

Memoria
ANUAL
2021
aeImhu



Índice

01 CARTA DE LA PRESIDENTA

02 ÓRGANOS DE GOBIERNO

Cambios en los órganos de Gobierno
Reuniones
Nuevos asociados
Estatutos

03 PROYECTOS

04 GRUPOS DE TRABAJO

05 RELACIONES INSTITUCIONALES

06 EVENTOS EXTERNOS

07 COMUNICACIÓN

08 X ANIVERSARIO AELMHU:
PREMIOS HONORÍFICOS 2011-2021

01 Carta de la Presidenta

2021 ha sido, para muchos españoles, el año del reencuentro. Reencuentro, paulatino, entre familias, amigos y compañeros. Reencuentro en nuestras tareas, en nuestras agendas, planes y trabajos. Reencuentro, en definitiva, en los proyectos que son compartidos, y que se habían visto paralizados durante las fases más duras de la pandemia debido a las duras exigencias de salud pública que han modificado nuestra forma de vivir, trabajar y desarrollarnos.

Para AELMHU, el año 2021 ha sido, además, el año en el que por fin se han cristalizado muchos de los proyectos que, con enorme ilusión, fraguamos en los últimos compases de 2020. La creación de los grupos de trabajo, la búsqueda de nuevos canales y formatos de comunicación con las instituciones y la sociedad, el impulso a las nuevas ideas y propuestas para el diálogo, la renovación de nuestra imagen como Asociación y nuestra forma de proyectarnos al mundo, entre muchos otros, se han hecho realidad en un año que ha sido particularmente intenso y fructífero.

Como presidenta de AELMHU, y en nombre de las veinte empresas farmacéuticas y biotecnológicas que integran

nuestra Asociación, quiero felicitar a todos los que han hecho posible cada uno de los pasos que hemos dado este año:

A aquellos que sufren una enfermedad rara y quieren saber más sobre los tratamientos que podrían cambiar sus vidas.

A tantos y tantos investigadores, laboratorios, empresas y emprendedores; valientes que han tomado la decisión de descubrir un tratamiento y cambiar el mundo y buscan en nuestra asociación el calor y la compañía de quien defiende un noble objetivo común.

A los decisores públicos y las administraciones, las asociaciones de pacientes y las sociedades científicas, que se han acercado a AELMHU para encontrar la verdad de los datos, que nos han invitado a participar en sus encuentros, convencidos de que esa es la mejor forma de transformar las cosas y mejorar la vida de los demás.

A los profesionales que cada día se enfrentan, cara a cara, con la enfermedad y han decidido ser parte de la solución, participando en nuestros trabajos para conocer los últimos procesos y entender las inquietudes de quien los descubre y desarrolla.

Y, por supuesto, a nuestros asociados, quienes han dado contenido y alma a todos estos proyectos, y que cada día participan de una manera más activa en el crecimiento de nuestra asociación.

Esta memoria es una extraordinaria muestra de lo que somos y de lo que, juntos, hemos sido y seremos capaces de hacer, formando parte de la gran familia de AELMHU.

De hecho, así quedó reflejado con el grato y magnífico evento que puso un broche de oro a nuestro año 2021: la gala de entrega de los premios del X Aniversario de AELMHU. Un acto cuya organización supuso meses de gran esfuerzo e incansable trabajo de recopilación de documentación; de búsqueda de localizaciones; de estudio y análisis de datos; de nuevos diseños, con un logotipo específico, por ejemplo; y una organización excelente que dio como resultado una agradable jornada de celebración a la que asistieron figuras muy relevantes y significativas del sector farmacéutico y sanitario, así como de asociaciones de pacientes o representantes políticos, entre otros muchos.

De este modo, con estos galardones la Asociación quiso contribuir, tras haber cumplido una década desde su fundación, a un mejor conocimiento de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos, así como a una mayor difusión de la problemática de las personas afectadas, del reconocimiento de sus patologías, de sus circunstancias especiales y del valor terapéutico y social de los medicamentos huérfanos.

En definitiva, 2021 ha sido un año magnífico para AELMHU y nuestro objetivo es continuar en esa senda de avance y superación, enfocados en mejorar la situación de los pacientes con enfermedades raras en España. Porque, como bien dijo la ex ministra de Sanidad y vicepresidenta segunda del Congreso en sus palabras de clausura de ese acto, “tenemos el deber de demostrar juntos un liderazgo colectivo. Merece la pena”.

Por los pacientes, por todos. Desde AELMHU, seguimos.

María José Sánchez Losada
Presidenta de AELMHU



02 Órganos de Gobierno

JUNTA DIRECTIVA

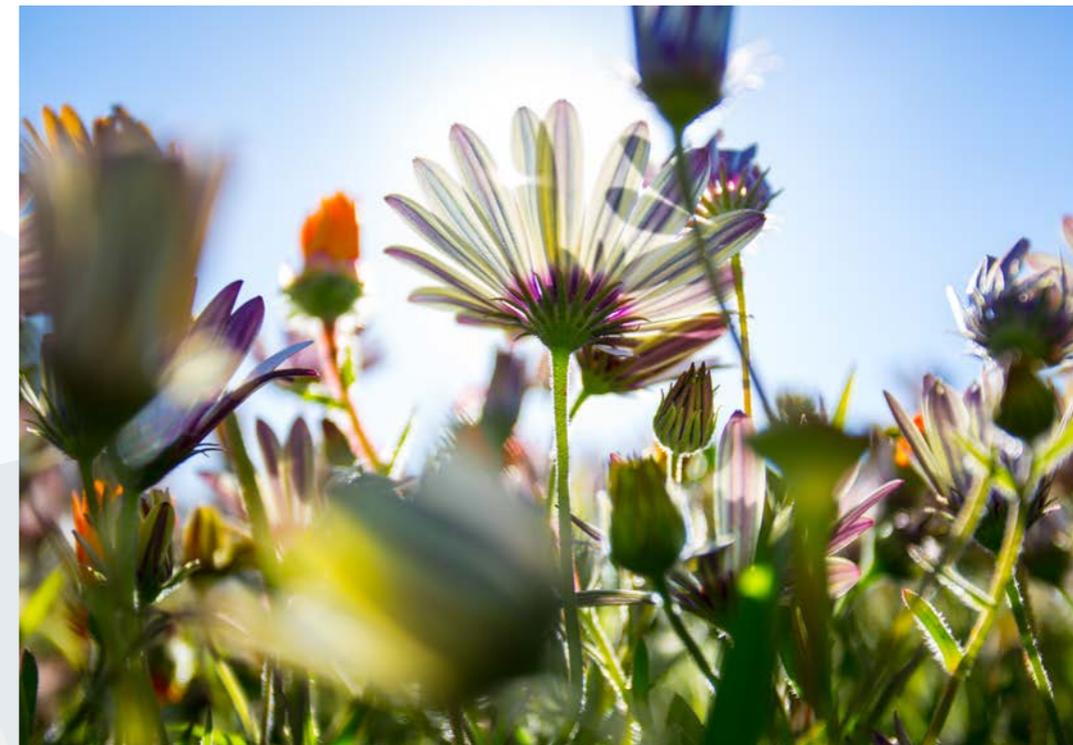
En el mes de abril de 2021 se produjo un cambio en la presidencia de AELMHU. **María José Sánchez Losada, directora general en España y Portugal de CSL Behring, asumió la presidencia de la Asociación, sustituyendo así a Jorge Capapey, director general de Alnylam en España.**

Por su parte, Jorge Capapey, pasó a ocupar una de las tres vicepresidencias de AELMHU, junto a Leticia Beleta, directora general de Alexion en España y Portugal, y David Moreno, director general de PTC Therapeutics en España. Este último, además, ejerce como Secretario.

“CON ESTE CAMBIO, LA ORGANIZACIÓN LOGRÓ ASEGURAR LA CONTINUIDAD EN EL PROYECTO INICIADO EN 2020 Y QUE TIENE COMO MISIÓN CONTRIBUIR A MEJORAR LA SITUACIÓN DE LAS PERSONAS Y FAMILIAS AFECTADAS POR ENFERMEDADES RARAS O POCO FRECUENTES”

Sin duda, una dirección compuesta por profesionales con una dilatada trayectoria en la industria farmacéutica, especializados en el sector de los MM.HH., y que representan a empresas innovadoras y de vanguardia que apuestan, de forma clara y contundente, por el desarrollo de la investigación y los tratamientos para pacientes con enfermedades poco frecuentes, en aras de mejorar su calidad de vida y bienestar.

Con este cambio, la organización logró asegurar la continuidad en el proyecto iniciado en 2020 y que tiene como misión **contribuir a mejorar la situación de las personas y familias afectadas por enfermedades raras o poco frecuentes**, impulsando el conocimiento de sus patologías y el reconocimiento del valor terapéutico y social de los medicamentos huérfanos.



CAMBIOS EN LOS ÓRGANOS DE GOBIERNO

Durante el 2021 Jorge Capapey pasó a ser vicepresidente y M^a José Sánchez Losada presidenta. El cambio fue aprobado por la Asamblea el 29 de abril de 2021.



**Jorge
Capapey**



**M^a José
Sánchez
Losada**

ACTUALMENTE, LAS PERSONAS QUE FORMAN
LA JUNTA DIRECTIVA SON:



**M^a José Sánchez
Losada**

PRESIDENTA



**Jorge
Capapey**

VICEPRESIDENTE



**David
Moreno**

VICEPRESIDENTE
Y
SECRETARIO



**Leticia
Beleta**

VICEPRESIDENTA

REUNIONES DEL ÓRGANO DE GOBIERNO

FECHA	TIPO REUNIÓN	CONVOCATORIA	FORMATO REUNIÓN
11 de marzo de 2021	Actualización trabajo	Reunión informativa para actualizar todos los trabajos, reuniones y estado de los proyectos	On line
29 de abril de 2021	1ª Asamblea 2021	Aprobación cuentas, cambio junta y estatutos	On line
17 de junio de 2021	Actualización trabajo	Reunión informativa para actualizar todos los trabajos, reuniones y estado de los proyectos	On line
23 de septiembre de 2021	Actualización trabajo	Reunión informativa para actualizar todos los trabajos, reuniones y estado de los proyectos	On line
16 de noviembre de 2021	2º Asamblea	Revisión plan estratégico	Mixta
21 de diciembre de 2021	3ª Asamblea	Aprobación cambios Estatutos	On line

NUEVOS ASOCIADOS

Es el órgano supremo de gobierno de AELMHU, donde se integran veinte asociados con derecho propio y cuya representatividad es absolutamente igualitaria.

