A la atención de:

Secretaria General de la Consejería de Sanidad
Junta de Comunidades de Castilla-La Mancha

Madrid, 7 de septiembre de 2026

CONSULTA PÚBLICA PLAN CONTRA EL CÁNCER DE CASTILLA-LA MANCHA 2026-2030

Aportaciones Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU)

La **Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU)** es una entidad sin ánimo de lucro que agrupa a **29 compañías farmacéuticas y biotecnológicas** comprometidas con el desarrollo de soluciones terapéuticas para las personas con enfermedades raras y ultrarraras.

AELMHU agradece la oportunidad de participar en la consulta pública previa del **Plan contra el Cáncer de Castilla-La Mancha 2026-2030** (en adelante, «el Plan») y desea contribuir a su elaboración aportando la perspectiva y experiencia del sector de los medicamentos huérfanos, con especial atención a los cánceres raros y a los retos asociados a la investigación clínica, la evaluación, la financiación y el acceso a estos tratamientos en España.

Las presentes aportaciones se apoyan, entre otras fuentes, en los datos recogidos en el **Informe Anual de Acceso a los Medicamentos Huérfanos en España 2025**, el **Informe Cuatrimestral de Acceso a los Medicamentos Huérfanos en España correspondiente al primer cuatrimestre de 2026** y el **Informe sobre Ensayos Clínicos para Enfermedades Raras en España 2025**, elaborados por AELMHU a partir de información procedente de fuentes públicas, entre ellas la Agencia Europea de Medicamentos (EMA), la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), el Ministerio de Sanidad y el Registro Español de Estudios Clínicos (REec).

1. VALORACIÓN GENERAL DEL PLAN

AELMHU valora positivamente la orientación del Plan hacia una atención oncológica integral, equitativa e innovadora, así como la incorporación de actuaciones relacionadas con la oncología de precisión, los Comités Moleculares de Tumores, las terapias avanzadas, los sistemas de información y la investigación clínica. Todos ellos son ámbitos de especial relevancia para las personas con cánceres raros o tumores de baja incidencia.

No obstante, el diagnóstico de situación se articula fundamentalmente a partir de indicadores generales de incidencia, prevalencia y mortalidad y del análisis de los tumores de mayor frecuencia, sin incorporar un análisis diferenciado de los cánceres raros.

Los cánceres raros, entendidos como aquellos cuya incidencia es inferior a 6 casos por 100.000 habitantes y año, representan una proporción relevante del conjunto de los tumores. La **Estrategia en Cáncer del Sistema Nacional de Salud, actualizada en 2021 por el Ministerio de Sanidad**, recoge, de acuerdo con la definición establecida por el proyecto europeo RARECARE, que **en torno a uno de cada cuatro tumores puede ser considerado raro**. En términos similares, la **Asociación Española Contra el Cáncer (2022)** señala que los tumores poco frecuentes representan **en torno al 22-24 % de los nuevos diagnósticos de cáncer al año**. Sus características plantean retos específicos en materia de diagnóstico, generación de evidencia, disponibilidad de alternativas terapéuticas, acceso a centros especializados y participación en investigación clínica.

Por ello, AELMHU considera conveniente que el Plan incorpore de forma expresa la perspectiva de los cánceres raros y de baja incidencia, de manera que sus necesidades específicas puedan ser adecuadamente consideradas en el desarrollo de las distintas líneas de actuación y en los mecanismos de seguimiento y evaluación del Plan.

2. DATOS DE CONTEXTO

Con el fin de contextualizar estas aportaciones, se recogen a continuación algunos de los principales resultados de los informes elaborados por AELMHU en materia de acceso a medicamentos huérfanos e investigación clínica en enfermedades raras.

