

**La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos  
y Ultrahuérfanos crece con cuatro nuevas compañías agrupando ya a 20 empresas  
farmacéuticas y biotecnológicas presentes en España**

**AELMHU SE REFUERZA CON LA INCORPORACIÓN DE AMRYT  
PHARMA, AVEIXIS, GW PHARMACEUTICALS Y ULTRAGENYX**

- La asociación espera que este crecimiento sirva para reforzar la puesta en marcha de iniciativas de divulgación, debate y puesta en valor de los medicamentos huérfanos.
- **AMRYT Pharma, AveXis, GW Pharmaceuticals y Ultragenyx** son compañías farmacéuticas dedicadas al ámbito de la investigación y desarrollo de los medicamentos huérfanos para el beneficio de las personas afectadas con enfermedades minoritarias.
- Con estas 4 nuevas incorporaciones, **AELMHU** fortalece su representatividad al agrupar a **20 laboratorios** especializados en la investigación de terapias y medicamentos huérfanos para pacientes con enfermedades minoritarias en España.

*Madrid, 27 de julio de 2020.* Las compañías farmacéuticas **AMRYT Pharma, AveXis, GW Pharmaceuticals** y **Ultragenyx** han anunciado su incorporación a la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (**AELMHU**), aportando un nuevo impulso a una entidad que agrupa a las principales empresas farmacéuticas y biotecnológicas especializadas en este tipo de terapias y que comparten el compromiso de invertir en el desarrollo de nuevos tratamientos capaces de mejorar la situación de los pacientes que padecen enfermedades minoritarias.

**AMRYT Pharma** es una compañía biofarmacéutica comercializadora y desarrolladora de nuevos tratamientos innovadores, con especial enfoque en tres áreas terapéuticas: los síndromes Lipodistroficos, la Hipercolesterolemia Familiar Homocigota y la Epidermólisis Bullosa.

**AveXis** es una compañía farmacéutica enfocada en romper barreras y encontrar respuestas a preguntas difíciles, habiendo desarrollado una plataforma de terapia génica para el tratamiento de enfermedades genéticas raras neurodegenerativas y con riesgo vital, con el objetivo de mejorar la calidad de vida de los pacientes y sus familias.

La misión de **GW Pharmaceuticals** se centra en ayudar a los pacientes con afecciones graves y necesidades médicas no cubiertas, mediante el desarrollo y el suministro de medicamentos derivados del cannabis y rigurosamente probados.

Fundada en 2010, **Ultragenyx** es una compañía biofarmacéutica, comprometida con la innovación en el campo del tratamiento de enfermedades raras y ultra-raras, habiéndose especializado en enfermedades genéticas graves y debilitantes.

Con estas nuevas incorporaciones, **AELMHU** crece hasta alcanzar los 20 asociados, consolidando la representatividad de las compañías farmacéuticas y biotecnológicas presentes en España y dedicadas al ámbito de las enfermedades minoritarias, con medicamentos huérfanos o ultra-huérfanos (MMHH) en su porfolio. Los miembros de la asociación unen sus fuerzas en la defensa de una mejor y mayor accesibilidad a estos medicamentos, siempre con el objetivo de que las compañías que investigan y desarrollan los tratamientos específicos sigan aportando beneficio y calidad de vida a los pacientes.

La llegada de AMRYT Pharma, AveXis, GW Pharmaceuticals y Ultragenyx “supone un impulso añadido al trabajo de AELMHU que pretende difundir y hacer visibles las características especiales de las enfermedades poco frecuentes y ayudarnos a poner en valor los medicamentos huérfanos y ultra-huérfanos que comparten el objetivo de mejorar la situación de tantas personas que padecen estas patologías en España”, señala Capapey.

La asociación, en su búsqueda por acercar a la sociedad y a los actores implicados el conocimiento de estos medicamentos, ha desarrollado un [Boletín Informativo](#). En el último número publicado se recoge el análisis actual de los datos de acceso “que muestran que únicamente un 56% de los medicamentos huérfanos que han pedido su comercialización en España han sido autorizados en el país, es decir, 53 de 94. Queda un largo camino por recorrer”, concluye Capapey.

#### **Sobre AELMHU**

AELMHU es una asociación sin ánimo de lucro, que agrupa a empresas farmacéuticas y biotecnológicas con un claro compromiso por invertir en descubrir y desarrollar terapias innovadoras capaces de mejorar la situación de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultra-raras. La finalidad principal de AELMHU es aprovechar la capacidad individual de sus asociados en el desarrollo de fármacos innovadores para asegurar el acceso de los afectados a los tratamientos, con el objetivo de mejorar su salud y calidad de vida y servir de interlocutor ante la sociedad, comunidad científica e instituciones políticas y sanitarias en los temas relacionados con los medicamentos huérfanos y ultra-huérfanos.

Entre sus 20 miembros se encuentran Alexion Pharmaceuticals, Alnylam, AMRYT Pharma, AveXis, Biogen, Biomarin, Chiesi, CSL Behring, GW Pharmaceuticals, Intercept, Ipsen, Kyowa Kirin, PTC Therapeutics, Recordati Rare Diseases Spain, Takeda, Sanofi Genzyme, SOBI Swedish Orphan Biovitrum, Ultragenyx y Vertex.

#### **Para más información**

Elisabeth Rammos [er@lasker.es](mailto:er@lasker.es)  
Carolina Tranjan [ctg@lasker.es](mailto:ctg@lasker.es)

 **LASKER**  
Comunicación | Digital | Relaciones Institucionales  
T: +34 910 885 550