En este sentido, y pese a haber sido un año complicado debido a la pandemia, **AELMHU ha seguido creciendo gracias a la incorporación de la compañía farmacéutica Insmmed.**

De origen estadounidense y con sede central en Bridgewater, Nueva Jersey, Insmmed está especializada en enfermedades inflamatorias por neutrófilos y trastornos pulmonares raros, y cuenta más de seiscientos empleados repartidos por todas sus oficinas, incluido en Europa y Japón.

De esta forma, la Asociación consolida su compromiso con el refuerzo y la puesta en marcha de iniciativas, tanto públicas como privadas, que ayudan a la divulgación, debate e impulso de los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.), sobre todo, en España.

“LA ASOCIACIÓN CONSOLIDA SU COMPROMISO CON EL REFUERZO Y LA PUESTA EN MARCHA DE INICIATIVAS, TANTO PÚBLICAS COMO PRIVADAS, QUE AYUDAN A LA DIVULGACIÓN, DEBATE E IMPULSO DE LOS MM.HH.”



ESTATUTOS

En aras de impulsar y mejorar los modelos de gestión de AELMHU, durante el año 2021 se modificaron **dos veces los estatutos**. Estos cambios se inscribieron en el Registro Nacional de Asociaciones del Ministerio del Interior. Asimismo, los estatutos se publicaron en la web de la Asociación en la sección [Transparencia](#).



aELmhu
asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

ESTATUTOS

CAPITULO I. DENOMINACIÓN, DOMICILIO, ÁMBITO, FINES Y ACTIVIDADES

Art. 1º Denominación

Con la denominación de Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) se constituye una ASOCIACIÓN que, de acuerdo con lo dispuesto en la Ley Orgánica 1/2002, de 22 de marzo, reguladora de las Asociaciones, y al amparo de lo dispuesto en el artículo 22 de la Constitución, consecuencia carece de ánimo de lucro.

Art. 2º Personalidad Jurídica

La Asociación tiene personalidad jurídica propia y capacidad plena para administrar y disponer de sus bienes y cumplir los fines que se proponen.

Art. 3º Domicilio y ámbito de actuación

La Asociación establece su domicilio social en Barcelona, Cataluña, España, 2ª, código postal 08021.

La Asociación realizará principalmente sus actividades en el territorio del Estado español.

03 Proyectos

INFORMES DE ACCESO

A lo largo del 2021, AELMHU ha publicado **tres informes de acceso** a los medicamentos huérfanos en España, uno anual y dos cuatrimestrales.

Desde su creación, y con el objetivo de mejorar y agilizar la disponibilidad de la innovación farmacéutica para todos los pacientes con EE.RR. en España, la Asociación ha pretendido, a través de estos informes, **convertirse en un referente en información y datos de interés** acerca de la situación de los MM.HH. en nuestro país.

Los informes son documentos prácticos y útiles que ofrecen un análisis comparativo del estado de los productos con nombre comercial y designación huérfana positiva por parte de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA), por sus siglas en inglés), los que han conseguido autorización comercial, los productos que han solicitado Código Nacional (CN) y los que están actualmente financiados por el SNS.

REFERENTE EN INFORMACIÓN Y DATOS DE INTERÉS ACERCA DE LA SITUACIÓN DE LOS MM.HH. EN NUESTRO PAÍS.

OFRECE UN ANÁLISIS COMPARATIVO DEL ESTADO DE LOS PRODUCTOS CON NOMBRE COMERCIAL Y DESIGNACIÓN HUÉRFANA POSITIVA POR PARTE DE LA AGENCIA EUROPEA DE MEDICAMENTOS

Informes de acceso

SE DESCRIBE LA SITUACIÓN EN ESPAÑA EN COMPARACIÓN CON UE, ASÍ COMO LOS TIEMPOS DE APROBACIÓN Y FINANCIACIÓN EN NUESTRO PAÍS.

A través de este análisis, se describe la situación en España en comparación con la Unión Europea (UE), así como los tiempos de aprobación y financiación en nuestro país.

En este sentido, en 2021 el informe ha evolucionado significativamente **incluyendo novedades sobre la información detallada** sobre la variación de los indicadores, tanto a nivel europeo como nacional y las condiciones especiales de autorización de la EMA, que comprenden los medicamentos aprobados bajo circunstancias excepcionales, aprobación condicional, evaluación acelerada o que cuentan con seguimiento adicional.

Además, se analizan los criterios y las condiciones de financiación de los medicamentos huérfanos que han obtenido precio y reembolso durante cada cuatrimestre en base a la información publicada en los acuerdos de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos (CIPM). Por otro lado, cabe destacar también que:

01

SE RENOVÓ EL ESTILO Y FORMATO DEL INFORME, CREANDO ADEMÁS UNA INFOGRAFÍA MÁS VISUAL, CON UN ESTILO MÁS MODERNO Y FRESCO, Y CON UN CONTENIDO ESPECÍFICO, EN LENGUAJE MÁS COLOQUIAL Y CERCANO. TAMBIÉN DISPONIBLE EN INGLÉS.

02

AELMHU HA AMPLIADO EN 2021 EL PÚBLICO INSTITUCIONAL OBJETIVO AL QUE DIRIGÍA SUS INFORMES Y DATOS, ESTRECHANDO EL CONTACTO FLUIDO CON INSTITUCIONES EN LOS TRES NIVELES DE LA ADMINISTRACIÓN, EL PARLAMENTO Y, TAMBIÉN, EN LAS INSTITUCIONES EUROPEAS.

03

ADEMÁS, LA ASOCIACIÓN EXTENDIÓ SU BASE DE DATOS, ACTUALIZANDO Y SEGMENTANDO SU ACERVO DE STAKEHOLDERS EN LOS ÁMBITOS POLÍTICO, ECONÓMICO, SANITARIO, CIENTÍFICO, PROFESIONAL, LA PRENSA Y LAS ASOCIACIONES DE PACIENTES.

04

CON ELLO, SE DIFERENCIARON LOS MENSAJES EN FUNCIÓN DEL TIPO DE PÚBLICO Y LOS CONTENIDOS Y SE INTENSIFICÓ NUESTRA RELACIÓN CON LOS MEDIOS DE COMUNICACIÓN Y NUESTRA PRESENCIA EN RR.SS.

05

TAMBIÉN SE REDEFINIERON LOS CONTENIDOS DE NUESTROS INFORMES Y LA IMAGEN DE SU PRESENTACIÓN PARA HACER DE LA INFORMACIÓN SOBRE EL ACCESO UN PRODUCTO MÁS VISUAL Y COMPENSIBLE PARA TODOS LOS PÚBLICOS.

06

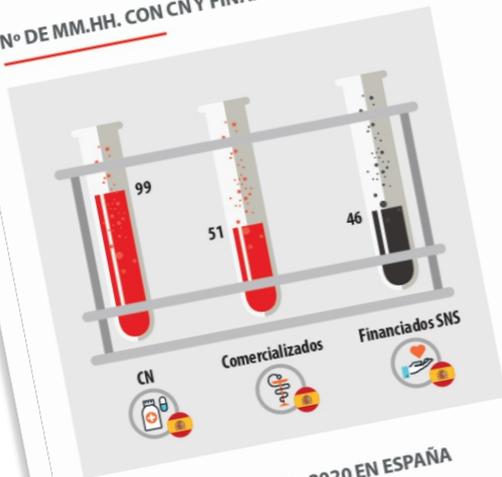
POR PRIMERA VEZ, AELMHU ELABORA UN RESUMEN EJECUTIVO DE SU INFORME ANUAL DE ACCESO QUE DESARROLLA UN RELATO INNOVADOR PARA GENERAR UNA MAYOR DIFUSIÓN.

4. EL ACCESO A LOS MM.HH. EN NUESTRO PAÍS

Según los datos del informe de Análisis de Acceso 2020, la tendencia al alza que refleja la UE contrasta con los datos de acceso en España, que presentan un descenso considerable sobre todo en la financiación de nuevos tratamientos.

Como muestra el gráfico que se presenta a continuación, **sólo 46 medicamentos de los 99 que llegaron a nuestro país el año pasado han sido financiados por el SNS.**

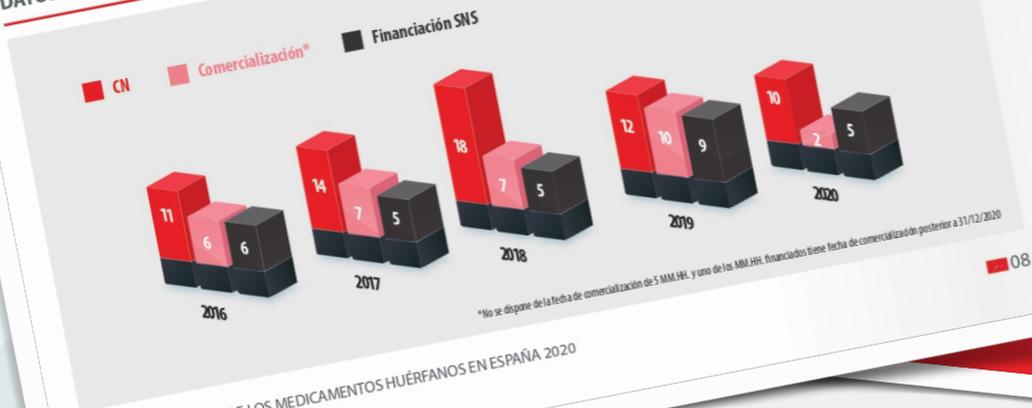
Nº DE MM.HH. CON CN Y FINANCIACIÓN APROBADA POR EL SNS EN EL AÑO 2020



En total, el pasado año **sólo se financiaron en España 5 nuevos medicamentos huérfanos**, lo que supone 4 productos menos que en 2019, **una disminución de un 45% en un sólo año.**

Esta realidad podría alejar la disponibilidad de las innovaciones farmacéuticas para los pacientes españoles con enfermedades raras respecto a otros países de nuestro entorno.

DATOS DE ACCESO 2016-2020 EN ESPAÑA



INFORME DE ACCESO DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN ESPAÑA 2020

RESUMEN EJECUTIVO INFORME DE ACCESO DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN ESPAÑA 2020

DE ACCESO

raras es una necesidad urgente ya que todavía hay muchos o específico para su enfermedad. Aunque son bastantes las apostado por invertir y desarrollar fármacos destinados al minoritarias, **el acceso de los pacientes españoles a los ado por importantes barreras.**

AELMHU 2020, una de las barreras más importantes es, sin esta la financiación, que con el transcurso de los años es cada **en nuestro país 46 MM.HH. financiados y 53 MM.HH.**

dos, si bien el informe identifica que a lo largo de los años grar la financiación pública de un medicamento huérfano de duración de media (12,1 meses y 13,9 meses, **2020 el promedio de tiempo en nuestro país ha los 33,1 meses de media.**

almente **lograron financiación pública en 2020, 3 de** para obtener una decisión de precio y reembolso.