2.1. Acceso y financiación de medicamentos huérfanos

De acuerdo con el **Informe Anual de Acceso a los Medicamentos Huérfanos en España 2025**, con datos acumulados hasta el 31 de diciembre de 2025:

- Durante 2025, **18 medicamentos huérfanos obtuvieron autorización de comercialización en la Unión Europea, 9 medicamentos huérfanos obtuvieron Código Nacional en España y 20 medicamentos huérfanos fueron financiados por el Sistema Nacional de Salud (SNS)**.
- El **tiempo medio de espera desde la obtención del Código Nacional hasta la financiación por el SNS** de los medicamentos financiados durante 2025 fue de **23 meses**.
- A 31 de diciembre de 2025, había **156 medicamentos huérfanos con autorización de comercialización europea, 134 con Código Nacional en España y 103 financiados por el SNS**. Estos últimos representaban el **66 % de los medicamentos con autorización de comercialización** y el **77 % de los que contaban con Código Nacional**.

- A cierre de 2025, **31 medicamentos huérfanos con Código Nacional no estaban financiados**, ya fuera porque se encontraban **en estudio o sin petición de financiación (11)** o porque habían sido **excluidos mediante resolución (20)**.
- En el ámbito de los medicamentos de terapia avanzada para enfermedades raras, **15 medicamentos de terapia avanzada tenían designación huérfana y autorización de comercialización**, de los cuales **14 disponían de Código Nacional y 9 estaban financiados por el SNS**.

AELMHU realiza asimismo un **seguimiento cuatrimestral de estos indicadores de acceso**, que permite analizar su evolución a lo largo del año. Los datos correspondientes al **primer cuatrimestre de 2026** muestran que continúan produciéndose **avances en la incorporación de medicamentos huérfanos al Sistema Nacional de Salud,** con un aumento del número de medicamentos financiados. No obstante, **persisten retos relevantes** relacionados con los tiempos de acceso y las condiciones de financiación, dado que los tiempos medios de espera continúan siendo prolongados y una parte relevante de los medicamentos financiados presenta restricciones respecto de las indicaciones autorizadas.

En este sentido, AELMHU considera necesario continuar avanzando hacia un acceso a los medicamentos huérfanos que sea ágil, predecible y homogéneo, especialmente en patologías de baja prevalencia y con necesidades médicas no cubiertas.

2.2. Peso de la oncología entre los medicamentos huérfanos

Los datos del **Informe Anual de Acceso a los Medicamentos Huérfanos en España 2025** ponen de manifiesto el peso específico de la oncología dentro del ámbito de los medicamentos huérfanos.

A cierre de 2025:

- De los **134 medicamentos huérfanos con Código Nacional en España, 40 —el 30 %— correspondían al área oncológica**, que constituía el área terapéutica con mayor representación, por delante de las enfermedades metabólicas.
- De los **103 medicamentos huérfanos financiados por el SNS, 33 —el 32 %— eran oncológicos**.
- Entre los **22 medicamentos huérfanos con autorización de comercialización que todavía no disponían de Código Nacional en España, 7 —el 31,8 %— correspondían al área oncológica**.
- Entre los **31 medicamentos con Código Nacional no financiados en España, 7 —el 23 %— eran oncológicos**.
- De los **20 medicamentos huérfanos financiados por el SNS durante 2025, 6 —el 30 %— correspondían al área oncológica**.

- De los **9 medicamentos de terapia avanzada para enfermedades raras financiados por el SNS a cierre de 2025, 5 —el 56 %— tenían indicación oncológica**.

En conjunto, estos datos reflejan la importancia de la oncología dentro de la innovación terapéutica dirigida a enfermedades raras y justifican que las particularidades asociadas a los medicamentos huérfanos sean tenidas en consideración en la planificación de la atención oncológica.

2.3. Investigación clínica en enfermedades raras y situación de Castilla-La Mancha

De acuerdo con el **Informe sobre Ensayos Clínicos para Enfermedades Raras en España 2025** de AELMHU, durante 2025 se autorizaron en España **962 ensayos clínicos**, de los cuales **216 estuvieron dirigidos a enfermedades raras**, lo que representa aproximadamente el **22 % del total**. El número de ensayos clínicos para enfermedades raras aumentó un **4 % respecto a 2024**, al pasar de **207 a 216 ensayos**.

