorizada	Criterios de inicio de tratamiento: - Edad ≥ 16 años - Diagnóstico de ataxia de Friedreich confirmado genéticamente - mFARS basal < 80 - Pacientes en edad fértil no embarazadas y siempre usando métodos anticonceptivos - Diabetes mellitus controlada, HbA1c ≤ 11% - Valores hepáticos no elevados: ALT y AST ≤ 1,5 x ULN, fosfatasa alcalina ≤ 2 x ULN, bilirrubina ≤ x 2 ULN - No cardiomiopatía severa: Fracción de eyección del ventrículo izquierdo ≥ 40% - No daño renal: tasa de filtración glomerular estimada (eGFR ≥ 30 mL/min) - Expectativa de supervivencia superior a 1 año debido a Ataxia de Friedrich. Criterios de seguimiento clínico: - Cada mes durante los primeros 3 meses, luego cada 6 meses se deberán comprobar los niveles de enzimas hepáticas AST, ALT y bilirrubina - Cada 6 meses, hemograma con fórmula leucocitaria, colesterol total, LDL y HDL, eGFR y BNP (o NT/proBNP) - Cada 12 meses, analizar el estado funcional del paciente según las escalas específicas de ataxia de Friedreich mFARS. Criterios de discontinuación: - Estado funcional muy deteriorado (mFARS ≥ 80 puntos) - Pacientes con diabetes mellitus no controlable, HbA1c ≥ 11% - Pacientes con insuficiencia hepática grave, Child-Pugh clase C - Pacientes con cardiomiopatía severa de acuerdo a evaluación específica por cardiólogo, NYHA Clase IV - Pacientes con daño renal, tasa de filtración glomerular estimada (eGFR) < 30 mL/min - Mujeres con estado o planificación gestacional, discontinuando al menos 28 días antes - Pacientes con incremento de las enzimas hepáticas ALT o AST > 5 x ULN y bilirrubina >2 x ULN, y que tras 4 semanas de descanso del tratamiento no recuperan los niveles enzimáticos normales - Incremento de > 2 puntos en la escala mFARS a los 12 meses.	Skyclarys está indicado para el tratamiento de la ataxia de Friedreich en adultos y adolescentes a partir de los 16 años de edad.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Fuente: BIFIMED (consultado en mayo 2026)