20

2019

2020

3 MM.HH. financiados SNS

9 MESES promedio

6 MESES mediana

5 MM.HH. financiados SNS

33,1 MESES promedio

42,6 MESES mediana

09

LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN ESPAÑA INFORME DE ACCESO PRIMER CUATRIMESTRE 2021

aelmhu
asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

Situación del acceso de los medicamentos huérfanos (MM.HH.) con nombre comercial, que tienen vigente la designación huérfana a fecha 30 de abril de 2021

MM.HH. EN LA UE Y ESPAÑA

168

Productos con nombre comercial y designación huérfana positiva

121

MM.HH. con autorización de comercialización

105

Tienen Código Nacional en España (87%)

47

Están financiados por el SNS (39%)

PRIMER CUATRIMESTRE

5

Nuevas designaciones huérfanas en la UE

7

MM.HH. han obtenido Código Nacional en España

6

Nuevas autorizaciones comerciales

2

MM.HH. firmados

MM.HH. FINANCIADOS EN ESPAÑA

43%

40%

2019

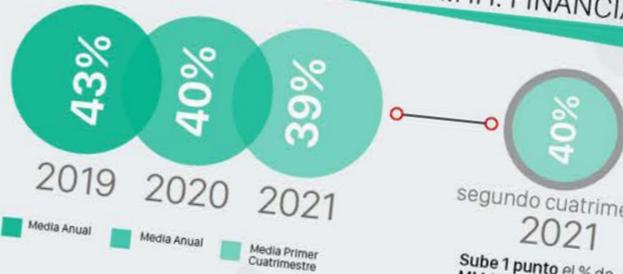
2020

Media Anual

Media cuatrimestral

MM.HH. FINANCIADOS EN ESPAÑA

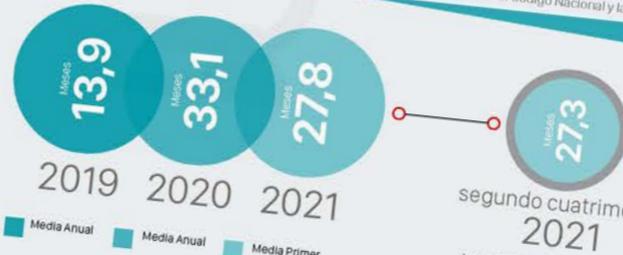
% DE MM.HH. FINANCIADOS



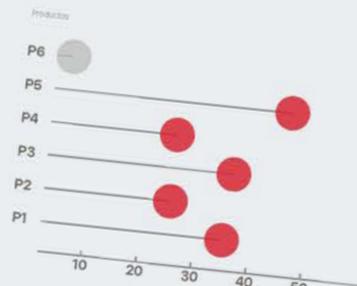
Sube 1 punto el % de MM.HH. financiados en España con respecto al primer cuatrimestre de 2021

TIEMPO MEDIO DE ESPERA PARA LA FINANCIACIÓN

Meses transcurridos entre el Código Nacional y la financiación



La espera media disminuye un 1,8% con respecto al primer cuatrimestre de 2021

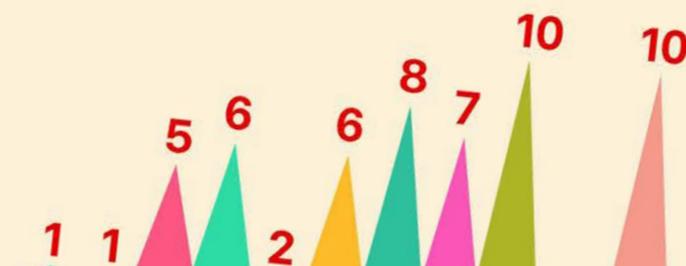


5 de los 6 MM.HH. financiados en este segundo cuatrimestre de 2021 han tardado 2 años o más en obtener precio y reembolso

MM.HH. SIN FINANCIAR EN ESPAÑA

En la actualidad, 56 MM.HH. están esperando financiación

Nº DE MM.HH. SIN FINANCIAR ENTRE 2011 Y 2021



EN ESPAÑA **aelmhu**
asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos



- Entre 2019 y 2020:
- ✓ Cae un 6% las solicitudes de CN
 - ✓ Disminuye un 7% las autorizaciones de comercialización nacionales
 - ✓ Baja un 4% el número de nuevos MM.HH. financiados por el SNS
- En 2020 se financiaron en España 5 nuevos MM.HH.:
- ✓ Un 45% menos que en 2019
 - ⚠ 6 de cada 10 MM.HH. autorizados en Europa NO logran financiación pública en España



INFORME DE ENSAYOS CLÍNICOS EN ENFERMEDADES RARAS

Por otro lado, con motivo del Día Mundial del Ensayo Clínico, **AELMHU publicó un nuevo informe sobre los ensayos clínicos que se han puesto en marcha en nuestro país, poniendo el foco en aquellos que se han autorizado para enfermedades raras**, basándose en fuentes públicas y los datos que se recogen en el Registro Español de Estudios Clínicos de la AEMPS.

El objetivo de este trabajo, que se realizará con carácter anual, es dar a conocer la investigación llevada a cabo en España, desde enero de 2016 a diciembre de 2020, en el área de las EE.RR. y poner en valor los esfuerzos que realizan los laboratorios en I+D+i. En este caso, de nuevo, AELMHU elaboró y difundió una nota de prensa y una infografía al respecto y creó nuevo contenido digital, instaurando una sección nueva en la página web.



INFORME SOBRE ENSAYOS CLÍNICOS EN ENFERMEDADES RARAS EN ESPAÑA



Existen más de **6.000 Enfermedades Raras** (EE.RR.) diferentes en el mundo y solo un 5% dispone de herramienta diagnóstica o tratamiento.

son mecanismos de investigación que se utilizan para determinar la de los medicamentos.

R., resultan especialmente costosos porque existe un **número más**, una **mayor dispersión geográfica y menor especialización** os.

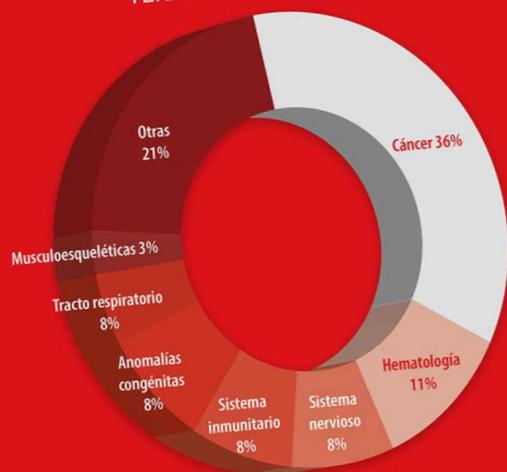
o una **dificultad añadida** para la investigación, debido a las y la especial vulnerabilidad de los pacientes con EE.RR.

po es una **necesidad urgente**.

compromiso por parte de los pacientes, los investigadores, la para avanzar en el estudio y el tratamiento de la EE.RR.

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**.



aelmhu.es



twitter.com/aelmhu



linkedin.com/company/aelmhu



Informe sobre ensayos clínicos en enfermedades raras en España

Incremento del 25% 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**.



Informe sobre ensayos clínicos en enfermedades raras en España



aelmhu.es



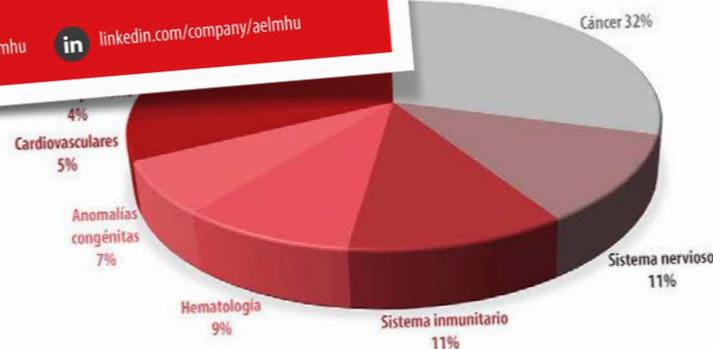
twitter.com/aelmhu



linkedin.com/company/aelmhu

ENSAYOS CLÍNICOS

ENSAYOS CLÍNICOS EN EE.RR. POR ÁREA TERAPÉUTICA 2020



ENCUENTROS AELMHU

A lo largo de 2021, desde la Asociación se han organizado un total de tres encuentros, de manera digital, entre representantes relevantes del sector sanitario y biotecnológico y nuestros asociados.

El objetivo es celebrar estos eventos con periodicidad para ofrecer un contexto de diálogo, compartir conocimientos e intercambiar opiniones sobre un área o tema específico relevante para nuestros asociados.

Durante el año 2021 se realizaron encuentros con:

- **César Hernández**, jefe del Departamento de Medicamentos de Uso Humano de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS).
- **Jordi Faus**, abogado especialista en derecho farmacéutico y asuntos legales propios del sector de “life sciences”.
- **Elena Casaus**, jefa de División de la Unidad responsable de Terapias Avanzadas en la Consejería de Sanidad de la Comunidad de Madrid.



04 Grupos de Trabajo

En el año 2020, AELMHU creó cinco grupos de trabajo para dinamizar la Asociación e involucrar a los asociados en los proyectos asociativos. Actualmente, están involucradas más de más de 35 personas.

El objetivo de estos grupos es actualizar los mensajes y el posicionamiento de la Asociación en función de los desarrollos políticos e institucionales que se vayan produciendo.

A lo largo del año 2021, los grupos de trabajo han dado impulso y nuevos contenidos a la trayectoria de AELMHU con más de 15 reuniones de las que han nacido iniciativas claves para la asociación.

“EN EL AÑO 2020, AELMHU CREÓ CINCO GRUPOS DE TRABAJO PARA DINAMIZAR LA ASOCIACIÓN E INVOLUCRAR A LOS MIEMBROS EN LOS PROYECTOS ASOCIATIVOS. ACTUALMENTE, ESTÁN INVOLUCRADAS MÁS DE 35 PERSONAS”

Durante el año, los grupos han trabajado de forma individual para poder abordar temas o problemáticas concretas:

- Consultas públicas.
- Contenidos para las asociaciones de pacientes.
- Documentos de divulgación, prestaciones en eventos.

Además, han tenido la oportunidad de trabajar conjuntamente para, por ejemplo, **evaluar la situación de los medicamentos huérfanos en la UE, el diseño y elección de las categorías**, candidaturas de los premios AELMHU 2021 por el X Aniversario de la Asociación o la elaboración de un documento de propuestas para mejorar el acceso de los medicamentos huérfanos en España.

Un documento que recoge iniciativas consensuadas por los asociados para entablar un diálogo constructivo con el Ministerio de Sanidad, y que se presentó a la Directora General de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia, en el primer cuatrimestre del año 2021.