La **Oncología siguió siendo el área terapéutica predominante en la investigación en enfermedades raras durante 2025**, con **47 ensayos clínicos, el 22 % del total**.

En cuanto a la distribución territorial, **Castilla-La Mancha participó en 5 de los 216 ensayos clínicos para enfermedades raras autorizados en España durante 2025, el 2 % del total**, situándose entre las comunidades autónomas con menor participación. En el periodo acumulado **2020-2025, Castilla-La Mancha participó en 46 ensayos clínicos para enfermedades raras**, encontrándose asimismo entre las comunidades autónomas con una participación inferior al 5 % del total.

Esta situación adquiere especial relevancia atendiendo a las características demográficas y territoriales de Castilla-La Mancha. La dispersión geográfica, la baja densidad de población y la concentración de determinados ensayos clínicos en grandes centros pueden dificultar la participación de las personas con enfermedades de baja prevalencia en proyectos de investigación.

AELMHU considera que estas circunstancias podrían justificar que el Plan contemple medidas dirigidas a favorecer la participación de las personas con cánceres raros en investigación clínica y a reforzar la capacidad investigadora de los centros de la región.

3. APORTACIONES ESPECÍFICAS A LOS EJES DEL PLAN

3.1. Eje 2. Atención oncológica integral y humanización

Línea 2.1. Modelo asistencial: diagnóstico, tratamiento, cuidados paliativos y supervivientes

En relación con el desarrollo de **protocolos regionales por patologías para favorecer el acceso equitativo a los tratamientos oncológicos**, AELMHU considera conveniente que se tengan en cuenta las particularidades de los tumores de baja incidencia.

La menor prevalencia de estas patologías puede dificultar el desarrollo de protocolos específicos para cada tumor. Por ello, sería recomendable prever mecanismos que permitan abordar aquellos casos para los que no exista un protocolo regional específico, evitando que esta circunstancia pueda constituir una barrera para el acceso a la alternativa terapéutica que corresponda de acuerdo con la evidencia disponible y las decisiones adoptadas en el ámbito del SNS.

Asimismo, los **Comités Moleculares de Tumores** pueden desempeñar un papel especialmente relevante en el diagnóstico y la orientación terapéutica de aquellos cánceres raros o subtipos tumorales definidos por alteraciones moleculares específicas.

AELMHU considera oportuno reforzar la coordinación de estos comités con los **Centros, Servicios y Unidades de Referencia (CSUR) del Sistema Nacional de Salud** y, cuando resulte procedente, con las **Redes Europeas de Referencia (RER)**, favoreciendo circuitos ágiles de consulta y derivación cuando la complejidad o baja incidencia de la patología aconseje recurrir a centros con una mayor experiencia específica.

Esta coordinación podría contribuir a facilitar el acceso de los pacientes al conocimiento experto con independencia de su lugar de residencia y reducir las desigualdades asociadas a la dispersión territorial.

3.2. Eje 3. Recursos y estructura organizativa sostenible

Línea 3.1. Organización asistencial y accesibilidad

En relación con los procedimientos de valoración y los circuitos regionales vinculados a terapias avanzadas y otros tratamientos innovadores, AELMHU considera conveniente que se tengan en cuenta las particularidades de la evidencia disponible en enfermedades raras y ultrarraras.

El reducido número de pacientes, la heterogeneidad clínica y las dificultades inherentes al desarrollo de ensayos clínicos en poblaciones de baja prevalencia pueden condicionar tanto el diseño de los estudios como el volumen de evidencia disponible en el momento de la autorización.

Por ello, en aquellos procesos de valoración que correspondan al ámbito autonómico, resultaría adecuado considerar estas particularidades, dentro del marco regulatorio y competencial aplicable, evitando que las características propias de la generación de evidencia en enfermedades raras puedan traducirse en barreras adicionales para el acceso.

