

CON MOTIVO DEL DÍA INTERNACIONAL DEL ENSAYO CLÍNICO

LA INVESTIGACIÓN EN ENFERMEDADES RARAS CRECE EN ESPAÑA A PESAR DE LA PANDEMIA

- **En 2020, nuestro país alcanzó un máximo histórico de ensayos clínicos en el ámbito de las Enfermedades Raras, con 194 estudios autorizados.**
- **A pesar de las restricciones impuestas a causa del Covid19, y de la especial vulnerabilidad de las personas con patologías minoritarias, la apuesta de la industria y los pacientes por la innovación en este campo creció un 5,5% en el último año.**
- **Según el nuevo informe de AELMHU, existen más de 6.000 enfermedades raras en el mundo y solo un 5% dispone de una herramienta diagnóstica o un tratamiento.**

Madrid, 20 de mayo de 2021.- Con motivo del Día Mundial del Ensayo Clínico, la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) presenta por primera vez su Informe Anual sobre Ensayos Clínicos en Enfermedades Raras en España.

Este estudio, que analiza los principales datos de ensayos clínicos autorizados en los últimos 5 años en nuestro país, revela que durante el año 2020 España alcanzó la cifra récord de 194 ensayos para la investigación de medicamentos dirigidos al diagnóstico y el tratamiento de patologías minoritarias, lo que evidencia el gran momento que vive la investigación farmacéutica en su apuesta por un ámbito tan complejo y sensible como es la atención a los pacientes con enfermedades raras (EE.RR.).

Así, de un total de 1.018 ensayos clínicos autorizados a lo largo de todo 2020 en nuestro país, y a pesar de los duros momentos sufridos a causa de la pandemia del Covid19, el 19,6% de los nuevos estudios se centraron en patologías minoritarias, lo que supone un incremento de más de un 5% en la apuesta por la innovación en un campo particularmente costoso donde “existe un número más reducido de pacientes, una mayor dispersión geográfica, y menor especialización en los centros sanitarios”, según detalla el informe.

De los 3.191 pacientes con patologías raras y ultrarraras que participaron en los ensayos destacaron, sobre todo, los del ámbito oncológico (32%), las enfermedades del sistema nervioso (11%), el sistema inmunitario (11%), hematológicas (8%) y las anomalías congénitas, hereditarias y neonatología (7%), entre muchas otras.

Asimismo, según los datos que arroja el Registro Español de Estudios Clínicos (REEC), dependiente de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), y que han sido analizados por AELMHU, la apuesta de la industria farmacéutica y tecnológica por la investigación en el campo de las EE.RR. crece, de forma sostenida, a lo largo de los últimos 5 años.

A pesar de tratarse de enfermedades con una baja o muy baja prevalencia entre la población general, 2 de cada 10 ensayos de investigación clínica autorizados en España en el periodo comprendido entre el 1 de enero de 2016 y el 31 de diciembre de 2020, se centraron en el estudio de las patologías más minoritarias, y contaron con la participación de más de 16.000 pacientes en áreas terapéuticas tan relevantes como el cáncer (36%), las patologías hematológicas (11%), las anomalías congénitas, hereditarias y neonatología (8%), los problemas del sistema inmunitario (8%), del sistema nervioso (8%) y el tracto respiratorio (5%), entre muchas otras.

Estos datos confirman la posición de liderazgo de España en investigación clínica a nivel internacional lo que, a juicio de AELMHU, tiene en la colaboración entre los investigadores, los profesionales sanitarios, los pacientes, la administración y las compañías farmacéuticas, su principal activo.

La investigación en enfermedades raras es una necesidad urgente ya que todavía hay muchos pacientes sin tratamientos específicos. Por eso, todos los avances en este campo suponen el incentivo definitivo para que la sociedad española siga apostando por transitar el camino de la innovación como la mejor forma de mejorar la salud y la calidad de vida de los 3 millones de españoles y sus familias, que sufren día a día una enfermedad rara.

Con informes como este, AELMHU quiere seguir mostrando su apoyo a todas las personas con EE.RR. en España, a través de más proyectos de difusión y concienciación, y manteniendo el compromiso inquebrantable de todos sus socios con la investigación y el desarrollo de nuevos tratamientos huérfanos y ultrahuérfanos, que aporten beneficios a un número mayor de pacientes en España.

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 salud y la calidad de vida de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultra-raras. AELMHU quiere servir de interlocutor ante la sociedad, comunidad científica e instituciones políticas y sanitarias en los temas relacionados con los medicamentos huérfanos y ultra-huérfanos.