Nº de MM.HH. financiados en España 2020-2026*

ES
SNS

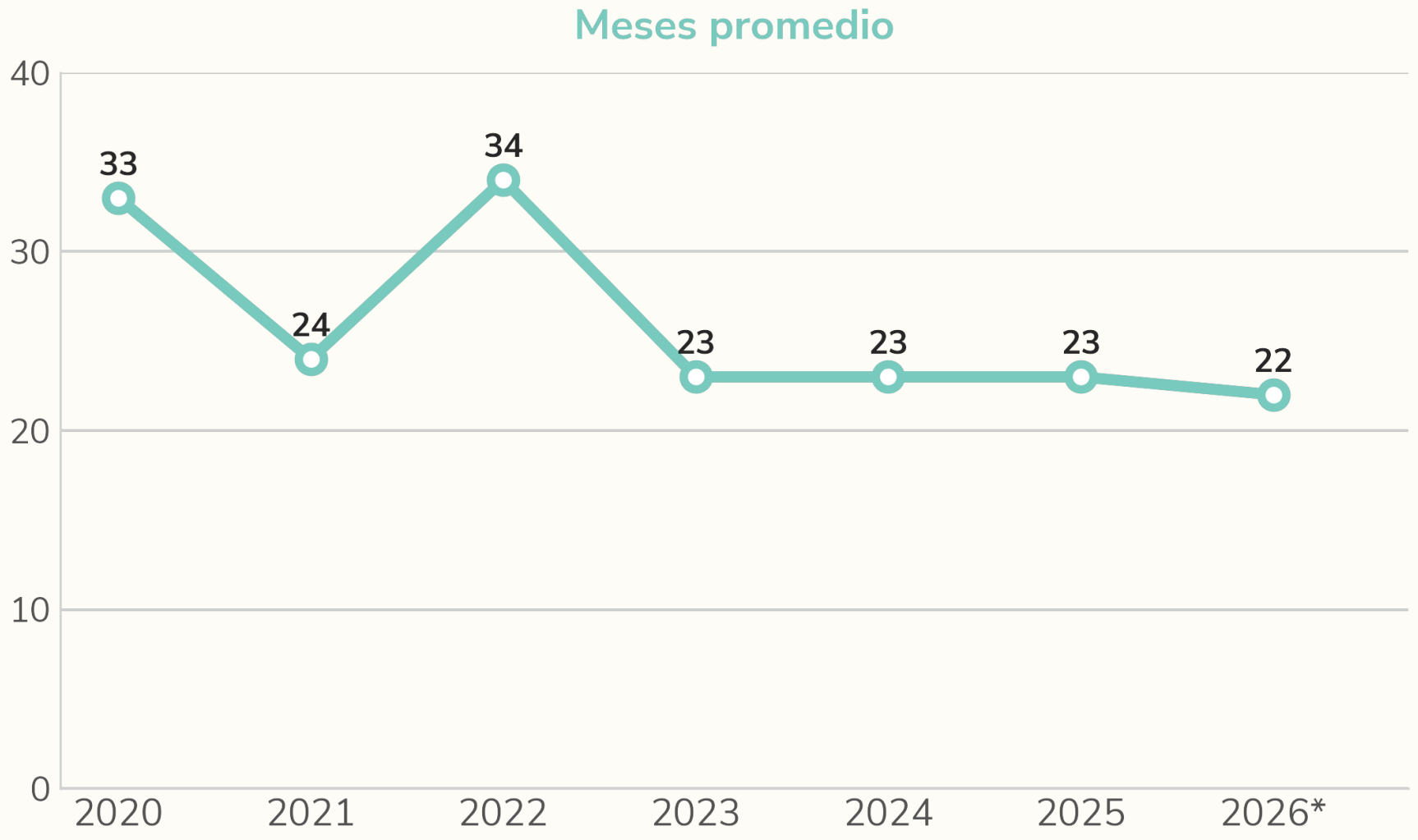


Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

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



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

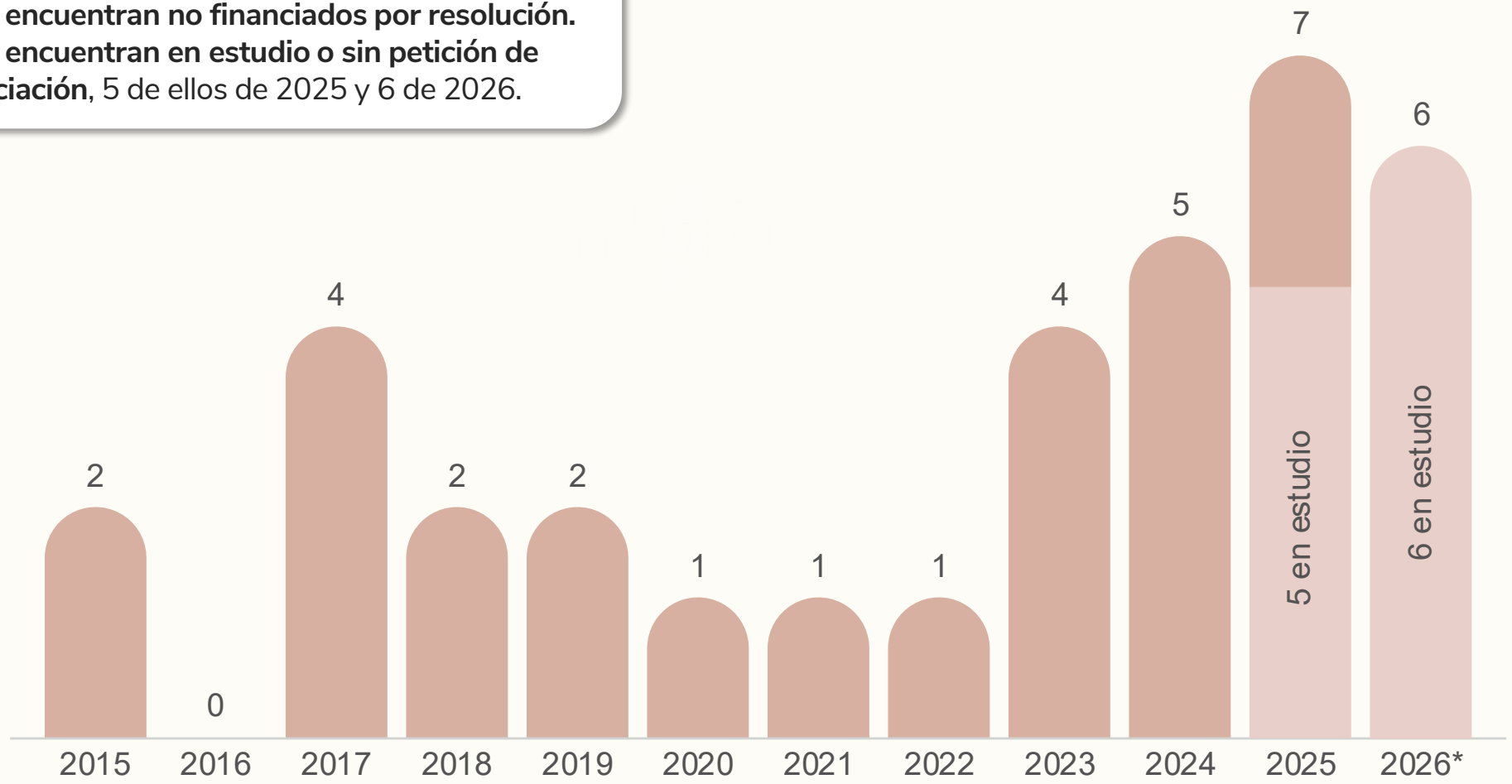
*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.


Medicamentos
huérfanos
no financiados

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

35 medicamentos huérfanos sin financiar:

- **24 se encuentran no financiados por resolución.**
- **11 se encuentran en estudio o sin petición de financiación**, 5 de ellos de 2025 y 6 de 2026.

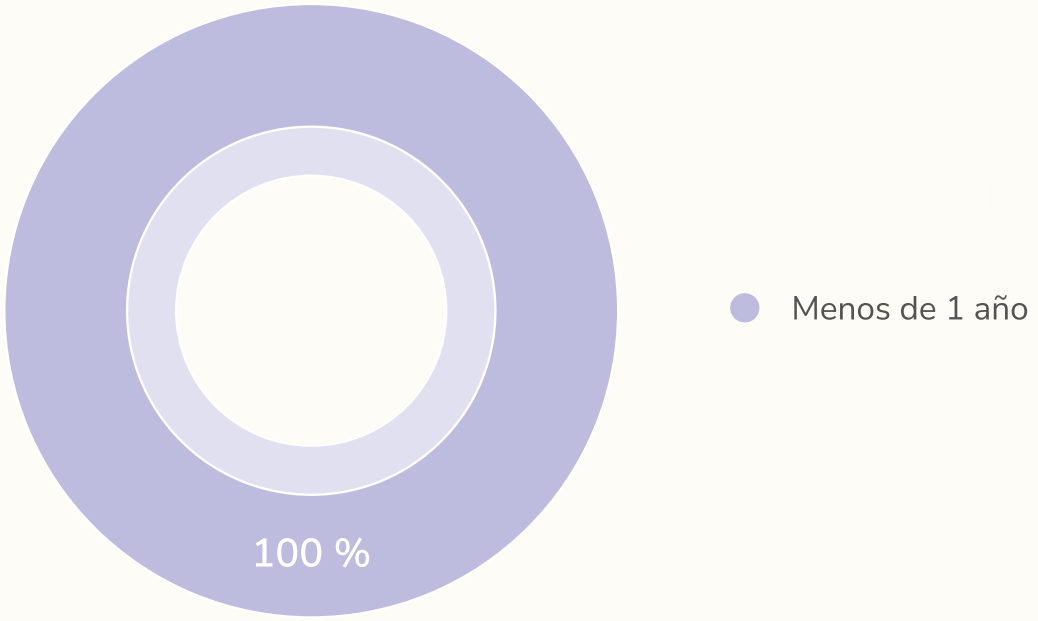


*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. en estudio de financiación con CN

Años de espera para financiación



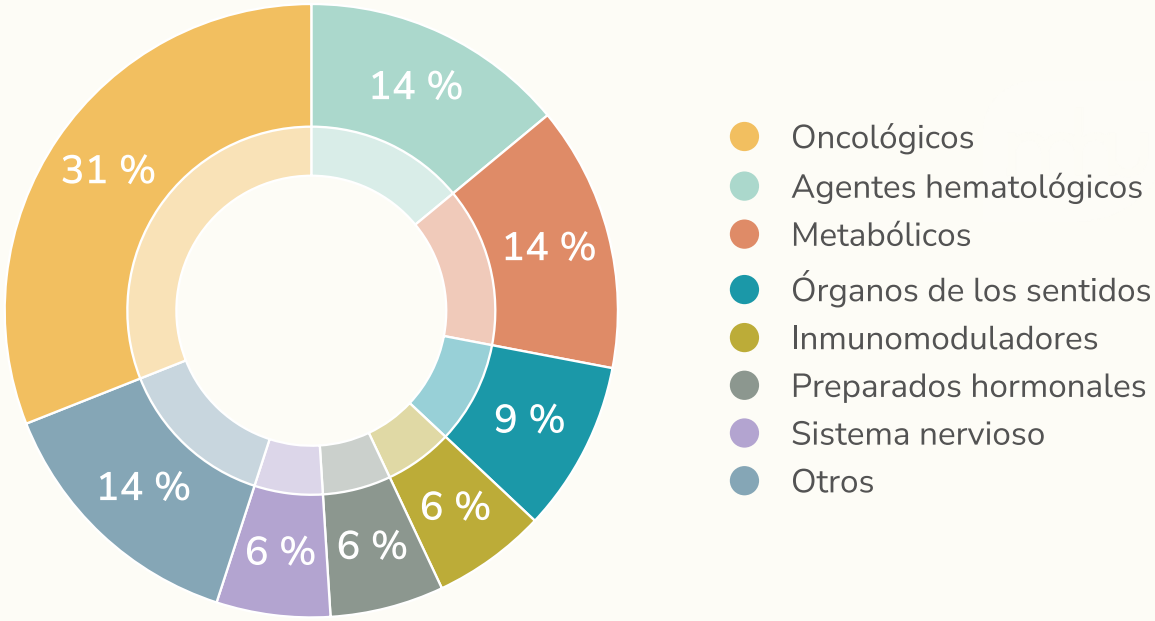
Valores absolutos



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. pendientes de financiación con CN