Asimismo, los tiempos de acceso observados a nivel nacional —**23 meses de media desde la obtención del Código Nacional hasta la financiación por el SNS para los medicamentos financiados durante 2025 y 22 meses para los financiados durante el primer cuatrimestre de 2026**— ponen de relieve la importancia de que los procedimientos y circuitos asistenciales que se desarrollen en el ámbito autonómico favorezcan una incorporación efectiva y homogénea de las innovaciones terapéuticas, evitando demoras adicionales una vez adoptadas las correspondientes decisiones de financiación en el Sistema Nacional de Salud.

Línea 3.3. Oncología de Precisión

AELMHU valora especialmente las actuaciones contempladas en materia de oncología de precisión, dado que el diagnóstico molecular resulta determinante para la identificación de determinados cánceres raros y subtipos tumorales definidos por alteraciones moleculares.

La disponibilidad de técnicas de secuenciación y perfilado molecular puede permitir una mejor caracterización del tumor y, en determinados casos, identificar alternativas terapéuticas dirigidas a perfiles moleculares concretos.

En este sentido, se considera conveniente avanzar hacia una **cobertura homogénea y equitativa de las herramientas de diagnóstico molecular y genómico en el conjunto de la Comunidad Autónoma**, estableciendo circuitos asistenciales que permitan el acceso a estas pruebas con independencia del área sanitaria de residencia.

Las características territoriales de Castilla-La Mancha hacen especialmente relevante evitar que la localización geográfica del paciente condicione el acceso al diagnóstico molecular y, como consecuencia, a las decisiones terapéuticas asociadas a este.

También sería conveniente favorecer la interoperabilidad de los sistemas de información y datos genómicos, dentro del marco normativo aplicable, con el fin de facilitar la continuidad asistencial, la generación de conocimiento y la investigación en tumores de baja incidencia.

3.3. Eje 4. Sistemas de información y evaluación

AELMHU valora positivamente el refuerzo del **Registro Poblacional de Tumores de Castilla-La Mancha** y de los sistemas de información previstos en el Plan.

En el caso de los cánceres raros, disponer de información específica resulta especialmente relevante, ya que el reducido número de casos hace que estos tumores puedan quedar escasamente representados cuando la información se presenta exclusivamente mediante indicadores agregados.

Por ello, se propone que el desarrollo del Registro permita **identificar y analizar de forma diferenciada los cánceres raros**, mediante sistemas de clasificación y codificación interoperables con los empleados en los ámbitos nacional y europeo y valorando, cuando resulte procedente, su correspondencia con sistemas como ORPHAcodes y con las clasificaciones utilizadas en las iniciativas europeas de vigilancia e investigación de los cánceres raros.

Esta información podría permitir conocer con mayor precisión su incidencia y distribución territorial, así como analizar los itinerarios asistenciales, el acceso a las distintas alternativas terapéuticas y, progresivamente, los resultados en salud de esta población.

La disponibilidad de datos específicos contribuiría asimismo a identificar posibles desigualdades territoriales y facilitaría la planificación de los recursos y la evaluación de las medidas que se adopten durante la vigencia del Plan.

3.4. Eje 5. Conocimiento

Línea 5.2. Investigación e Innovación

AELMHU comparte el objetivo del Plan de reforzar la participación de los centros del SESCAM en ensayos clínicos de cáncer y consolidar las estructuras regionales de investigación clínica.

Los datos del **Informe sobre Ensayos Clínicos para Enfermedades Raras en España 2025** muestran que **Castilla-La Mancha participó en 5 de los 216 ensayos clínicos para enfermedades raras autorizados en España durante 2025, el 2 % del total**. En el periodo **2020-2025, la región participó en un total de 46 ensayos clínicos para enfermedades raras**, situándose entre las comunidades autónomas con una participación inferior al 5 % del total.

A la vista de estos datos, AELMHU considera conveniente que las actuaciones previstas en esta línea presten una atención específica a la investigación clínica en cánceres raros y otros tumores de baja incidencia.

