

# RESUMEN EJECUTIVO

---

## Informe Anual de **ACCESO** **2022**

de los medicamentos  
huérfanos en España

aeLmhu



# ÍNDICE

mtu

- 01 INFORME DE ACCESO AELMHU
- 02 METODOLOGÍA DEL INFORME
- 03 CONTEXTO ACTUAL DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS
- 04 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA UE Y EN ESPAÑA EN 2022
- 05 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS CON AUTORIZACIÓN DE COMERCIALIZACIÓN SIN CÓDIGO NACIONAL EN ESPAÑA EN 2022
- 06 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS FINANCIADOS EN ESPAÑA DURANTE 2022
- 07 TERAPIAS AVANZADAS CON DESIGNACIÓN HUÉRFANA
- 08 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS NO FINANCIADOS
- 09 PRINCIPALES CONCLUSIONES DEL INFORME
- 10 VALORACIÓN Y RECOMENDACIONES AELMHU
- 11 BIBLIOGRAFÍA
- 12 ACRÓNIMOS

## INFORME DE ACCESO A ELMHU

Un año más, la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) hace públicas las principales conclusiones de su Informe Anual de Acceso de los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) en España.

En este documento se analiza el estado de los productos con nombre comercial y designación huérfana positiva por parte de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) a fecha 31 de diciembre de 2022, así como el procedimiento seguido por los mismos al llegar a nuestro país, desde la asignación de Código Nacional (CN) por parte de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), hasta su financiación pública.

Desde hace más de una década, AELMHU trabaja para ofrecer más y mejores indicadores que permitan a todas aquellas personas interesadas -pacientes, comunidad científica, profesionales, industria, decisores públicos y sociedad en general- evaluar periódicamente la disponibilidad de la innovación en un campo tan complejo y, al mismo tiempo, tan esperanzador, como son las enfermedades raras (EE.RR.).

Para nuestra Asociación es un honor y una responsabilidad saber que hoy nuestros informes ya representan la principal referencia de datos sobre el acceso de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos en España. Por eso, como novedad este año, hemos querido hacer dos cosas: primero, profundizar en el análisis de algunos aspectos relevantes, como aquellos tratamientos huérfanos que cuentan con autorización de comercialización comunitaria pero todavía no disponen de Código Nacional en nuestro país, analizando los plazos y las áreas terapéuticas con las que se corresponden. Y segundo, plantear una batería de propuestas para mejorar la situación de los productos huérfanos en España.

La misión de AELMHU es contribuir a mejorar la situación de las personas afectadas por enfermedades raras o poco frecuentes, impulsando el conocimiento de sus patologías y el reconocimiento del valor terapéutico y social que los medicamentos huérfanos tienen en su vida diaria y la de sus familias.

Por eso, tras unos años tan atípicos protagonizados por la pandemia del COVID-19, y a las puertas de un curso decisivo para nuestra industria -en el que están previstos la aprobación de la nueva Ley de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos, el nuevo Reglamento Europeo de MM.HH., la nueva Estrategia Farmacéutica para Europa o el Plan Estratégico de la Industria Farmacéutica 2023-2025, así como la presidencia española del Consejo de la UE- AELMHU quiere seguir proyectando más y mejores indicadores para contribuir al objetivo común de agilizar la disponibilidad de la innovación farmacéutica en España.

AELMHU es una organización sin ánimo de lucro que desde hace más de una década agrupa a empresas farmacéuticas y biotecnológicas con un decidido compromiso por descubrir, investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras capaces de mejorar la situación de los pacientes que padecen estas patologías denominadas raras.