Clasificación por área terapéutica



Valores absolutos



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. pendientes de financiación con CN en el 1er c. de 2026

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**EZMEKLY**	Oncológicos	SpringWorks Therapeutics	18/02/2026	-	-	-	2
2	**OGSIVEO**	Oncológicos	SpringWorks Therapeutics	02/01/2026	-	-	-	4
3	**REZUROCK**	Oncológicos	Sanofi	31/03/2026	-	-	-	1
4	**VORANIGO**	Oncológicos	Servier	02/01/2026	-	-	-	4
5	**WAYRILZ**	Agentes hematológicos	Sanofi	17/04/2026	-	-	-	0
6	**ZYNYZ**	Oncológicos	Incyte	02/03/2026	-	-	-	2

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. pendientes de financiación con CN en 2025

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**ALYFTREK**	Sistema respiratorio	Vertex Pharmaceuticals	13/08/2025	25/02/2026	-	d)	9
2	**ARTESUNATE**	Antiparasitarios	Amivas	14/01/2025	24/09/2025 16/07/2025	01/11/2025	d) y e) d) y e)	16
3	**COAGADEX**	Agentes hematológicos	BPL Bioproducts	31/03/2025	-	01/03/2025	-	13
4	**ENJAYMO**	Inmunomodula-dores	Sanofi	29/12/2025	-	-	-	4
5	**ROMVIMZA**	Oncológicos	Deciphera Pharmaceuticals	26/11/2025	-	-	-	5
6	**TRYNGOLZA**	Sistema Cardiovascular	SOBI	06/11/2025	-	-	-	6
7	**VYJUVEK****	Dermatológicos	Krystal Biotech	24/10/2025	-	-	-	6

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

**MTA con designación huérfana

[1] Criterios para la no financiación:

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. pendientes de financiación con CN en 2024

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**ADZYNMA**	Agentes hematológicos	Takeda	30/10/2024	28/01/2026 19/11/2025	01/03/2026	d)	18
2	**CASGEVY**	Agentes hematológicos	Vertex Pharmaceuticals	01/03/2024	19/11/2025 19/06/2025	01/01/2026	d) d)	26
3	**ELAHERE****	Oncológicos	Abbvie	04/12/2024	-	01/03/2026	-	17
4	**VYLOY**	Oncológicos	Astellas	30/09/2024	24/09/2025	01/03/2026	d) y e)	19
5	**ZTALMY****	Sistema Nervioso	Marinus Pharmaceuticals	18/06/2024	-	01/10/2025	-	23

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

**MTA con designación huérfana

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

[1] Criterios para la no financiación:

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. pendientes de financiación con CN en 2023

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**EBVALLO****	Otros	Pierre	12/01/2023	25/03/2026 19/11/2025 20/02/2025 20/11/2024	01/04/2025	d) c) y d) c) y d) c) y d)	40
2	**ELZONRIS**	Oncológicos	Stemline Therapeutics	20/10/2023	29/01/2025 17/07/2024	01/03/2025	c) y d)	31
3	**ROCTAVIAN****	Agentes hematológicos	BioMarin	03/02/2023	19/06/2024	01/10/2024	c) y d)	39
4	**SOGROYA**	Preparados hormonales	Novo Nordisk	08/11/2023	24/04/2024	01/07/2024	d) y e)	30

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

**MTA con designación huérfana

[1] Criterios para la no financiación:

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

MM.HH. pendientes de financiación con CN en 2022

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	***UPSTAZA*****	Sistema nervioso	PTC Therapeutics	22/12/2022	23/11/2023 11/05/2023	01/01/2024	d) d)	41

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

**MTA con designación huérfana

[1] Criterios para la no financiación:

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. pendientes de financiación con CN en 2021

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**AMGLIDIA**	Metabólicos	Ammtek	14/01/2021	30/09/2021 08/07/2021	01/12/2021	d) c) y d)	64

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

[1] Criterios para la no financiación:

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. pendientes de financiación con CN en 2020

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	***DAURISMO***	Oncológicos	Pfizer	24/07/2020	04/04/2022 16/12/2021	01/06/2022	d) y e) c) y d)	70

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

[1] Criterios para la no financiación:

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. pendientes de financiación con CN en 2019

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**PALYNZIQ**	Metabólicos	BioMarin	16/12/2019	02/06/2022 03/03/2022 10/06/2021	01/10/2021	c) y d) c) c)	78
2	**VERKAZIA**	Inmunomoduladores	Santen Pharmaceutical	08/04/2019	07/04/2021	01/07/2021	d) y e)	86

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

[1] Criterios para la no financiación:

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

MM.HH. pendientes de financiación con CN en 2018

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**MYALEPTA**	Metabólicos	Chiesi	06/11/2018	25/11/2021 10/06/2021 17/06/2020 28/11/2019	01/08/2020	c) y d) c) y d) d) c) y d)	91
2	**NATPAR**	Preparados hormonales	Takeda	12/02/2018	-	01/02/2019	-	100

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

[1] Criterios para la no financiación:

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. pendientes de financiación con CN en 2017

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**CYSTADROPS**	Órganos de los sentidos	Recordati	27/12/2017	05/05/2022 03/03/2022	01/12/2018	e) y d) e) y d)	102
2	**NINLARO**	Oncológicos	Takeda	06/02/2017	07/04/2021 03/02/2021	01/03/2019	d) d)	112
3	**OXERVATE**	Órganos de los sentidos	Dompe	02/10/2017	-	01/07/2019	-	104
4	**XERMELO**	Metabólicos	SERB	22/12/2017	-	01/06/2018	-	102

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

[1] Criterios para la no financiación:

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

MM.HH. pendientes de financiación con CN en 2015

	Nombre comercial	Área terapéutica	Compañía	Fecha CN	Reuniones CIPM	Fecha no financiación/ exclusión*	Criterios para la no financiación[1]	Meses desde CN
1	**HOLOCLAR**	Órganos de los sentidos	Holostem	19/09/2015	-	01/08/2016	-	129
2	**STRENSIQ**	Metabólicos	Alexion	15/10/2015	22/05/2024 20/03/2024	01/07/2018	d) d)	128

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

[1] Criterios para la no financiación:

