

DÍA MUNDIAL DEL ENSAYO CLÍNICO

Informe de AELMHU sobre Ensayos Clínicos en Enfermedades Raras en España

España alcanza un máximo histórico de Ensayos Clínicos en Enfermedades Raras, con 225 estudios autorizados

- Casi uno de cada cuatro Ensayos investiga las Enfermedades Raras lo que implica que el 23% de los nuevos estudios van dirigidos a patologías minoritarias, en los que participan más de 4.000 pacientes.
- La apuesta por la innovación en el campo de las enfermedades poco frecuentes volvió a crecer un 15% en el último año.
- La mayoría de las Comunidades Autónomas participaron en los Ensayos Clínicos de patologías raras, destacando Cataluña, la Comunidad de Madrid y Andalucía.

Madrid, 20 de mayo de 2022.- Actualmente, en el mundo existen más de 6.000 Enfermedades Raras (EE.RR.) y solo un 5% dispone de una herramienta diagnóstica o tratamiento. Por eso, hoy, en la celebración del Día Mundial del Ensayo Clínico, la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) ha presentado su Informe Anual sobre Ensayos Clínicos (EE.CC.) en EE.RR. en España.

Este estudio ha revelado que en 2021 se produjo un ligero descenso en el cómputo global de EE.CC. autorizados en nuestro país, pasando de un total de 1.027 realizados en 2020 a los 996 del pasado año, mientras que por segundo año consecutivo se ha alcanzado la cifra récord de **225 EE.CC. autorizados en investigación de EE.RR.** Esto supone que casi uno de cada cuatro Ensayos investiga este tipo de enfermedades. Dicho de otro modo, este dato que implica que el **23%** de los **nuevos** estudios se centran en patologías minoritarias.

Estos resultados evidencian el momento tan positivo por el que atraviesa la investigación farmacéutica en su apuesta por garantizar y mejorar la atención y calidad de vida de los pacientes con enfermedades poco frecuentes y su entorno.

Asimismo, en 2021 se ha producido un incremento del **15%** en los ensayos dedicados a la investigación de EE.RR. respecto al año anterior, implicando una apuesta por la innovación en un campo particularmente costoso.

Además, se batió otro máximo histórico en aquellos **pacientes con patologías raras y ultrarraras**, llegando a los 4.063 participantes, lo que implica un aumento de más de un 28% respecto a la fecha anterior. Entre los ámbitos de actuación, destacaron, sobre todo, el oncológico (38%), el hematológico (13%) con el mayor crecimiento, un 71%; el sistema inmunitario (11%), y las enfermedades del sistema nervioso (9%), entre muchas otras.

En cuanto al ámbito geográfico, la mayoría de las Comunidades Autónomas (CC.AA.) contaron con participación en los **225 ensayos clínicos**. Entre ellas, destaca Cataluña que participó en un total de 187, seguida de la Comunidad de Madrid, con 173 ensayos, y Andalucía, con 88 ensayos.

En paralelo, los hospitales líderes en investigación clínica en EE.RR. fueron el Hospital Universitario Vall D'Hebron (Cataluña) con 115 ensayos, el Hospital Universitario 12 de Octubre (Comunidad de Madrid) con 74 ensayos y el Hospital Universitario y Politécnico La Fe (Comunidad Valenciana) con 54 ensayos.

En relación con la participación de los **laboratorios que forman parte de AELMHU** en los EE.CC. de EE.RR., se ha contabilizado un **incremento exponencial del 21%**, superando, así, la colaboración en años anteriores. Por su parte, dichas pruebas han contado con la participación de 308 pacientes, un **7% del cómputo global de EE.RR.**, que marcó el segundo hito histórico, solamente superado por el año 2020, con 386 participantes.

De igual modo, hasta trece CC.AA., con la excepción de Asturias, Cantabria, Extremadura y La Rioja, han participado en los EE.CC. de enfermedades minoritarias impulsados por los asociados de AELMHU. Lideraron la investigación la **Comunidad de Madrid**, que participó en el 72% del total de los EE.CC., y **Cataluña** con un 69%.

Por todo ello, y como arrojan los datos del 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. ha crecido, de forma notable, durante el año 2021.

Estos datos confirman la posición de liderazgo de España en investigación clínica a nivel internacional gracias a, según AELMHU, la colaboración y diálogo entre los investigadores, los profesionales sanitarios, las sociedades científicas, los pacientes, la Administración y las compañías farmacéuticas.

Por eso, todos los avances en este ámbito suponen el incentivo definitivo para que la sociedad española siga apostando por transitar el camino de la innovación como

la principal manera de mejorar la salud y la calidad de vida de los 3 millones de españoles, y sus familias, que padecen una enfermedad poco frecuente.

Con informes como este, AELMHU quiere reiterar su apoyo a todas las personas con EE.RR. en España con el objetivo de fomentar más proyectos de difusión y concienciación y mantener el compromiso inquebrantable de todos sus asociados con la investigación y el desarrollo de nuevos tratamientos, huérfanos y ultrahuérfanos, que aporten beneficios a un mayor número de pacientes en nuestro país.

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 ultrararas. AELMHU quiere servir de interlocutor ante la sociedad, la comunidad científica y las instituciones políticas y sanitarias en los temas relacionados con los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos.

Actualmente los asociados de AELMHU son Alexion AstraZeneca Rare Disease, Alnylam, AMRYT Pharma, Biomarín, Chiesi, CSL Behring, Ferrer, GenSight Biologics, Insméd, Ipsen, Jazz Pharmaceuticals, Kyowa Kirin, Novartis, PTC Therapeutics, Recordati Rare Diseases, Sanofi, SOBI, Takeda, UCB, Ultragenyx y Vertex Pharmaceuticals.