En relación al documento de propuestas destaca la propuesta presentada para conseguir una mayor certeza, agilidad y transparencia en los procedimientos, basándola en tres grandes ejes:

01

FIJACIÓN DE PRECIOS
(PREDICTIBILIDAD,
INTERCAMBIO DE
INFORMACIÓN Y
FINANCIACIÓN LIGADA A
RESULTADOS).

02

IPTs (DIGITALIZACIÓN,
MAYOR PARTICIPACIÓN
DE LA INDUSTRIA Y
TRANSPARENCIA).

03

ACTUALIZACIÓN DE LA
ESTRATEGIA DE EE. RR.
(INCLUSIÓN DE LA
INDUSTRIA EN EL COMITÉ
TÉCNICO DE
EVALUACIÓN).

El objetivo de las propuestas es lograr un entorno en el que las compañías que investigan y desarrollan los tratamientos específicos para las personas con EE.RR. puedan seguir aportando beneficio y calidad de vida a los pacientes, manteniendo nuestro compromiso con la I+D+i y con la introducción de medicamentos en un mercado que ha sido, es y queremos que siga siendo referencia de la innovación sanitaria en el mundo, como es el mercado español.

05 Relaciones Institucionales

En AELMHU somos conscientes de la importancia de estar al tanto de la situación política del país, así como de conocer todos los desarrollos socioeconómicos y regulatorios que nos afectan, particularmente en el ámbito sanitario.

Desde nuestra Asociación, estamos convencidos de que la mejora en el acceso a la innovación en un campo tan complejo y específico como son las EE.RR. exige un esfuerzo compartido en el que todos -industria, pacientes, profesionales e instituciones- debemos contribuir con nuestras aportaciones y trabajo.

En este sentido, a lo largo de todo 2021, y superados los peores momentos de la pandemia, **AELMHU ha apostado por desarrollar y reforzar las relaciones con todos los agentes implicados en ese gran objetivo**, retomando con impulso renovado nuestra agenda institucional, así como la **interlocución con nuevos actores políticos en otros ámbitos y con terceras partes, a fin de ampliar nuestra presencia en la toma de decisiones**, presentándonos como un agente representativo, relevante y fiable.

Entre las principales acciones desarrolladas en este campo, destacan:

APORTACIONES A LA CONSULTA PÚBLICA PREVIA SOBRE EL PROYECTO DE REAL DECRETO POR EL QUE SE REGULA LA DISPONIBILIDAD DE MEDICAMENTOS EN SITUACIONES ESPECIALES

A principios del mes de enero la asociación envió a la AEMPS una serie de aportaciones sobre el proyecto del RD sobre medicamentos en situaciones especiales, que previamente se habían trabajado y discutido con los grupos de trabajo en diciembre de 2020.



Para contribuir a materializar el impulso que este Ejecutivo quiere dar a las enfermedades raras, conforme al citado compromiso en el acuerdo de Gobierno y en las prioridades establecidas en materia de Sanidad para esta legislatura, en la revisión que se haga del Real Decreto 1015/2009 desde AELMHU recomendamos:

01

Que se mantenga el espíritu de las siguientes normas, algunas de ellas sobre las que se desarrolló el Real Decreto:

- Real Decreto Legislativo 1/2015, de 24 de julio, por el que se aprueba el texto refundido de la Ley de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios
- El Reglamento 726/2004 que garantiza que todos los ciudadanos europeos tienen derecho al acceso por igual una vez el medicamento recibe la autorización por parte de la EMA.
- El Reglamento CE 141/2000 sobre medicamentos huérfanos.
- El artículo 35 de la Carta de los Derechos Fundamentales de la UE.

02

Que las **diferenciaciones y clarificaciones** conforme a los supuestos establecidos en la consulta previa se hagan para **beneficiar a los pacientes** y no supongan un paso atrás, evitando que se les niegue acceso a tratamientos que pudieran estar disponibles en otros Estados miembro de la UE y a los tratamientos de los que ya se estén beneficiado gracias al actual Real Decreto.

03

Que en caso de establecerse nuevos procedimientos y criterios, éstos sean claros, **objetivos y con unas reglas de juego homogéneas** y equilibradas para todos los actores que participan en el ámbito de las enfermedades raras. Además, se deberían **tener en cuenta los procesos existentes a nivel europeo** y evitar nuevos procesos complejos y cargas burocráticas, pudiendo contribuir a **garantizar una mayor equidad entre las Comunidades Autónomas**.

04

Que los cambios normativos que se produzcan **reflejen y acomoden los programas de acceso precoz** y se reconozca el esfuerzo que hacen los laboratorios farmacéuticos para proporcionar estas medicinas, en muchas ocasiones sin coste para el Sistema Nacional de Salud y, en última instancia, no realizar cambios en la norma que pudiera desincentivar a los laboratorios el hacer disponible estos programas globales en nuestro territorio.

05

Por último, con respecto a la recogida de datos clínicos en el contexto de pacientes o cohortes de pacientes que reciben su medicación a través de la vía de MSE, AELMHU tiene una posición constructiva y expectante al respecto. Cabe recordar que en las experiencias europeas en este sentido (Francia – ATU Cohort) hay un acuerdo entre las partes en relación a las variables a medir, que el laboratorio actúa como espónsor del estudio y que los medicamentos suponen un coste para el sistema de salud. De nuevo, el no contar en la norma con la aquiescencia de los laboratorios farmacéuticos puede poner en riesgo el acceso precoz a medicamentos en nuestro país.

PACTO DE ESTADO POR LA CIENCIA

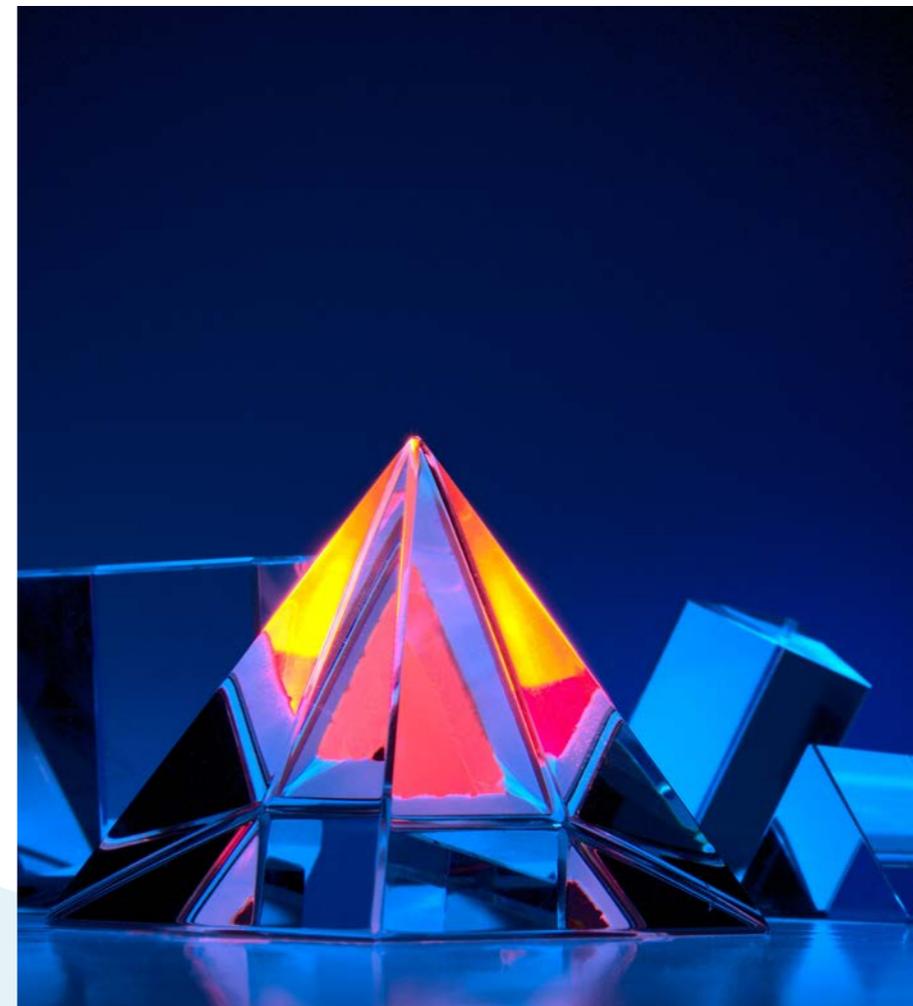
Desde el 15 de junio de 2021, AELMHU forma parte del Pacto de Estado por la Ciencia, un documento suscrito por más de 86 organizaciones representativas del ámbito científico, la universidad, la empresa y los trabajadores, que **contempla medidas para aumentar los recursos, reforzar el papel de las agencias financiadoras y atraer y retener el talento investigador en España.**

Con esta adhesión, la Asociación reafirma su compromiso con el fortalecimiento de la innovación farmacéutica en nuestro país y reivindica el acceso rápido y equitativo de todos los pacientes españoles a las nuevas terapias en el ámbito de las enfermedades minoritarias.

Este pacto contempla los aspectos básicos y evaluables que ha de asumir la acción política en cuanto a recursos, organización del sistema y personas. Su propósito es incrementar la inversión pública, tanto, en ciencia como en innovación, para alcanzar la media de inversión de la UE en I+D+i.

La Comisión Europea ha marcado recientemente como meta para 2030 que los Estados Miembros inviertan en total, entre público y privado, el 3% del PIB en I+D+i, y que la inversión pública represente el 1,25%. En 2018, último dato consolidado, ésta fue en España del 0,52% del PIB.

“SU PROPÓSITO ES INCREMENTAR LA INVERSIÓN PÚBLICA, TANTO EN CIENCIA COMO EN INNOVACIÓN, PARA ALCANZAR LA MEDIA DE INVERSIÓN DE LA UE EN I+D+I”



CONSULTA PÚBLICA ABIERTA SOBRE LA REVISIÓN DE LAS NORMAS DE LA UE SOBRE MEDICAMENTOS PARA NIÑOS Y ENFERMEDADES RARAS

Como uno de los resultados de la labor de los grupos de trabajo, desde AELMHU reconocemos el avance que han supuesto todas las iniciativas políticas, institucionales y regulatorias que se han venido aprobando a lo largo de los años en el ámbito de las EE.RR. con el objetivo de mejorar la equidad y el acceso a los tratamientos huérfanos en España.

Sin embargo, pese al trabajo realizado, la necesidad médica no cubierta en las EE.RR. sigue siendo uno de los mayores retos de los sistemas sanitarios. **Se calcula que en la actualidad hay 30 millones de pacientes europeos afectados por alrededor de 6.000 enfermedades raras, de las que un 95% aun no tienen tratamiento**, según datos de la Comisión Europea.