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

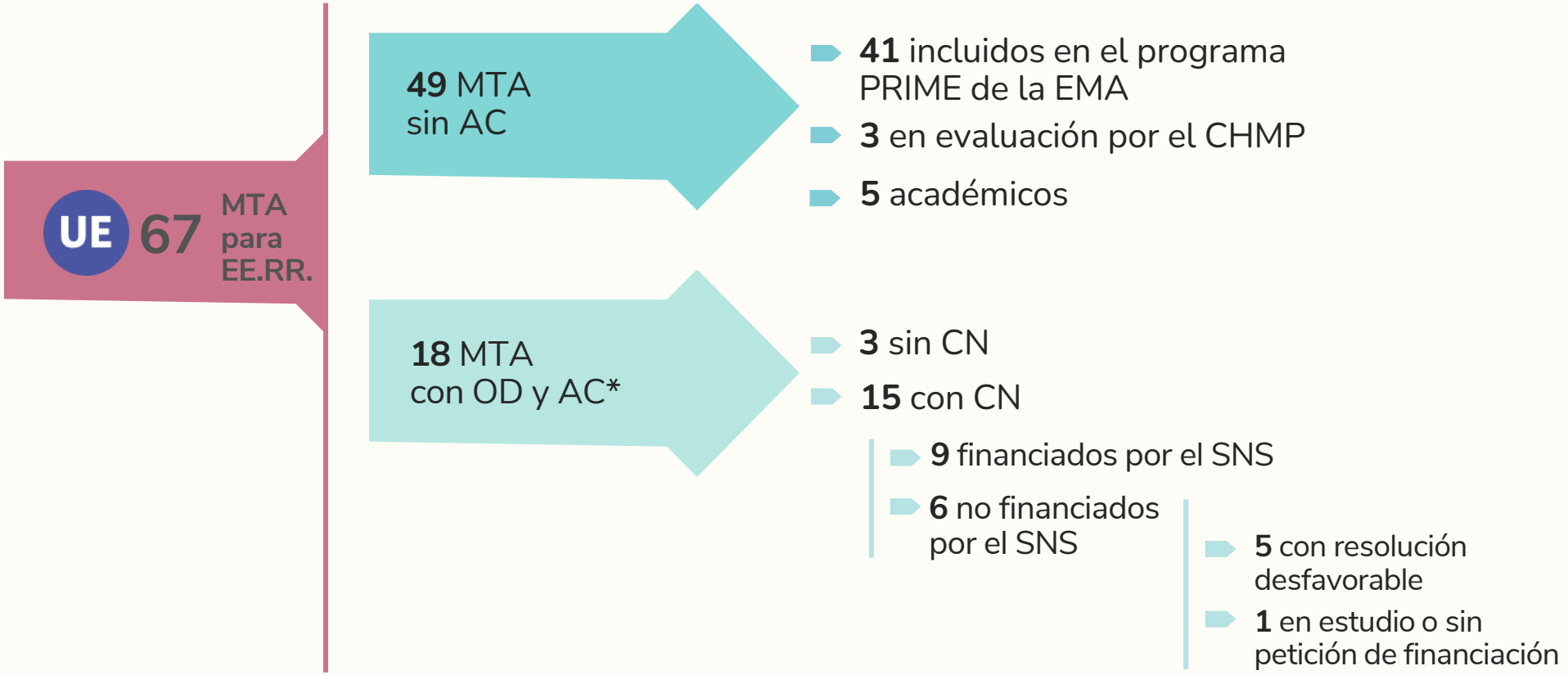
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos de terapia avanzada (MTA)

para enfermedades raras



Medicamentos de terapia avanzada para enfermedades raras



*Los 18 medicamentos de terapia avanzada con OD y AC estarían incluidos en la totalidad de 230 MM.HH. con OD y en los 163 MM.HH. con AC, ya que son MTA con nombre comercial.

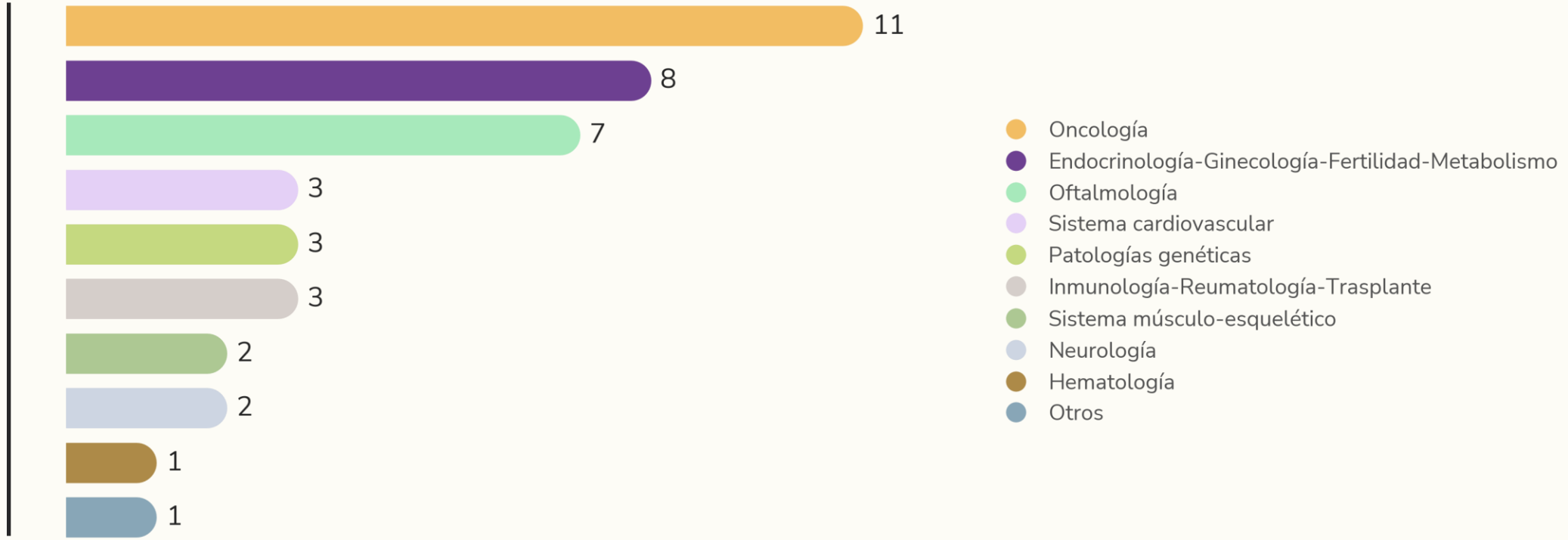
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