Actualmente los miembros de AELMHU son: **Alexion AstraZeneca Rare Diseases, Alnylam, AMRYT Pharma, Biocryst, Biomarin, Chiesi, CSL Behring, Ferrer, Gensight Biologics, Insmad, Ipsen, Jazz Pharmaceuticals, Kyowa Kirin, Novartis Gene Therapies, PTC Therapeutics, Sanofi, SOBI, Takeda, UCB, Ultragenyx y Vertex.**

## 02 METODOLOGÍA DEL INFORME

El presente resumen ejecutivo del Informe sobre el acceso de los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) en España 2022 ha sido elaborado por Lasker sobre la base de información identificada por Bioinnova Consulting a petición de AELMHU, a través de una metodología de revisión de datos centrada en cuatro fases:

### 01 Identificación de los medicamentos con designación huérfana

De los más de 2.000 principios activos con designación huérfana por parte del Comité de Medicamentos y Productos Huérfanos (COMP, por sus siglas en inglés) de la Agencia Europea del Medicamento (EMA por sus siglas en inglés), se han identificado aquellos principios activos que tienen vigente la designación huérfana (OD por sus siglas en inglés) a fecha 31 de diciembre de 2022 (más de 1.800). La designación huérfana se otorga durante las primeras etapas de la investigación de un medicamento, por lo que dentro de los principios activos que cuentan con designación vigente, se identifican, en cada informe, aquellos que tienen nombre comercial (más de 200) y, de éstos, se eliminan los duplicados por tener varias indicaciones. Eliminando esas duplicidades, se obtienen **195 MM.HH. con OD** vigente a fecha de 31 de diciembre de 2022 y con nombre comercial.

### 02 Medicamentos retirados

Después, se han analizado cuáles de estos MM.HH. han sido retirados (o todavía no han sido incluidos) en el Registro Comunitario de Medicamentos Huérfanos de la Comisión Europea para su comercialización en la Unión Europea (n=49). Como resultado se obtiene el **número de MM.HH. con autorización comercial (AC)** a 31 de diciembre de 2022, en países de la UE (n=146).

### 03 Medicamentos con Código Nacional

El tercer paso ha sido identificar cuáles de esos MM.HH. con nombre comercial que están aprobados para su comercialización en la Unión Europea, tienen **Código Nacional (CN)** por parte de la AEMPS para su comercialización en España (n=123).

### 04 Medicamentos financiados

Por último, se han identificado cuáles y desde cuándo están **financiados** por el SNS los MM.HH. según la información recogida en el Nomenclátor del Ministerio de Sanidad (n=63). Como fecha de financiación se ha tomado la primera fecha de alta.

03

## CONTEXTO ACTUAL DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

**Los MM.HH. son tratamientos innovadores**, muchos de ellos de origen biotecnológico, destinados a establecer un diagnóstico, prevenir o tratar enfermedades raras o poco frecuentes que afectan a menos de 5 de cada 10.000 personas y que carecen de tratamiento alternativo.

**Se calcula que en el mundo existen entre 6.000 y 8.000 EE.RR.**, de las que solo un 5% dispone de algún tipo de herramienta diagnóstica o tratamiento, por lo que la investigación y la innovación en este campo representan una necesidad urgente para toda la sociedad.

Conscientes de esta situación, el Parlamento Europeo y el Consejo de la UE aprobaron en el año 2000 el Reglamento de la UE 141/2000, que en breve será actualizado, y que estableció que **«los pacientes afectados por enfermedades raras deben tener derecho a la misma calidad de tratamiento que otros pacientes»**, incorporando incentivos para mejorar el conocimiento y promover la investigación, el desarrollo y la comercialización de medicamentos en el campo de las EE.RR.

Desde entonces, la legislación impulsada desde la UE y desde España **ha conseguido indudables avances**. De hecho, especialmente en los últimos años, **el esfuerzo investigador de los laboratorios farmacéuticos se ha visto reforzado y ha aumentado la disposición de un número creciente de empresas capaces de aportar innovaciones en este campo**.

Así lo reflejan los datos del último [Informe Anual sobre Ensayos Clínicos en Enfermedades Raras en España](#), elaborado por AELMHU, según el cual, **España alcanzó una cifra récord en 2021 con la puesta en marcha de 225 ensayos** para la investigación de enfermedades minoritarias, el 23% del total de ensayos iniciados en nuestro país, lo que representa 3 puntos más que en 2020.