El desarrollo de tratamientos para el abordaje de este tipo de patologías es, por tanto, una apuesta compleja que implica importantes esfuerzos científicos y económicos, así como una serie de riesgos que, hoy en día, son asumidos íntegramente por el sector privado.

Desde que, en el año 2000, el Parlamento Europeo y el Consejo de la UE dictaminaran que los pacientes afectados por EE.RR. debían tener **derecho a la misma calidad de tratamiento** que el resto de pacientes y establecieran **incentivos para promover la investigación y la innovación**, la situación de los medicamentos huérfanos en el ámbito comunitario ha cambiado muchísimo.

A día de hoy, tal y como han ido demostrando los informes de acceso AELMHU a lo largo de los años, la investigación en el ámbito europeo vive un momento extraordinario. Sin embargo, **la evolución del acceso en los diferentes Estados miembro no ha sido equitativa, siendo España uno de los países más perjudicados.**

Por ello, transcurridas dos décadas desde aquel primer impulso transformador, desde la UE se ha decidido renovar el marco normativo de los medicamentos huérfanos y **AELMHU, como agente fundamental y representante de la industria en nuestro país, ha contribuido con sus aportaciones a estos cambios.**

Entre los principales mensajes presentados por nuestra Asociación a las instituciones comunitarias en la consulta pública abierta durante el verano de 2021, destacan:

01

La necesidad de **fomentar un diálogo científico a nivel europeo, que reúna a expertos del sector público y privado para explorar qué enfermedades pueden ser tratables con las tecnologías existentes y desarrollar un enfoque pragmático sobre cómo financiar la investigación y el desarrollo de los tratamientos, así como de mitigar las desigualdades entre Estados miembro.**

02

La **oportunidad de aprender** las lecciones que nos ha dejado la pandemia del Covid19 y que podrían contribuir a:

- **Agilizar el proceso de autorización y de comercialización**, tal y como se ha hecho con las vacunas en una situación de alto impacto.
- Poner en valor la importante contribución que pueden hacer **las herramientas digitales para acelerar el desarrollo y mejorar la atención en toda la UE**, dando más flexibilidad en el uso de soluciones digitales para ensayos clínicos, presentaciones regulatorias y atención domiciliaria, entre otros.
- **Impulsar la colaboración público-privada** en la mejora de la accesibilidad a los medicamentos, que ha demostrado ser una herramienta muy útil para mejorar la calidad de vida de los pacientes, sobre todo, en casos de interrupción de sus tratamientos como consecuencia de la pandemia.

CONSULTA PÚBLICA ANTEPROYECTO LEY DE COHESIÓN

El Ministerio de Sanidad abrió en noviembre de 2021 el trámite de aportaciones de la Consulta Pública del Anteproyecto de Ley por la que se modifican diversas normas para consolidar la equidad, universalidad y cohesión del Sistema Nacional de Salud.

De las temáticas incluidas en este anteproyecto de ley, la más relevante desde la óptica de las enfermedades raras es la de fortalecer la cohesión y equidad en el SNS, facilitando la viabilidad de desarrollo reglamentario del Fondo de Garantía Asistencial (FOGA).

Desde AELMHU consideramos que este es un asunto que nos interpela a todos y, por ello, participamos exponiendo un análisis y proponiendo recomendaciones al Gobierno de España. **La Asociación considera que es imprescindible abrir una reflexión más general sobre la inequidad en el ámbito de las enfermedades raras mediante un diálogo amplio**



y constructivo que cuente inexcusablemente con la industria, y en el que se aborde el acuciante problema de los **tiempos de acceso,** así como otras cuestiones específicas sobre los MM.HH. como la evaluación, el **modelo de financiación o la equidad en métodos de diagnóstico.**

“DE LAS TEMÁTICAS INCLUIDAS EN ESTE ANTEPROYECTO DE LEY, LA MÁS RELEVANTE DESDE LA ÓPTICA DE LAS ENFERMEDADES RARAS ES LA DE FORTALECER LA COHESIÓN Y EQUIDAD EN EL SISTEMA NACIONAL DE SALUD (SNS)”

Además, propusimos **que se incluyera de forma expresa la dispensación de tratamientos para las EE.RR. y MM.HH. con cargo al FOGA.** También es necesario **aplicar las recomendaciones científicas y clínicas de los Informes de Posicionamiento Terapéutico** en todos los ámbitos de la gestión sanitaria (estatal y autonómica) y que sea **vinculante en la toma de decisiones de las Comunidades Autónomas** para evitar desigualdades no justificadas.

REUNIONES INSTITUCIONALES:

Asimismo, AELMHU ha mantenido a lo largo de 2021 numerosos encuentros de trabajo con diferentes representantes institucionales, del ámbito político y parlamentario entre los que destacan:

01

En el **ámbito sanitario nacional**, destacamos la reunión, en abril de 2021, con el **Ministerio de Sanidad**. En ese encuentro **AELMHU trasladó sus preocupaciones e inquietudes para que la innovación llegue a los pacientes con EE.RR.** de nuestro país y para que España siga siendo un mercado atractivo para la llegada de la innovación. Además, la **Asociación presentó una serie de propuestas para mejorar el proceso actual de evaluación de los medicamentos huérfanos e iniciar un diálogo constructivo con el Ministerio** que nos permitiese trabajar conjuntamente en la **búsqueda de soluciones efectivas** en el ámbito de las EE.RR. y los pacientes.

02

En el **ámbito de la innovación**, la Asociación mantuvo varios encuentros con el **Ministerio de Ciencia e Innovación**. En ellos, AELMHU abogó por **asegurar la equidad en el diagnóstico y en el acceso al tratamiento de los pacientes españoles**; desarrollar un proceso ágil y claro que permita reducir los plazos para la financiación y contar con una mayor certidumbre y consenso en las evaluaciones para mejorar la situación. También, puso de manifiesto la **importancia de la innovación farmacéutica** sobre la mesa; dio a conocer los problemas de acceso de los medicamentos huérfanos en España; y reclamó una mayor **colaboración entre instituciones y organismos, públicos y privado**, en materia de Enfermedades Raras.

03

En el **ámbito sanitario autonómico**, destacan los encuentros con diferentes **representantes de comunidades autónomas**, y del mismo modo, con diferentes agentes de interés en el ámbito de la **industria, los pacientes y las sociedades científicas**, con el fin de entablar un diálogo constructivo que **mejore la situación del acceso de los pacientes** con EE.RR. a las últimas innovaciones.

06 Eventos Externos

AELMHU ha tenido el placer de poder participar varios eventos a lo largo del año, invitada por **su papel en el sector y su contribución al conocimiento y desarrollo de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos.**

Destacamos:

CICLO “SALIENDO DE LA CRISIS DEL CORONAVIRUS ENFERMEDADES RARAS ¿LAS MÁS BENEFICIADAS?”

El por aquel entonces presidente de AELMHU, **Jorge Capapey**, formó parte de este ciclo informativo, organizado por la **Fundación Bamberg** y celebrado de forma on line. El evento contó con la colaboración y presencia de clínicos, gestores e investigadores con el fin de **avanzar y evaluar el compromiso de todos para el perfeccionamiento de nuestro Sistema sanitario.**



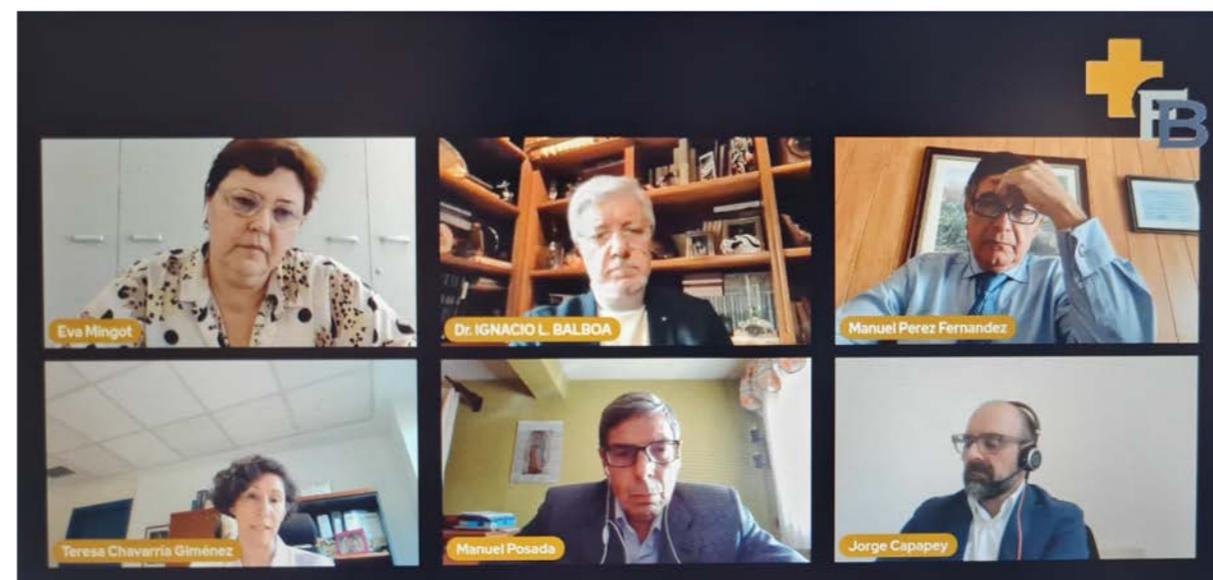
EVENTO “POSICIONAMIENTO DE ESPAÑA EN LA ACTUALIZACIÓN DE LA LEGISLACIÓN EUROPEA DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS”

AELMHU, representada por su presidente **Jorge Capapey**, participó en el encuentro virtual: “Posicionamiento de España en la actualización de la legislación europea de Medicamentos Huérfanos”. Un foro de debate para hablar sobre **los futuros cambios que la Comisión Europea tiene previsto hacer en la legislación sobre enfermedades raras**. El acto estuvo organizado por **BioInnova Consulting**.



ENCUENTRO “EL ABORDAJE DE LAS ENFERMEDADES RARAS HEMATOLÓGICAS: LAS FRONTERAS DE LA INVESTIGACIÓN”

En este encuentro de la **Fundación Bamberg**, en el que **Jorge Capapey** estuvo presente, se habló de las EE.RR. en su conjunto y, particularmente, de la hemofilia. Además, **se debatió sobre la naturaleza de los medicamentos para estas enfermedades y los modelos de gestión de fármacos** de alto impacto con el fin de mostrar las necesidades no cubiertas en este tipo de patologías, conocer el estado de la investigación sobre las enfermedades raras hematológicas y la defensa de los incentivos a los MM.HH.