41

UE

Clasificación por área terapéutica



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

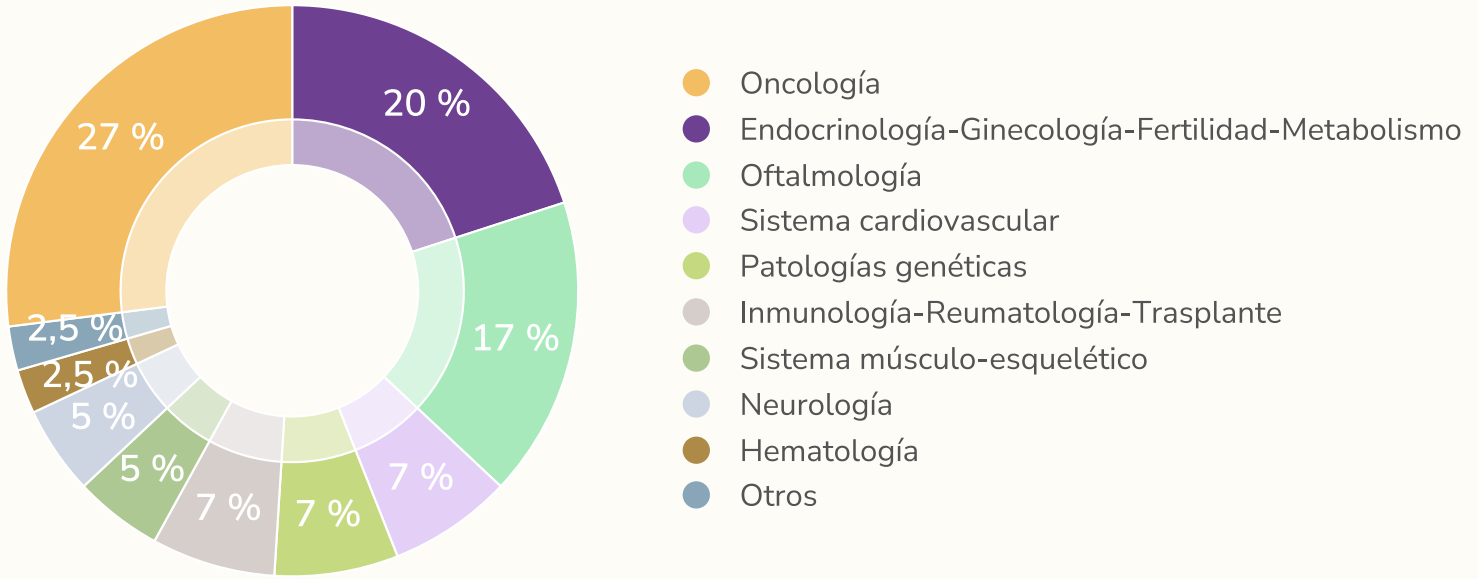
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

41

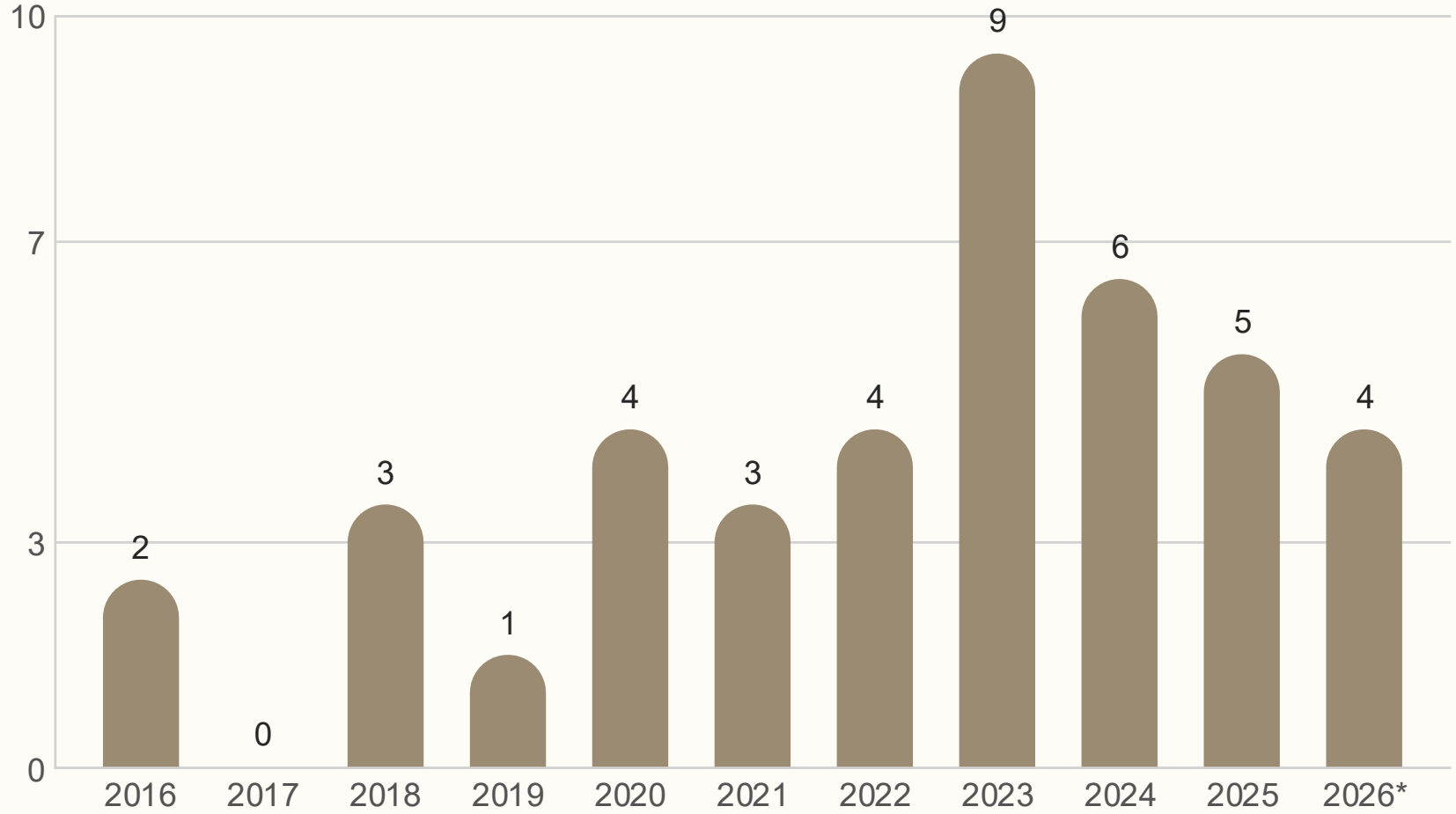
UE

Clasificación por área terapéutica



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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



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

*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los MTA en evaluación por el CHMP

	Nombre	Compañía	Área terapéutica	Indicación terapéutica	Inicio de la evaluación
1	**Onasemnogene abeparvovec***	Novartis	Sistema musculo-esquelético	Tratamiento de la distrofia muscular espinal tipo 5q	22/05/2025
2	**Zamtocabtagene autoleucel**	Miltenyi Biomedicine	Oncología	Tratamiento de neoplasias de células B maduras	26/03/2026
3	**Zopapogene imadenovec**	FGK Representative Services GmbH	Sistema respiratorio	Tratamiento de la papilomatosis respiratoria en adultos	27/11/2025

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

Denominación común internacional (DCI)/ nombre común.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los MTA académicos

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de aprobación de los 18 MTA con OD y AC

18 MTA

Tipo de aprobación de MTA con OD y AC*



Condiciones especiales de aprobación de MTA con OD y AC*



*Los 18 medicamentos de terapia avanzada con OD y AC estarían incluidos en la totalidad de 230 MM.HH. con OD y en los 163 MM.HH. con AC, ya que son MTA con nombre comercial.