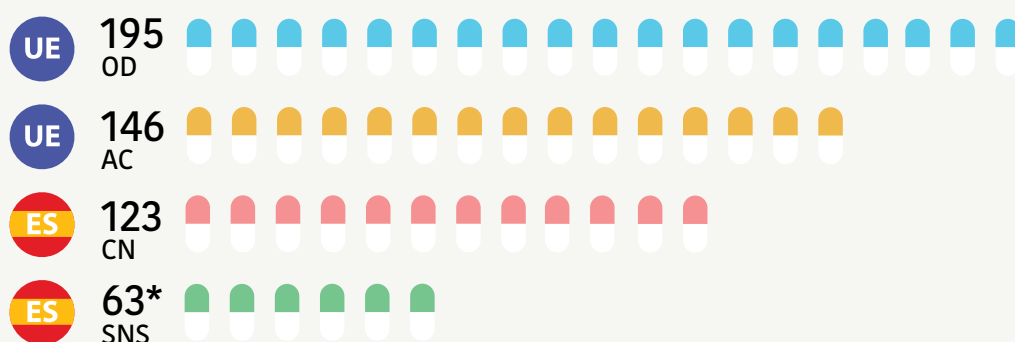
Sin embargo, **ese interés de la industria por profundizar en un ámbito tan complejo como el de las enfermedades raras, no está teniendo un reflejo directo en la disponibilidad para los pacientes españoles**, tal y como reflejan los datos del presente informe.

En este sentido, AELMHU quiere seguir profundizando en numerosos aspectos como la **equidad en el acceso** a estos tratamientos **o la agilización de procesos burocráticos** para facilitar el acceso efectivo a una oportunidad única para muchas personas que padecen este tipo de patologías y que no han encontrado una alternativa terapéutica.

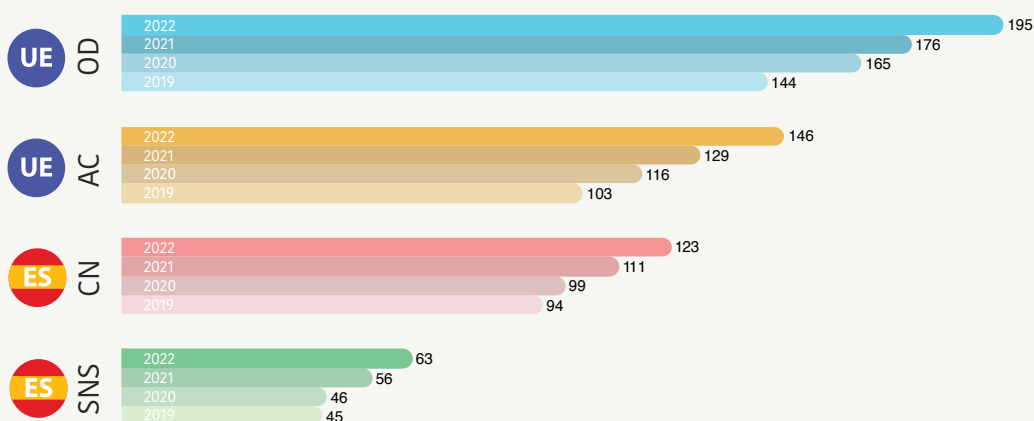
## 04 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA UE Y EN ESPAÑA EN 2022

El ejercicio 2022 cerró con **195 medicamentos con designación huérfana positiva en la UE**, de los cuales, **146 disponen de autorización de comercialización comunitaria**, **123** adquirieron **Código Nacional** en España (84%) y **63** están financiados por el Sistema Nacional de Salud (43%).

### Principales indicadores en la UE y en España



### Evolución de los indicadores UE y España 2019-2022



Un año más, los MM.HH. en la UE y en España mejoran en todos los indicadores:

- Un 11% más de designaciones huérfanas positivas de la EMA, hasta alcanzar los 195 productos, frente a los 176 de 2021.
- Un 13% más de autorizaciones de comercialización comunitarias, pasando de 129 en 2021 a 146 en 2022.
- Un 11% más de MM.HH. que obtienen Código Nacional en nuestro país, desde los 111 en 2021 a los 123 actuales.
- Y un 12,5% más de productos huérfanos financiados, hasta lo 63 MM.HH. financiados, 7 más que en 2021.