ANIVERSARIO SYMPOSIUM SOBRE “ACCESO Y USO DE MEDICAMENTOS EN SITUACIONES ESPECIALES”

Liderado por la **Asociación Española de Farmacéuticos de la Industria (AEFI)**, este evento contó con la participación de la presidenta de AELMHU, **María José Sánchez**, de forma virtual en la mesa de **debate sobre los medicamentos en situaciones especiales y los cambios en el Real Decreto 1015/2009, de 19 de junio**, por el que se regula la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales, que el Gobierno tiene en marcha.

PONENCIA: “EFECTOS DE LA PANDEMIA EN EL ACCESO A LA INNOVACIÓN Y SITUACIÓN EN OTROS PAÍSES EUROPEOS”

La presidenta de AELMHU, **María José Sánchez**, participó en el encuentro, organizado de forma virtual por **Vertex Pharmaceuticals**, en el que **se abordó la nueva normalidad tras la pandemia y la importancia de la innovación en las enfermedades raras respiratorias**.



CURSO DE VERANO “LA ATENCIÓN A PACIENTES CON ENFERMEDADES RARAS Y EL ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS TRAS LA PANDEMIA POR COVID-19”

La **Universidad de Castilla-La Mancha (UCLM)** en Toledo celebró este curso, al que acudió la directora de AELMHU, **Marian Corral**, dirigido a profesionales y gestores sanitarios, estudiantes, responsables de organizaciones de pacientes y agentes sociales. El objetivo del acto fue generar un espacio de encuentro, análisis y debate multidisciplinar sobre el impacto de la Covid-19 en los pacientes con enfermedades raras, cuál fue su situación después de la pandemia, cómo afectó la misma al diagnóstico, a su asistencia sanitaria, e investigación de medicamentos huérfanos.

DEBATE EN “EN VOZ RARA” DE LA FUNDACIÓN MEHUER

La presidenta de AELMHU, **María José Sánchez**, también formó parte del panel de expertos de la webinar: “En voz rara” junto a otros representantes de la industria farmacéutica, para debatir sobre la situación actual de los MM.HH. y sus retos futuros.



EVENTO “EVALUACIÓN Y COMERCIALIZACIÓN DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS: SITUACIÓN EN ESPAÑA”

El encuentro fue organizado por la **Sociedad Española de Neurología (SEN)**, de forma virtual y la representación de AELMHU corrió a cargo de la Vicepresidenta **Leticia Beleta**. Durante su intervención pudo exponer los principales datos de acceso a los medicamentos huérfanos en España y compartir propuestas para mejorar el sistema actual de evaluación de los medicamentos huérfanos en nuestro país.

PONENCIA SOBRE “DIFICULTADES EN EL ACCESO A MEDICAMENTOS HUÉRFANOS. RETOS DE FUTURO” EN EL XIV CONGRESO INTERNACIONAL DE D´GENES

La presidenta de ALEMHU, **María José Sánchez**, intervino en esta ponencia telemática dentro del marco del **XIV Congreso Internacional de D´Genes** en el que se habló sobre la situación de los medicamentos huérfanos en España.



FORO “ENFERMEDADES RARAS, UN RETO DE TODOS” DE LA FUNDACIÓN CAJA CANARIAS SALUD Y BIENESTAR

La directora de AELMHU, **Marian Corral**, viajó hasta Canarias para participar en este espacio de diálogo con el objetivo de dar a conocer las enfermedades raras, sus particularidades, las dificultades a las que se enfrentan los pacientes y la situación actual de acceso a los tratamientos para estas patologías.

JORNADA “ENFERMEDADES RARAS Y MEDICAMENTOS HUÉRFANOS: PROBLEMÁTICA ACTUAL Y PROPUESTAS PARA EL DEBATE”

La **directora de la Asociación** estuvo en Granada en el mes de noviembre, para intervenir en esta jornada organizada por la **Escuela Andaluza de Salud Pública**, sobre las EE.RR. y su problemática actual para hablar sobre los retos futuros en el abordaje de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos.



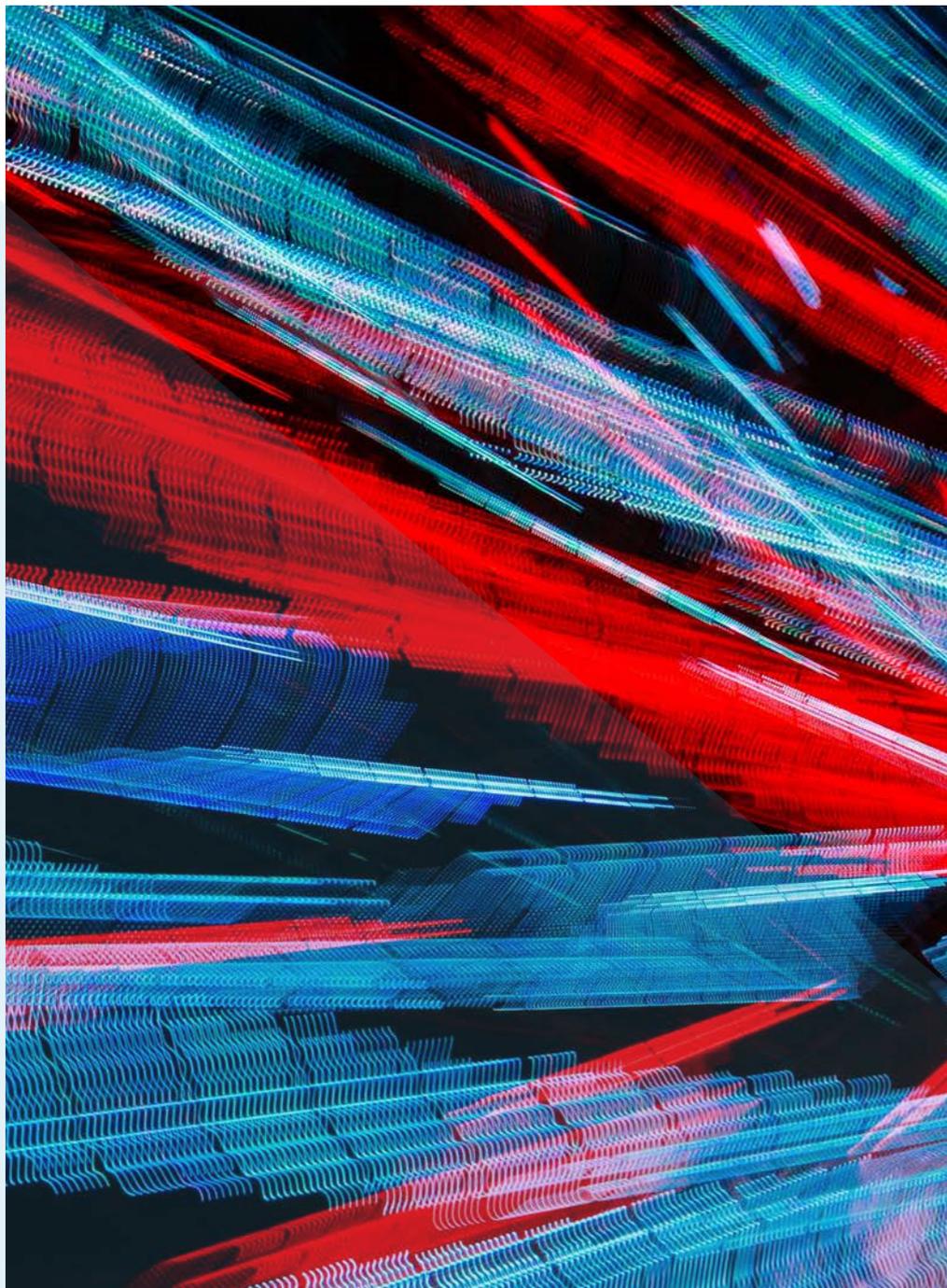
PREMIO CORAZONES SOLIDARIOS

Asimismo, en el marco de la campaña solidaria ante la crisis del Covid-19, AELMHU recibió el premio **“España en el corazón”** promovido por la **Asociación Española de Derecho Farmacéutico (ASEDEF)** y **TAQ DISTINCIONES** que reconoce el compromiso constante de nuestra organización por mejorar la salud y la calidad de vida de los pacientes con enfermedades minoritarias.

Sin duda, una distinción que pone en valor el **gran trabajo que desarrolla tanto la asociación como las compañías asociadas**. Un galardón que, además, invita y anima a todos los asociados a seguir en la misma senda, velando y luchando por nuestra razón de ser: el cuidado de los pacientes con enfermedades poco frecuentes y sus familias.



07 Comunicación



Como parte importante, estratégica y de difusión, la comunicación es un pilar fundamental para AELMHU como medio o canal de divulgación de nuestras acciones y cometidos, tanto en el día a día como en un largo plazo.

“DESDE LA ASOCIACIÓN INTENTAMOS HACER EL MEJOR USO POSIBLE DE ESTAS HERRAMIENTAS CON EL OBJETIVO DE QUE CUALQUIER PERSONA PUEDA OBTENER INFORMACIÓN, SI ASÍ LO DESEA, ACERCA DE LAS EE.RR. Y LOS MM.HH.”

La población, en general, y los pacientes, en particular, han de sentirse respaldados, protegidos y amparados por la industria farmacéutica y las empresas especializadas en biotecnología. De ahí, la relevancia de mantener un contacto directo, accesible, útil y estrecho con ellos y su entorno, a través de los distintos medios de comunicación y las diferentes plataformas sociales.

Por eso, desde la Asociación intentamos hacer el mejor uso posible de estas herramientas con el objetivo de que cualquier persona pueda obtener información, si así lo desea, acerca de las EE.RR. y los MM.HH.

REDEFINICIÓN DE LA IMAGEN CORPORATIVA

Durante el año 2021 se ha elaborado un nuevo manual de identidad corporativa que incluía el cambio del logotipo, algo en lo que ya se empezó a trabajar en 2020.

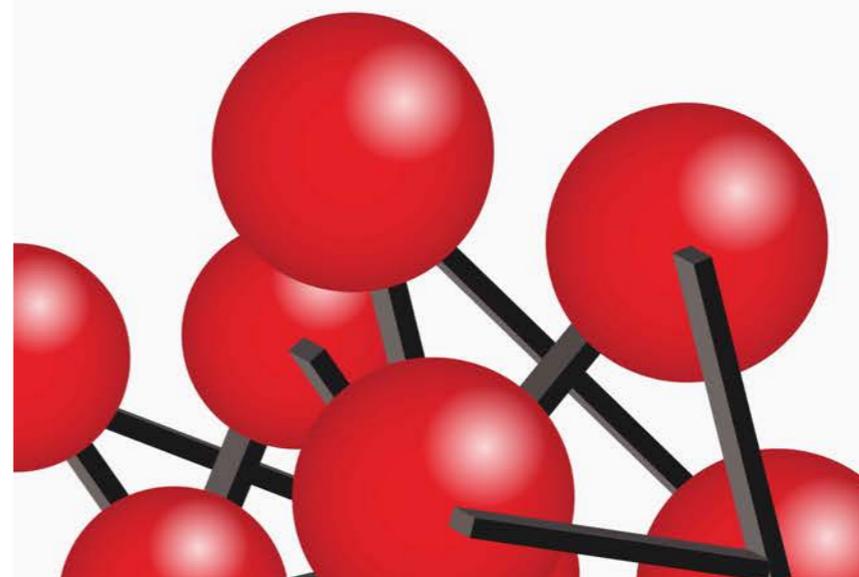
Así, la elaboración del actual logotipo de AELMHU se basó en un diseño más actualizado, acorde no solo a una imagen más visual, sino como medio de soporte adaptable a las múltiples exigencias actuales, tanto online y offline, las redes sociales y la página web.