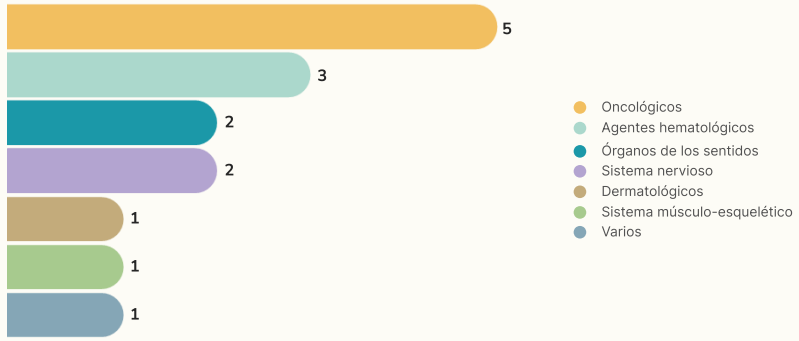
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

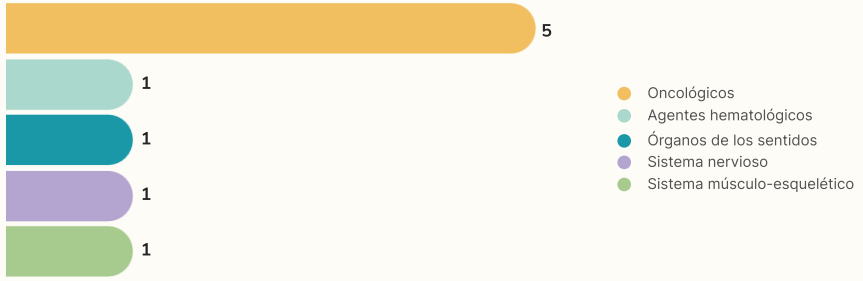
Terapias avanzadas con designación huérfana con AC por área terapéutica



Terapias avanzadas con designación huérfana con CN por área terapéutica



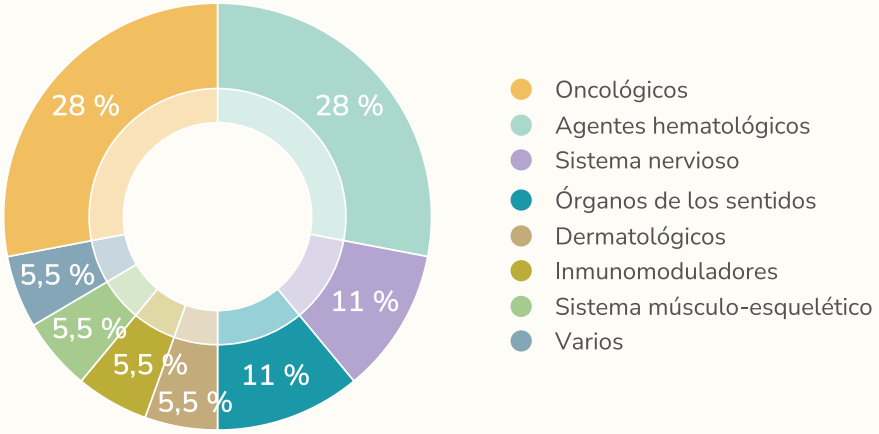
Terapias avanzadas con designación huérfana financiadas por el SNS por área terapéutica



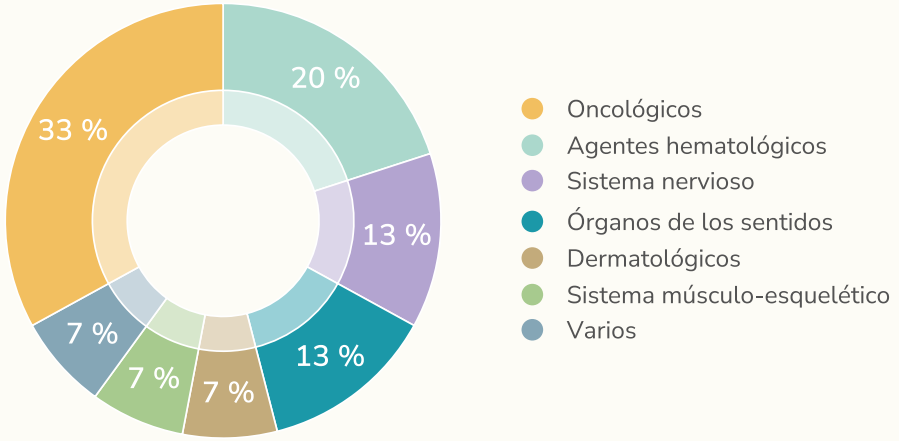
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

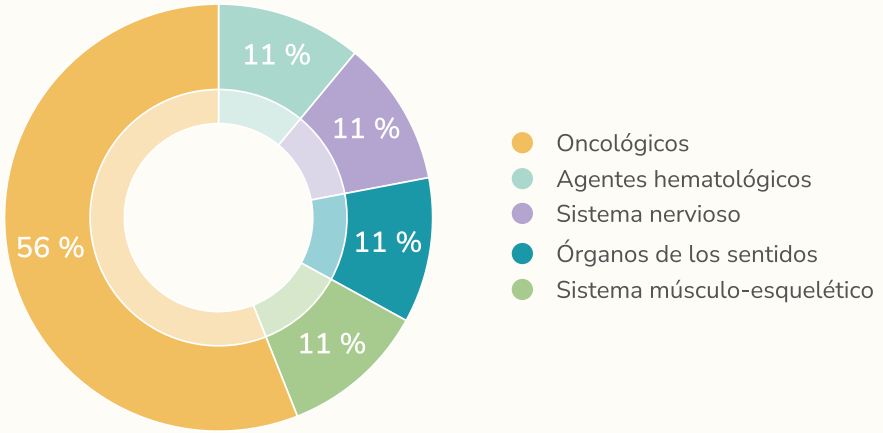
UE Terapias avanzadas con designación huérfana con AC por área terapéutica