\* En todo el informe, se incluye Onivyde® dentro del recuento de medicamentos financiados por el SNS a fecha de 31/12/2022, ya que, durante diciembre de 2022, Onivyde® ha sido dado de alta en el Nomenclátor. A pesar de su acuerdo positivo de financiación en 2018, en 2019 la compañía decidió la exclusión del fármaco de la prestación del SNS, motivo por el cual no estaba contabilizado entre los productos financiados y disponibles dentro del SNS presentados en anteriores informes.

## Resumen de la evolución de nuevos MM.HH. 2020-2022

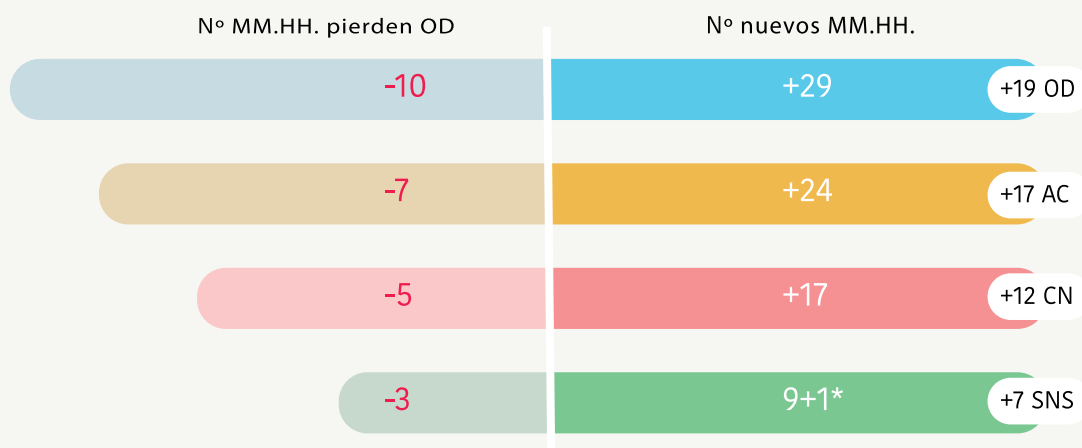
Cuando analizamos la variación anual en cómputo global, en el siguiente gráfico observamos que mientras se alcanzan cifras muy positivas en todos los parámetros comunitarios en el periodo 2020-2022, a nivel nacional los indicadores se mantienen estancados o, incluso, empeoran.



De acuerdo con el gráfico anterior, en 2022:

- Se alcanzó un **máximo de designaciones huérfanas positivas**, con 29 nuevas designaciones totales, 9 más que en 2021.
- Hubo, también, un **máximo de 24 autorizaciones de comercialización**, 5 más que el mejor ejercicio, 2021, cuando se alcanzaron 19 nuevas autorizaciones comunitarias.
- **Se mantuvo el mismo número de nuevos Códigos Nacionales** que en 2021, con 17 nuevos CN.
- Y **descendieron un 36% los nuevos medicamentos financiados**, pasando de 14 en 2021, a 9 en 2022.

## Variación de los indicadores entre 2021 – 2022



En términos relativos, ponderando las designaciones huérfanas caducadas o retiradas y las autorizaciones de comercialización, los Códigos Nacionales o las financiaciones que han sido revocadas, etc., las principales cifras de 2022 son las siguientes:

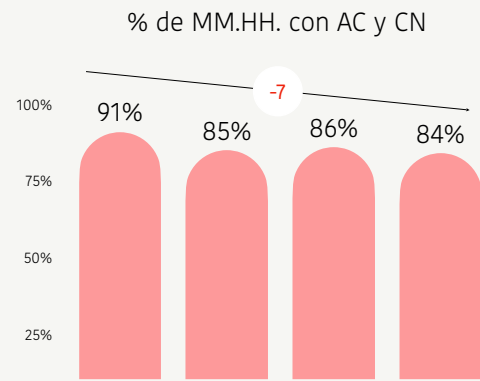
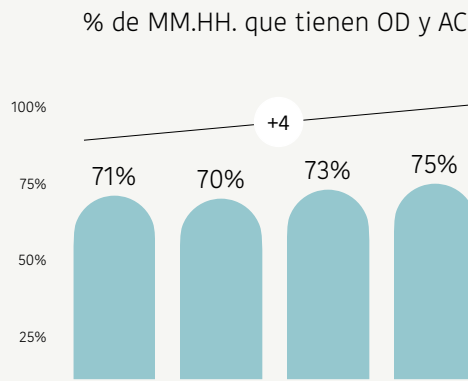
- Hubo 29 nuevas designaciones huérfanas y 10 medicamentos perdieron esta condición, por lo que se produjo un incremento neto de **19 nuevas designaciones positivas**.
- Se otorgaron 24 autorizaciones comunitarias de comercialización, y 7 MM.HH. perdieron la designación huérfana, lo que nos sitúa en **17 nuevas AC netas**.
- 17 nuevos MM.HH. obtuvieron CN en España pero, al mismo tiempo, 5 perdieron la designación huérfana, de modo que hay un incremento neto de **12 nuevos CN**.
- Se aprobó la financiación de 9 MM.HH. y 1 producto se dio de alta nuevamente en el Nomenclátor, mientras 3 MM.HH. perdieron la designación huérfana, por lo que **la cifra de nuevos medicamentos financiados asciende a 7**.



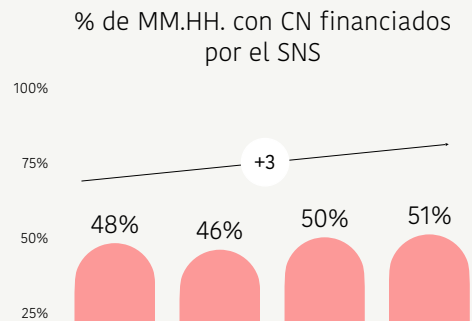
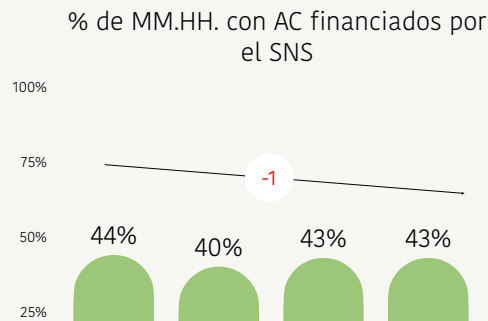
## Comparativa entre indicadores: 2019 – 2022

En total, tal y como reflejan los siguientes gráficos, del 100% de MM.HH. con OD positiva, el **75% tiene autorización de comercialización comunitaria**, lo que representa un incremento del 2% con respecto a las cifras de 2021.

Además, **la proporción de solicitudes de Código Nacional en España disminuye por cuarto año consecutivo**, pasando del 91% del total en 2019 al 84% en 2022, 7 puntos menos.



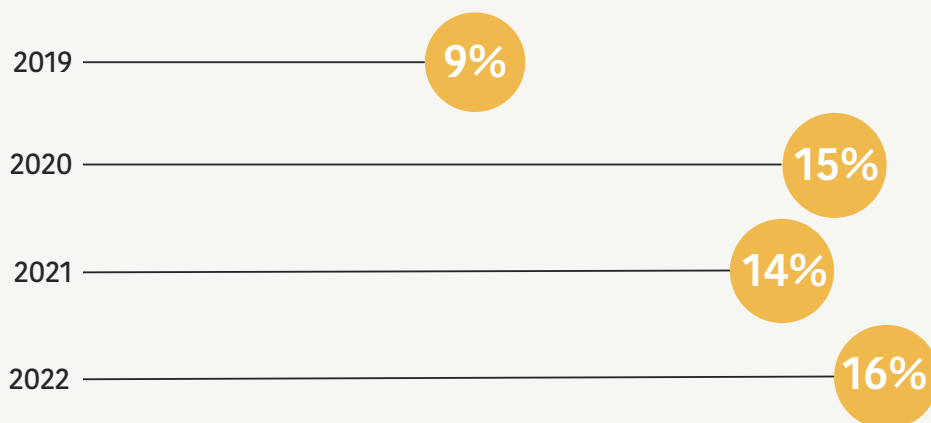
De ellos, el 43% está financiado en nuestro país, idéntico porcentaje que el año anterior, mientras que el **porcentaje de MM.HH. con CN que son financiados por el SNS se mantiene estable, con un leve crecimiento del 50% en 2021 al 51% en 2022.**