Asimismo, este diseño conllevó la creación de un isotipo, un símbolo en diseño gráfico, como estandarte que toma especial protagonismo en redes sociales.

El manual de identidad contiene también la definición de tipografías corporativas, su uso y desarrollo, la dirección de arte y las distintas aplicaciones, tanto para diseños digitales o impresos (tarjetas, papelería, banners, etc.).

aelmhu
asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

INVESTIGACIÓN
Y COMPROMISO
CON LAS
ENFERMEDADES
RARAS



imago tipo
CREACION



AELMHU
ASOCIACIÓN ESPAÑOLA DE LABORATORIOS DE
MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS

aelmhu
asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

+ amabilidad
+ impacto de
retención
visual o
eye-catching
+ actual

aelmhu
asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos



aeLmhu
asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

tomar "lmhu"
como centro
de atención

aplicación de
color
corporativo
actual

isotipo
CREACION



evocamos
sanidad
naturaleza
consistencia
grupo

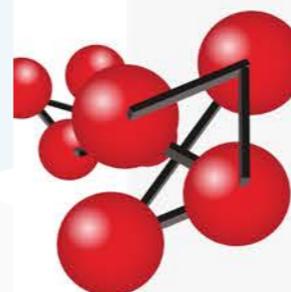
PÁGINA WEB

Por otro lado, durante el año 2021 también se ha estado trabajando en el desarrollo de una nueva página web.

La propuesta finalmente aprobada se centraba en crear una web más amigable, elegante, gráfica e intuitiva, sin dejar a un lado la calidad y el rigor de los contenidos, redactados por profesionales de reconocido prestigio.

Para conseguirlo se realizó un **diseño completo de la web y un nuevo árbol de contenidos más sencillo en el que se reorganizaban los textos y se añadían nuevas secciones, en aras de facilitar y dar una mayor accesibilidad en la navegación de los usuarios.** Como ejemplos, caben destacar la sección de Transparencia, Nuestros proyectos o Comunicación donde se recopilarán todas las noticias de la Asociación, entrevistas, artículos y notas de prensa.

De este modo, y aprovechando la celebración del X Aniversario de AELMHU, la nueva web se activó desde el 18 de noviembre de 2021.



¿Qué es AELMHU?

Somos una asociación sin ánimo de lucro constituida por empresas farmacéuticas especializadas en enfermedades raras que tienen un firme compromiso por **descubrir, investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras que mejoren la vida de los pacientes y sus familias**

INVESTIGACIÓN y COMPROMISO con las enfermedades raras

ASÓCIATE

¿Quieres formar parte de
AELMHU?



¿Qué es un MM.HH.

Los medicamentos huérfanos son **medicamentos innovadores**, muchos de ellos de origen biotecnológico, destinados a establecer un diagnóstico, prevenir o tratar a pacientes con enfermedades raras o minoritarias que carecen de alternativa terapéutica



Informe de acceso

Desde AELMHU elaboramos, de forma cuatrimestral y anual, informes de acceso de los medicamentos huérfanos en España
[Consulta la última actualización](#)



ACTUALIDAD

NOTICIAS

AELMHU RECIBE EL PREMIO "ESPAÑA EN EL CORAZÓN", PROMOVIDO POR ASEDEF Y TAO DISTINCIONES. ES EL MARCO DE LA CAMPAÑA SOLIDARIA ANTE LA CRISIS DEL COVID-19

El galardón reconoce el compromiso constante de AELMHU por mejorar la salud y la calidad de vida de los pacientes con enfermedades minoritarias



Instrumentos terapéuticos que...

El proceso de desarrollo de un medicamento huérfano es más largo, costoso y complicado que el característico de otros medicamentos, siendo los ensayos clínicos en enfermedades raras punto capital en el proceso de desarrollo de medicamentos huérfanos.

Día mundial del Ensayo Clínico

Con motivo del Día Mundial del Ensayo Clínico AELMHU analiza anualmente los datos sobre los ensayos clínicos a nivel nacional, cuya información se recoge en el Registro Español de Estudios Clínicos de la AEMPS.

El objetivo de este trabajo es dar a conocer la investigación llevada a cabo en España en el área de las enfermedades poco frecuentes y poner en valor los esfuerzos que realizan los laboratorios en I+D.

Los resultados recopilados se organizan y analizan en base a los parámetros de mayor interés: número de ensayos, número de participantes, evolución anual, efecto de la pandemia, enfermedades investigadas, presencia de las enfermedades minoritarias en la actividad clínica en España, etc.

La información obtenida se ilustra en una infografía y difunde en una nota de prensa el día 20 de mayo, Día Mundial del Ensayo Clínico.

Informe anual Ensayos clínicos en EE.RR. 2020

Con motivo del Día Mundial del Ensayo Clínico, la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) presenta 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.).

“Es fundamental, además, su papel clave en la actualización de conocimientos y las evidencias terapéuticas en estas patologías poco frecuentes y su contribución decisiva a la mejora de la esperanza y calidad de vida.”



¿Quiénes SOMOS?

AELMHU es una asociación sin ánimo de lucro constituida en el año 2011 por un grupo de empresas farmacéuticas y biotecnológicas, con un decidido compromiso por investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras para mejorar la calidad de vida de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultrarraras



es un .HH.?

¿Cuál es el PRONÓSTICO para los PACIENTES con una enfermedad rara?

¿Cuál es la EFICACIA Y SEGURIDAD de los medicamentos huérfanos?

¿Cuántos MEDICAMENTOS HUÉRFANOS existen en la actualidad?

¿Cuáles han sido los ÚLTIMOS AVANCES en el diagnóstico y tratamiento de las enfermedades raras?

Nuestra MISIÓN

Contribuir a mejorar la situación de las personas y familias afectadas por enfermedades raras o poco frecuentes, impulsando el conocimiento de sus patologías y el reconocimiento del valor terapéutico y social de los medicamentos huérfanos



¿Qué HACEMOS?



COLABORAMOS CON ORGANIZACIONES de pacientes, administraciones públicas y otros agentes implicados, con el ánimo de aportar nuestro conocimiento y experiencia en el tratamiento de las enfermedades raras



INFORMAMOS sobre el valor que aportan los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos para el tratamiento de estas patologías



DAMOS VISIBILIDAD a las características especiales de las enfermedades raras y ultrarraras



SUMAMOS ESFUERZOS y apoyamos la I+D+i para conseguir que nuevos medicamentos huérfanos lleguen al mercado

194 Ensayos Clínicos autorizados

2020

3.191 Participantes

EE.CC. en enfermedades min España, año 2020

Nota de prensa

Los ensayos clínicos asociados de AELMHU

Órganos de Gobierno

El órgano supremo de gobierno de AELMHU es la Asamblea General. Este órgano está integrado por todos los asociados por derecho propio y en igualdad absoluta.

PRENSA

Pese a que es necesario tener en cuenta que el entorno farmacéutico y biotecnológico es un sector relativamente complicado a la hora de hacerlo lo más mediático posible, desde AELMHU se han logrado alcanzar cifras muy positivas gracias, entre otras cosas, a la publicación de seis notas de prensa.

Entre las más significativas del año 2021 destacan la de la presentación del Informe Anual de Acceso 2020 y la ceremonia de entrega de los Premios honoríficos AELMHU.

No obstante, también se enviaron varias comunicaciones sobre la situación de los MM.HH. en España y los cambios en la Junta Directiva, tanto a medios generalistas como especializados, económicos y agencias.

Con ellas, se generaron más de cien impactos, tanto en medios digitales como impresos, siendo los primeros los más utilizados.

Las notas de prensa fueron recogidas por más de 40 medios de comunicación, generando un **44% de impactos directos en medios generalistas y un 56% en medios especializados.**

Asimismo, el 90% de las noticias relativas a AELMHU fueron recogidas en medios digitales, el 9% en medios impresos y, a parte, destaca un impacto en **televisión.**



ENTREVISTAS

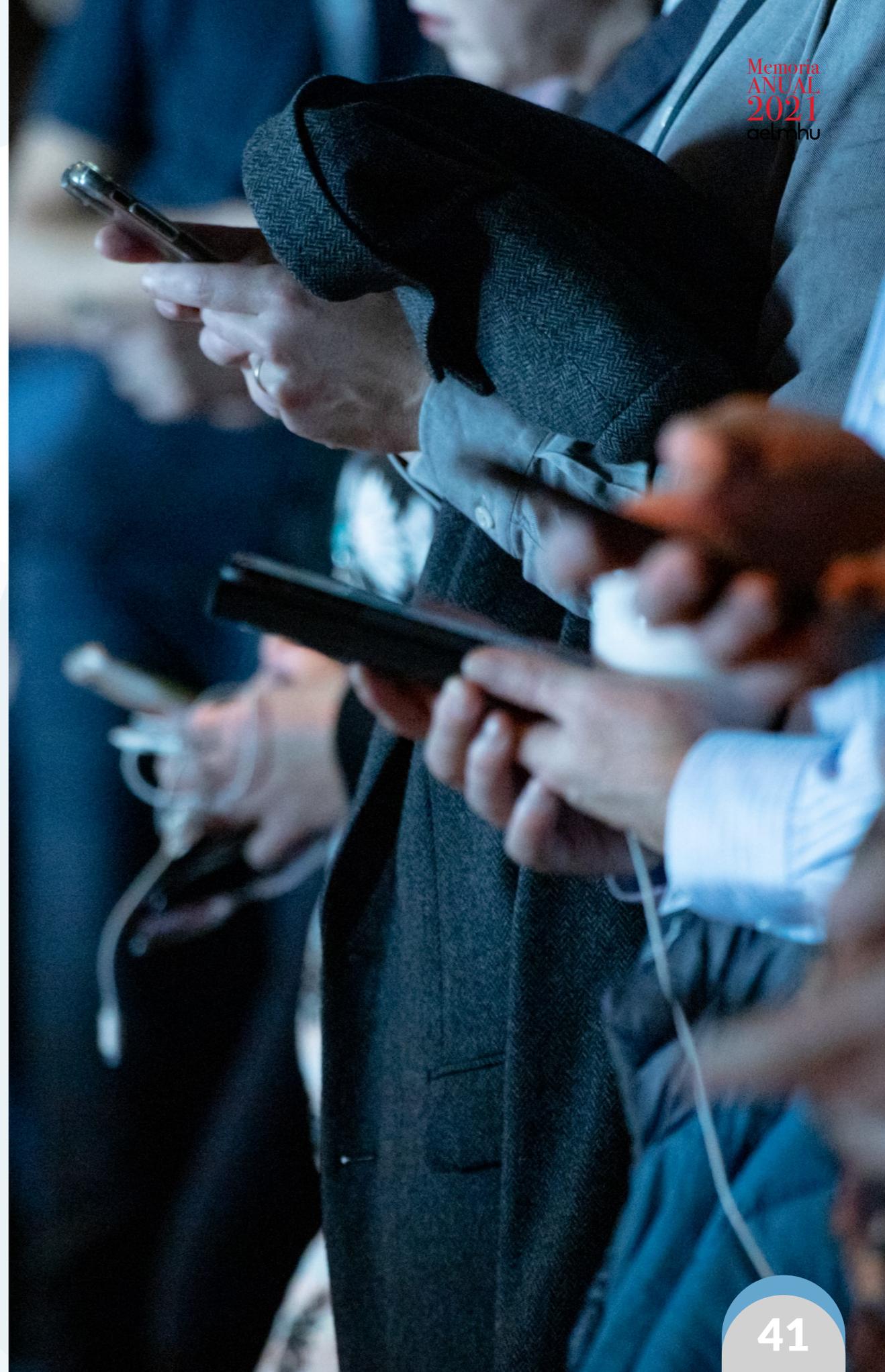
En cuanto a la aparición y realización de entrevistas o tribunas de opinión en los diferentes medios, los miembros de AELMHU participaron en **cinco medios**, sobre todo especializados en Sanidad.