ES Terapias avanzadas con designación huérfana con CN por área terapéutica



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



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

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

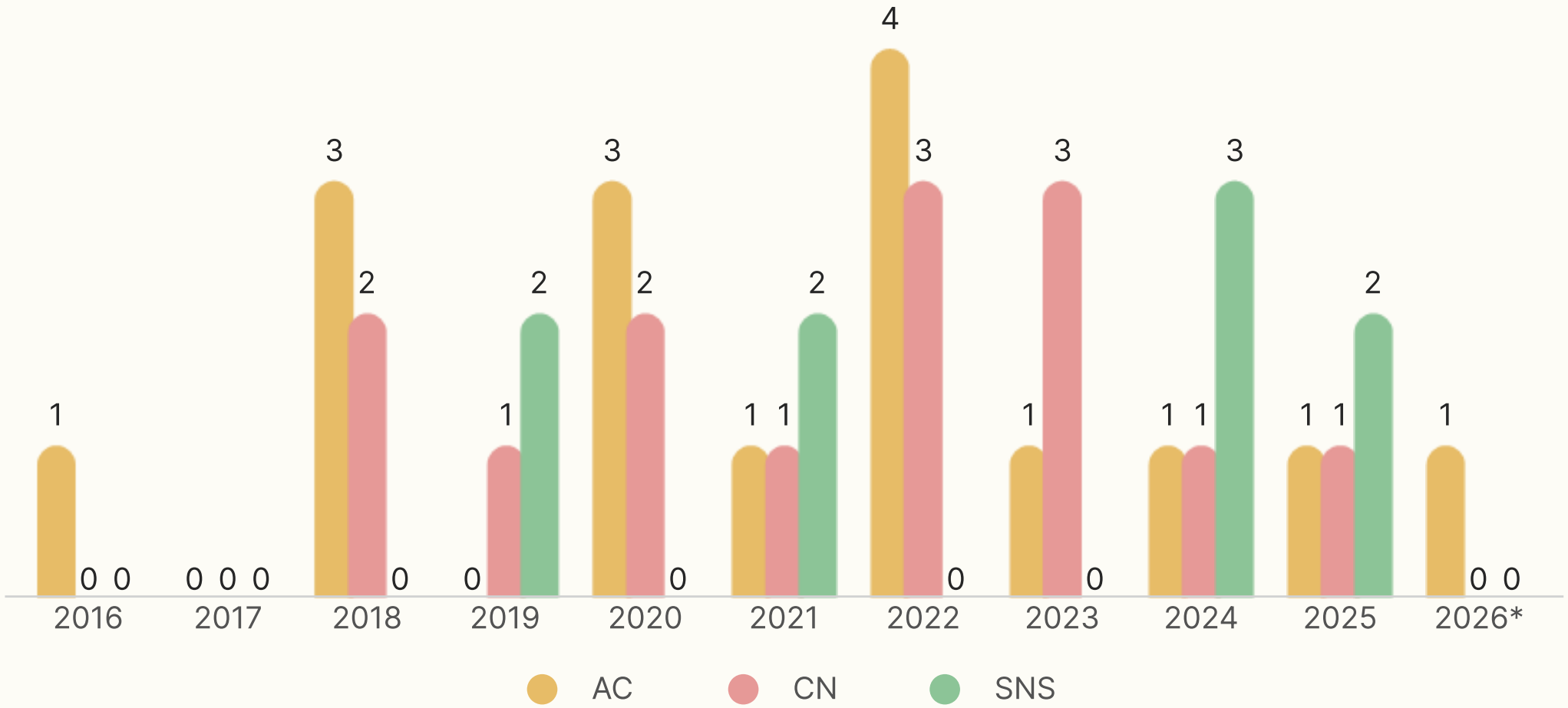
Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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



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

*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Medicamentos de terapia avanzada financiados

A fecha 30 de abril de 2026, hay **9 MTA financiados**:

4 meses

Tiempo promedio desde la AC de la EMA hasta la obtención de CN

< 1 mes

Mediana de tiempo desde la AC de la EMA hasta la obtención de CN

20 meses

Tiempo promedio desde el CN hasta la financiación por el SNS

25 meses

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

100 %

Aprobados con condiciones de financiación por el SNS

100 %

Sometidos a seguimiento a través del procedimiento informático SEGUIMED

89 %

Sometidos a cumplimentar el protocolo farmacoclínico a través de VALTERMED

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

Detalle de los 9 MTA financiados (1/2)

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

*LIBMELDY figura en BIFIMED con "situación de financiación: Sí para determinadas indicaciones/condiciones", no obstante, en el "estado del BIFIMED" aparece como "H-BAJA POR NO COMERCIALIZAR".

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

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

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los 9 MTA financiados (2/2)

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

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

[1] Criterios para la financiación:

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Detalle de los MTA con resolución desfavorable de financiación

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

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

[1] Motivos de no financiación:

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

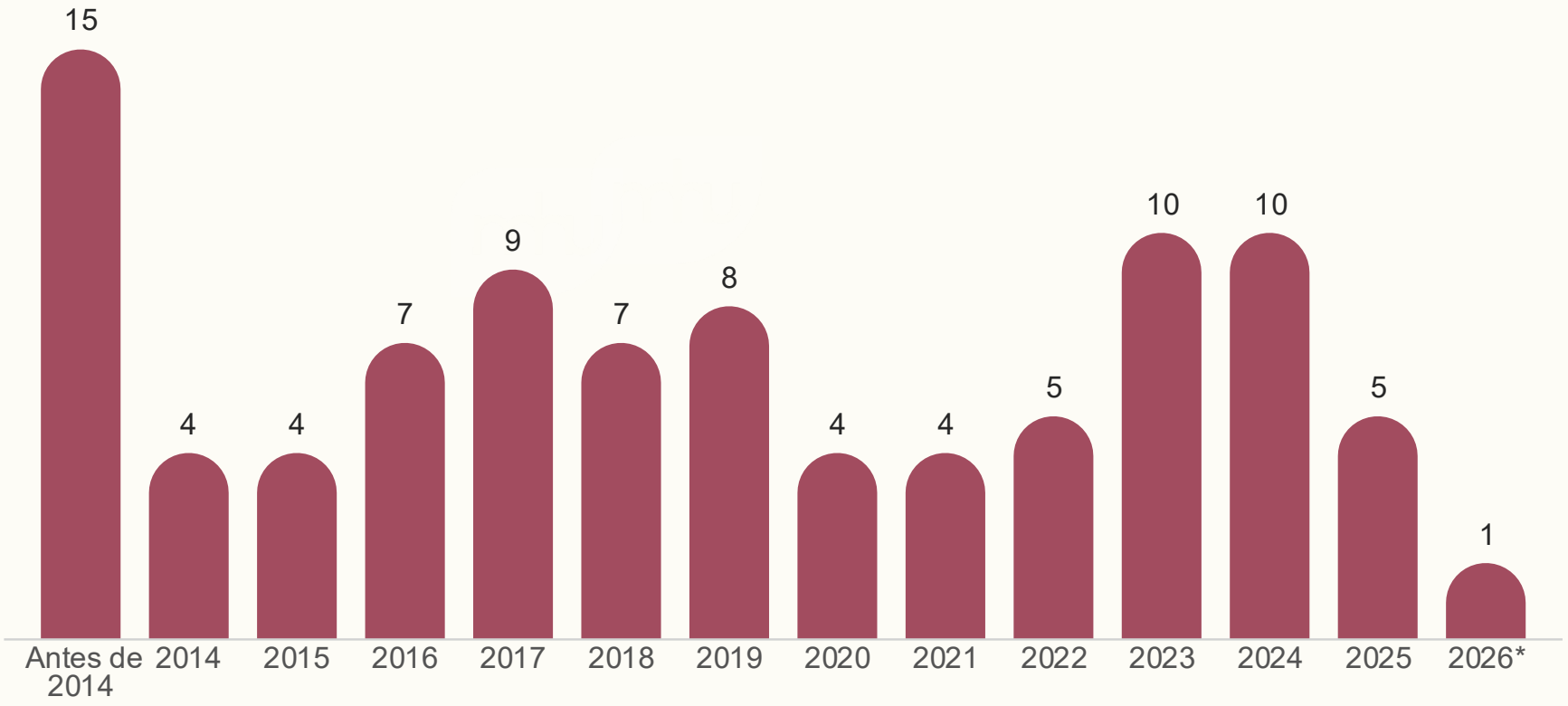
Medicamentos indicados para EE.RR

que han perdido la designación huérfana

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

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

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



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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