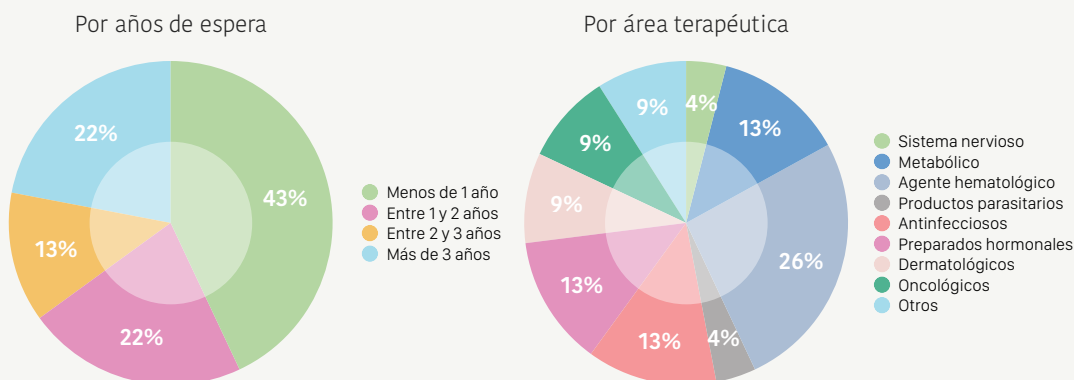
## 05 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS CON AUTORIZACIÓN DE COMERCIALIZACIÓN SIN CÓDIGO NACIONAL EN ESPAÑA EN 2022

A 31 de diciembre de 2022, había 23 MM.HH. con AC que todavía no habían llegado a España (sin CN), lo que representa un **16% de los MM.HH. autorizados a nivel comunitario, la cifra más alta de los últimos cuatro años.**

### % de MM.HH. con AC sin CN 2019-2022



De ellos, el **57% recibieron su autorización de comercialización en la UE hace más de un año** siendo, por área terapéutica, los agentes **hematológicos** (26%), **metabólicos** (13%), **preparados hormonales** (13%) y **antiinfecciosos** (13%), los predominantes. Además, **3 de ellos son terapias avanzadas.**



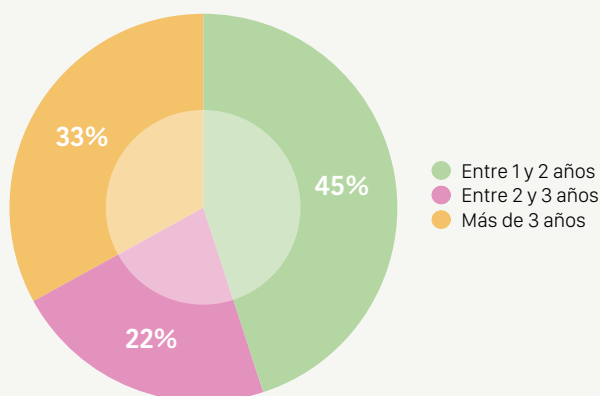
## 06 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS FINANCIADOS EN ESPAÑA DURANTE 2022

En el ejercicio 2022 se financiaron en España 9 nuevos MM.HH.: 2 durante el primer cuatrimestre, 4 en el segundo cuatrimestre y 3 en el tercero.

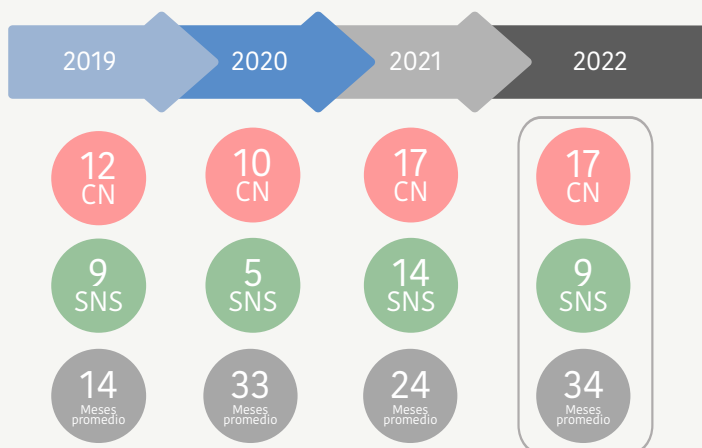
**El tiempo medio transcurrido entre la autorización de comercialización comunitaria de los 9 nuevos productos financiados y la obtención de Código Nacional fue de 8 meses, mientras que el plazo de espera desde el CN a la obtención de la decisión de precio y reembolso positiva superó los 34 meses, 10 más que en 2021 (+42%), el peor registro de la serie 2019-2022.**