Entre otras medidas, podría favorecerse la identificación temprana de pacientes potencialmente candidatos a ensayos clínicos, reforzar la coordinación entre centros de la región y centros investigadores de referencia, facilitar los circuitos de derivación y promover modelos de investigación en red que permitan superar las limitaciones derivadas de la dispersión geográfica y del reducido número de pacientes.

Asimismo, AELMHU considera de interés fomentar la **colaboración entre el SESCAM, las estructuras de investigación de Castilla-La Mancha —incluido el IDISCAM y las unidades de investigación clínica correspondientes—, los profesionales sanitarios, las organizaciones de pacientes y la industria farmacéutica y biotecnológica**, dentro del marco normativo aplicable.

Esta colaboración puede contribuir al desarrollo de ensayos clínicos y otros proyectos de investigación, así como a la generación de evidencia en práctica clínica real en patologías oncológicas de baja incidencia, mediante registros y estudios observacionales que complementen la evidencia disponible.

Por sus características, los cánceres raros requieren con frecuencia enfoques colaborativos y multicéntricos. Favorecer la participación de Castilla-La Mancha en este tipo de redes contribuiría tanto a incrementar las oportunidades de acceso de los pacientes a la investigación clínica como a reforzar la capacidad científica y asistencial de los centros de la Comunidad Autónoma.

4. CONSIDERACIÓN TRANSVERSAL: EQUIDAD EN LA ATENCIÓN A LAS PERSONAS CON CÁNCERES RAROS

La equidad constituye uno de los principios centrales del Plan y adquiere especial relevancia en el ámbito de los cánceres raros.

Solicitar incluir dentro del marco transversal autonómico la referencia “Estrategia regional de castilla la mancha de enfermedades raras” publicada en febrero 2026.[1]

Con el objetivo de contribuir al Eje 2. Atención oncológica integral y humanización, además de contribuir a los valores reflejados en el plan de equidad, atención integral, calidad, humanización e innovación

La baja incidencia de estas patologías puede asociarse a una mayor concentración del conocimiento experto y de la investigación en determinados centros, así como a una menor disponibilidad de evidencia y de alternativas terapéuticas. Estas circunstancias pueden generar necesidades específicas en materia de diagnóstico, derivación, investigación clínica y acceso a tratamientos.

Como muestran los datos expuestos anteriormente, la **oncología representa un ámbito especialmente relevante dentro de los medicamentos huérfanos y de la investigación clínica en enfermedades raras**. Asimismo, la menor participación observada de Castilla-La Mancha en ensayos clínicos para enfermedades raras, unida a las características territoriales de la Comunidad Autónoma, muestra la necesidad de prestar una atención específica a este colectivo.

Por ello, AELMHU propone que la perspectiva de los **cánceres raros se incorpore de forma transversal en la implementación, seguimiento y evaluación del Plan**, particularmente en las actuaciones relativas a oncología de precisión, organización asistencial, acceso a la innovación, sistemas de información e investigación clínica.

Esta consideración transversal permitiría que los indicadores generales del Plan se complementasen, cuando resulte pertinente, con información específica que permita conocer la situación de estos pacientes y valorar el impacto efectivo de las actuaciones previstas sobre la equidad en el acceso a la atención oncológica.

5. CONCLUSIÓN

AELMHU valora positivamente la elaboración del Plan contra el Cáncer de Castilla-La Mancha 2026-2030 y considera que la incorporación transversal de las particularidades de los cánceres raros contribuiría a reforzar una atención oncológica equitativa y adaptada a las necesidades específicas de estos pacientes.

AELMHU reitera su **disposición a colaborar con la Consejería de Sanidad de Castilla-La Mancha**, poniendo a su disposición su conocimiento sectorial y la información obtenida a través de sus informes periódicos sobre acceso a medicamentos huérfanos y ensayos clínicos en enfermedades raras, con el objetivo de contribuir al desarrollo e implementación de las actuaciones previstas en el Plan.

[1] estrategia_de_atencion_sanitaria_y_sociosanitaria_dirigida_a_personas_con_enfermedades_raras.pdf