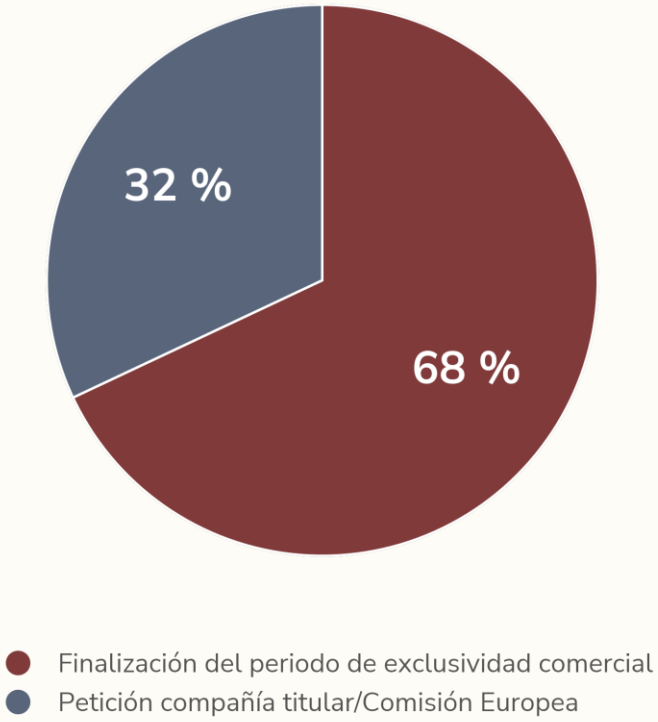
*Datos acumulados hasta 30 de abril de 2026.

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

De los **93** medicamentos indicados para enfermedades raras que han perdido la designación huérfana, pero siguen financiados por el SNS:

- **32 %** (30) han perdido la designación huérfana a **petición de la compañía titular o a una decisión de la comisión europea.**
- **68 %** (63) fue debido a la **finalización del periodo establecido de exclusividad** comercial.

Motivo de pérdida de OD



Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

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



Resumen

Principales datos

01 Durante el primer cuatrimestre de 2026:

- **10** nuevos medicamentos con **OD** y nombre comercial.
- **7** medicamentos huérfanos han obtenido **autorización de comercialización** en la UE.
- **6** medicamentos huérfanos han obtenido **Código Nacional**.
- **3** medicamentos huérfanos han sido **financiados** por el Sistema Nacional de Salud.

02 A fecha de 30 de abril de 2026, hay un total de:

- **230** medicamentos con **OD** y nombre comercial.
- **163** medicamentos huérfanos con autorización de **comercialización europea**.
- **141** medicamentos huérfanos con **comercialización en España** (CN), un 87 % de los que tienen AC.
- **106** medicamentos huérfanos **financiados** por el SNS, lo que representa un 65 % de los productos con AC y un 75 % de los que tienen CN.

03 Condiciones de aprobación de medicamentos huérfanos:

- Según el tipo de aprobación, **44 (27 %) de los MM.HH. autorizados hasta el 30 de abril de 2026** se han **aprobado de manera condicional** o **bajo circunstancias excepcionales**, mientras que el resto corresponde a aprobaciones estándar.
- En cuanto a las **condiciones especiales de aprobación**, **más de la mitad de los MM.HH.** autorizados en Europa y/o España están **sujetos a seguimiento adicional**: **104 (64 %)** en el caso de los que tienen **AC**, **90 (64 %)** de los que cuentan con CN, y **65 (61%)** de los financiados en España.
- De los **20 medicamentos huérfanos con aprobación condicional** y CN, 15 se han financiado (75 %), y de los **17 MM.HH.** con CN **aprobados bajo circunstancias excepcionales**, están financiados 12 (71 %).

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

04 Medicamentos huérfanos con AC pendientes de llegar a España:

- Actualmente, un **13 % de los medicamentos que tienen AC aún no han llegado a España** (22) y, de esos, un 45 % han recibido AC hace más de un año.

05 Medicamentos huérfanos financiados durante el 1er c. de 2026:

- **3 productos han obtenido financiación** entre el 1 de enero y el 30 de abril de 2026.
- El **tiempo medio de espera** desde la obtención del Código Nacional hasta la financiación por el SNS ha sido de **22 meses.**
- **Ningún medicamento** ha recibido financiación dentro del primer año después de obtener CN, y **ningún medicamento** ha logrado obtener la financiación en su primera reunión CIPM.
- **Sólo 1 medicamento** ha tardado más de dos años en ser financiado después de obtener el CN, y **2 medicamentos** han acudido a al menos cuatro reuniones de la CIPM hasta recibir la financiación del SNS.
- El **100 %** de los medicamentos financiados durante el primer cuatrimestre de 2026 tienen **condicionada su financiación** y un **100 %** tienen **restringida** su financiación (en base a las indicaciones aprobadas por EMA).

06 Tratamientos no financiados:

- **35** medicamentos huérfanos con CN **no están financiados**, ya sea porque:
  - se encuentran en estudio o sin petición de financiación (11); de los cuales, el **100 %** lleva **menos de un año** esperando una resolución favorable de financiación y ninguno lleva **más de tres años** esperando una resolución favorable de financiación;
  - o bien porque han sido excluidos mediante resolución (24).

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

07 Medicamentos de terapia avanzada para enfermedades raras:

- Hasta el 30 de abril de 2026, el **73 %** de los **67 MTA para enfermedades raras no cuentan con una autorización de comercialización** (AC). De estos, 41 están incluidos en el programa PRIME de la EMA, 3 se encuentran en proceso de evaluación por el CHMP y 5 son MTA académicos.

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

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

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

- De los **6 MTA excluidos de la financiación del SNS**:
  - **5** tienen resoluciones desfavorables de financiación entre 2016 y el primer cuatrimestre de 2026.
  - **1** se encuentran en estudio o sin petición de financiación.

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

- **93 medicamentos indicados para enfermedades raras** han perdido la designación huérfana, pero siguen financiados por el SNS.
- De esos medicamentos:
  - **32 %** han perdido la OD a petición de la compañía titular o a una decisión de la comisión europea.
  - **68 %** han perdido la OD debido a la finalización del periodo establecido de exclusividad comercial.

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Bibliografía

01 Medicamentos con designación huérfana de la Agencia Europea del Medicamento

02 Registro Comunitario de Medicamentos Huérfanos

03 Centro de información online de medicamentos de la AEMPS

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

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

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Acrónimos

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

Documento de uso interno exclusivo para asociados AELMHU

Informe de:

aelmhu

asociación española de laboratorios de medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

aelmhu.es

elaborado por:
bio innova Consulting