Además, de los 9 nuevos productos financiados durante todo 2022, el 100% ha tardado, como mínimo, un año en conseguir precio y financiación; el 43% esperó entre uno y dos años; y el 55% dos años o más.

### Porcentaje de productos financiados en 2022 por años de espera



### Evolución de los nuevos MM.HH. en España y tiempo medio de espera para la financiación \* 2019 – 2022



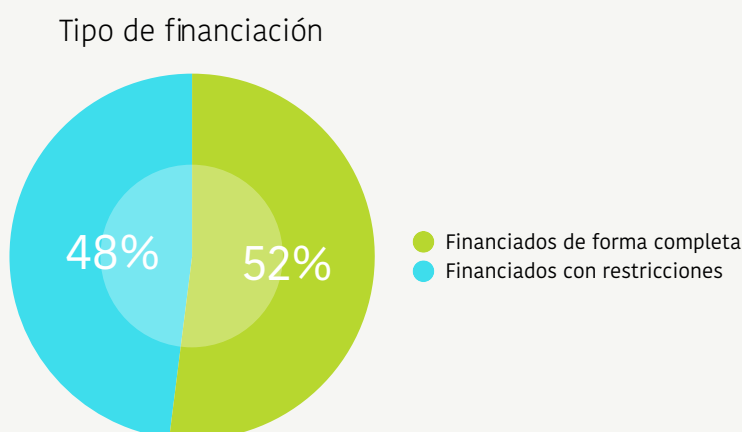
\*Tiempo medio de espera entre la obtención del CN y la fecha de alta en financiación.

Por otro lado, el **60% de los 9 productos nuevos financiados durante 2022 tienen restringida su financiación** (en base a las indicaciones aprobadas por EMA) y el **100% de ellos tienen condicionada su financiación**.

Además, el **56% está sometido a 2 o más condiciones de financiación, todos tienen condiciones de seguimiento**, el 44% (4 de 9) está sometido a coste máximo por paciente y el 22% (2) a techo de gasto.

En total, están financiados en nuestro país un total de **63 MM.HH.**, lo que representa un 51% del total de MM.HH. con CN en España, y el 43% de los que tienen AC a nivel europeo.

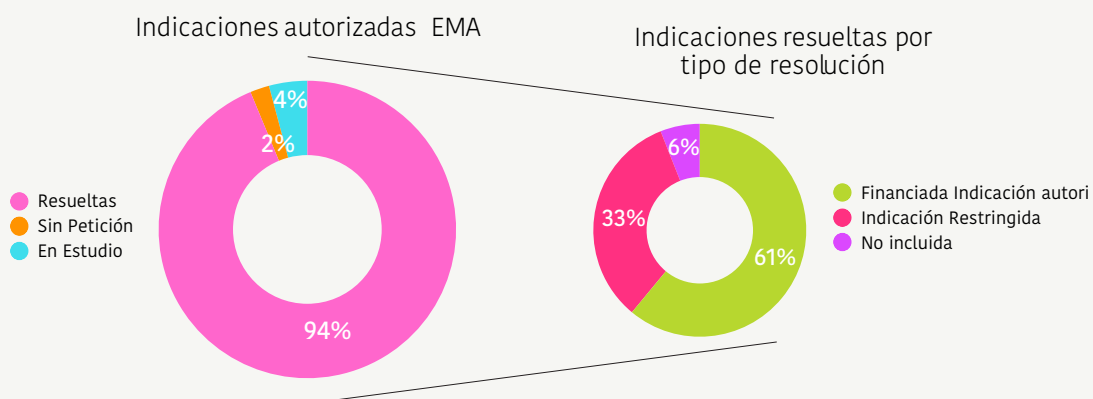
## Detalle criterios y condiciones de los MM.HH. financiados por el SNS durante el 2022



De ellos, como indica el gráfico anterior, el 48% (30) de los 63 MM.HH. que actualmente disponen de una resolución positiva de precio y reembolso en el SNS, **está financiado con restricciones**, ya sea debido a restricciones en la/s indicación/es autorizada/s, o debido a que tienen alguna indicación no financiada.