DIGITAL

La presencia de AELMHU en redes sociales se remonta al año 2017 en **Twitter**, y en **LinkedIn** al año 2019. Desde entonces, la **repercusión y relevancia** que ha adquirido la Asociación en el entorno digital ha sido cada vez más importante, gracias a la difusión de **contenidos propios, de calidad, y a la publicación de contenidos interesantes** para la comunidad de AELMHU en redes sociales.

La evolución positiva de la presencia de AELMHU en redes en los últimos años se debe a la estrategia de modernización y expansión de la organización, cuyos principales objetivos eran aumentar su **visibilidad y notoriedad** en territorios afines y **generar interacción y conversación** con grupos de interés, fomentando diálogos relevantes para las sociedades científicas y la sociedad civil.



De este modo, caben destacar los siguientes datos:

01

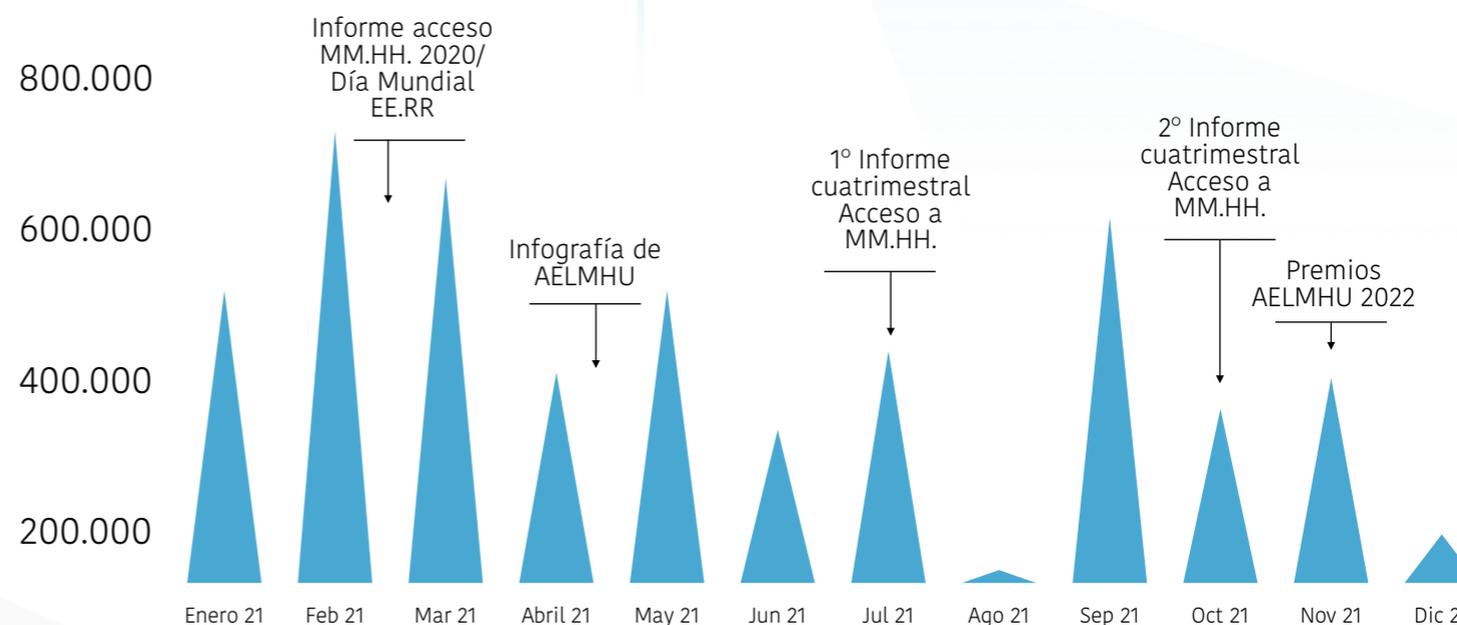
Desde el inicio del 2021, el perfil de AELMHU en **Twitter** creció en más de **917 seguidores**, gracias a los contenidos publicados y a la inversión en campañas de seguidores. En **LinkedIn**, AELMHU consiguió **400 nuevos seguidores**. Destacan seguidores del ámbito farmacéutico, el entorno político, asociaciones de pacientes o periodistas del sector.

03

Desde el inicio del 2021, el perfil de AELMHU en Twitter generó más de **48.000**, un 56% más que en 2020, gracias a los contenidos publicados. En LinkedIn, se han generado 7.354 interacciones.

02

Durante el año 2021, AELMHU generó más de **4,9 millones de impresiones en Twitter**, un 36% más que en el año anterior. En LinkedIn se generaron 107.600 impresiones, un **72% más** que en año 2020. La conversación de AELMHU durante el año 2021 ha reflejado los siguientes picos de alcance:



08 X Aniversario Aelmhu Premios Honoríficos 2011-2021

Tal y como menciona la presidenta de AELMHU en su saludo inicial, en 2021 la **Asociación Española de Medicamentos Huérfanos y Ultra huérfanos (AELMHU)** cumplió diez años desde su fundación.

Por ese motivo, AELMHU recuperó sus Premios con una edición especial y honorífica celebrada en Madrid.

El **objetivo** de estos galardones no es otro que **contribuir a un mejor conocimiento de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos**, así como a una mayor difusión de la problemática de las personas afectadas, del reconocimiento de sus patologías, sus especiales circunstancias y del valor terapéutico y social de los medicamentos huérfanos.



Así, se reconocieron las mejores trayectorias en investigación, en clínica y en difusión:

01

CÉSAR HERNÁNDEZ, JEFE DE MEDICAMENTOS DE USO HUMANO DE LA AEMPS, PREMIO POR SU CONTRIBUCIÓN Y APOYO A LA ASOCIACIÓN.

02

EL PREMIO A UNA ORGANIZACIÓN, CENTRO O INSTITUCIÓN POR SU INVOLUCRACIÓN EN EL FOMENTO Y LA PROMOCIÓN DE LA INVESTIGACIÓN EN EE.RR. RECAYÓ EN EL CENTRO DE INVESTIGACIÓN BIOMÉDICA EN RED EN ENFERMEDADES RARAS DEL INSTITUTO DE SALUD CARLOS III (CIBERER).

03

LA GUÍA DE LAS ENFERMEDADES RARAS” DE JAVIER CANO, PEDRO LENDÍNEZ Y SONIA MARTÍN. RECIBIÓ EL PREMIO COMO MEJOR PROYECTO DE DIVULGACIÓN Y DIFUSIÓN DE LAS ENFERMEDADES RARAS Y LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS.

04

LOS GALARDONADOS CON EL PREMIO A UNA ENTIDAD TERRITORIAL POR SU COMPROMISO CON LAS EE.RR. FUERON A PARAR A LAS COMUNIDADES DE ANDALUCÍA Y EXTREMADURA, POR SER LAS PIONERAS EN EL DESARROLLAR UNA ESTRATEGIA EN ENFERMEDADES RARAS EN ESPAÑA.

05

Y, POR ÚLTIMO, Y PARA CERRAR LA ENTREGA DE GALARDONES, LA ASOCIACIÓN ENTREGÓ UNA DISTINCIÓN A LOS FUNDADORES DE AELMHU: JORDI CASALS, JUAN FERRERO Y JORDI LEAL POR SU DEDICACIÓN, TRABAJO E INVOLUCRACIÓN EN LA PUESTA EN MARCHA DE LA ASOCIACIÓN.





La ceremonia de entrega de los premios estuvo presidida por la **ex ministra de Sanidad y vicepresidenta Segunda del Congreso, Ana Pastor, y presentada por la periodista Silvia Jato.**

Además, logró reunir a una amplia representación de sus compañías farmacéuticas asociadas y numerosos representantes del ámbito farmacéutico y sanitario, asociaciones de pacientes o representantes de la Administración pública o del entorno político, como el **vicepresidente Segundo y consejero de Sanidad y Servicios Sociales extremeño, José María Vergeles, la directora de la AMPS, M^a Jesús Lamas o Juan Carrión y Fide Mirón, presidente y vicepresidenta de FEDER,** entre muchos otros.

En definitiva, esta edición de los Premios AELMHU 2021 fue el colofón a un magnífico año. Un año en el que la Asociación materializó una serie de cambios y progresos, encaminados **reforzar la necesidad de contribuir a mejorar la situación de las personas afectadas por enfermedades raras o poco frecuentes y sus familias.** Lo que es, sin duda, **nuestra razón de ser.**

Nuestro AGRADECIMIENTO

Todo esto no habría sido posible sin el apoyo, compromiso e implicación de nuestros asociados*:

¡Muchas gracias!



*Asociados de AELMHU a lo largo de 2021

Memoria
ANUAL
2021
aeImhu

Arte:
Immaculada Cagliostro
+++ 23_Monalisa