Actualmente los asociados de AELMHU son Alexion Pharmaceuticals, Alnylam, AMRYT Pharma, Novartis Gene Therapies, Biogen, Biomarin, Chiesi, CSL Behring, GW Pharmaceuticals, Intercept, Ipsen, Kyowa Kirin, PTC Therapeutics, Recordati Rare Diseases Spain, Sanofi Genzyme, SOBI Swedish Orphan Biovitrum, Takeda, Ultragenyx y Vertex.

www.aelmhu.es

Para más información

Alma Ezcurra aea@lasker.es
T: +34 606 896 657



Comunicación | Digital | Relaciones Institucionales
T: +34 910 885 55

INFORME SOBRE ENSAYOS CLÍNICOS EN ENFERMEDADES RARAS EN ESPAÑA

Análisis de los datos sobre ensayos clínicos en el ámbito de las enfermedades raras autorizados en España en el período comprendido entre el 1 de enero de 2016 y el 31 de diciembre de 2020.

Datos obtenidos a través del Registro Español de Estudios Clínicos de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), analizados por la Asociación Española de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU).

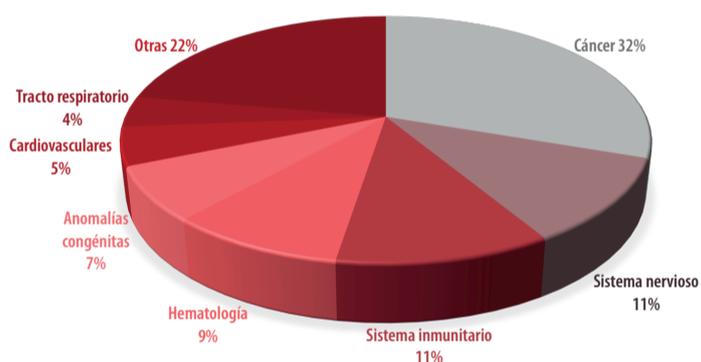


- Existen más de **6.000 Enfermedades Raras** (EE.RR.) diferentes en el mundo y solo un 5% dispone de herramienta diagnóstica o tratamiento.
- Los **ensayos clínicos** son mecanismos de investigación que se utilizan para determinar la seguridad y la eficacia de los medicamentos.
- En el ámbito de las EE.RR., resultan especialmente costosos porque existe un **número más reducido de pacientes, una mayor dispersión geográfica y menor especialización en los centros sanitarios**.
- La **pandemia** ha supuesto una **dificultad añadida** para la investigación, debido a las restricciones de movilidad y la especial vulnerabilidad de los pacientes con EE.RR.
- La investigación en este campo es una **necesidad urgente**.
- Cada vez existe un mayor compromiso por parte de los pacientes,** los investigadores, la industria y toda la sociedad para avanzar en el estudio y el tratamiento de las EE.RR.

ESPAÑA ALCANZÓ UN MÁXIMO HISTÓRICO DE ENSAYOS CLÍNICOS EN ENFERMEDADES RARAS EN EL AÑO 2020

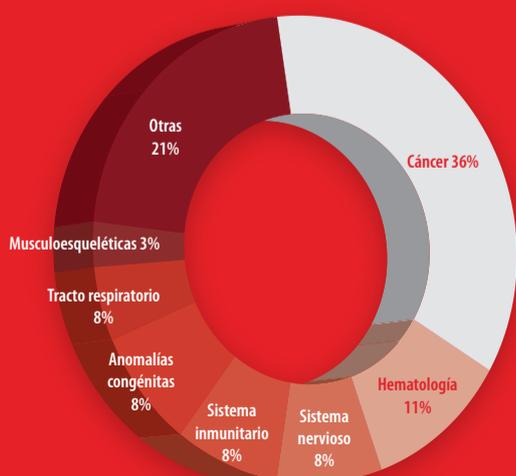
- En 2020 se autorizaron en España **1.018 ensayos clínicos** en los que participaron más de **80.000 pacientes**.
- Esto supone un **incremento del 23%** en el número de ensayos y del 87% en el número de pacientes con respecto a 2019.
- En el ámbito de la EE.RR. España alcanzó un máximo histórico de **194 ensayos** (5.5% más que en 2019), en los que participaron **3.191 pacientes**.

ENSAYOS CLÍNICOS EN EE.RR. POR ÁREA TERAPÉUTICA 2020



2 DE CADA 10 ENSAYOS CLÍNICOS REALIZADOS EN LOS ÚLTIMOS 5 AÑOS EN NUESTRO PAÍS, INVESTIGARON ENFERMEDADES MINORITARIAS

ENSAYOS CLÍNICOS EN EE.RR. POR ÁREA TERAPÉUTICA 2016-2020



En el periodo comprendido entre 2016 y 2020, se realizaron en España:

4.216 ensayos clínicos, en los que han participado 264.577 pacientes.

En el ámbito de las EE.RR. **827 ensayos, un 20% del total**, en los que han participado más de 16.253 pacientes, el 6% del total.