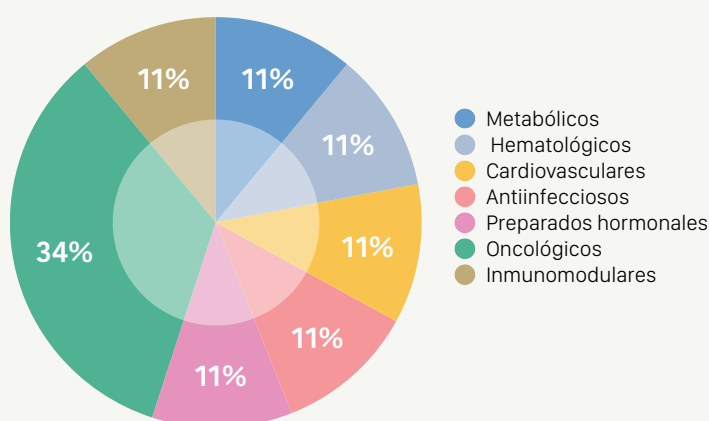
Los **63 MM.HH.** poseen un total de **99 indicaciones autorizadas por la EMA, y, de ellas, 57 están financiadas sin ninguna restricción**, tal y como se detalla en la imagen siguiente:

## Situación de las indicaciones autorizadas de MM.HH. financiados



De los 9 nuevos MM.HH. financiados durante este año, el 34% están indicados para enfermedades oncológicas, y el 66% a enfermedades metabólicas, hematológicas, cardiovasculares, antiinfecciosas y preparados hormonales, entre otros.

## Porcentaje de productos financiados en 2022 por área terapéutica

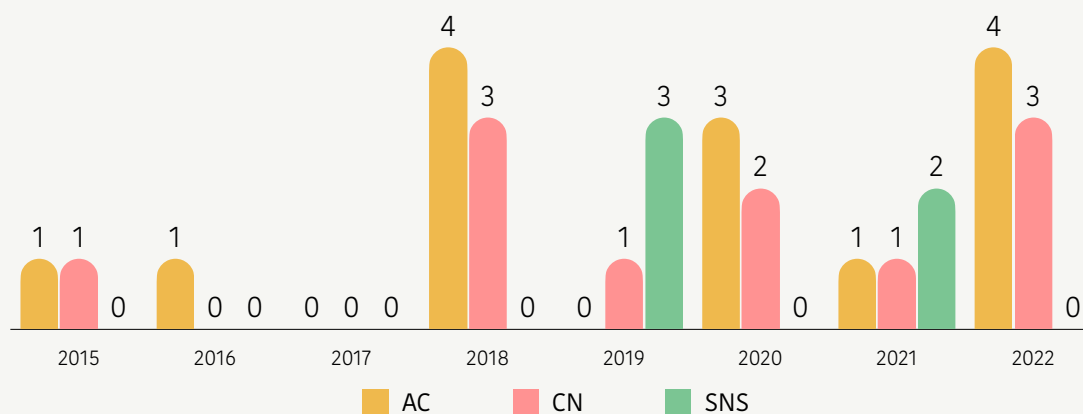


07

## TERAPIAS AVANZADAS CON DESIGNACIÓN HUÉRFANA

Durante 2022, **4 terapias han sido autorizadas en Europa, 3 han obtenido CN, pero ninguna ha sido financiada por el SNS.**

Actualmente 14 terapias avanzadas con designación huérfana tienen autorización de comercialización en la UE, un 79% (11) disponen de Código Nacional, un 12% más que en 2021, mientras que solo un 36% (5) están financiadas por el SNS, lo que supone un descenso de la ratio de terapias financiadas del 6% con respecto al año pasado.



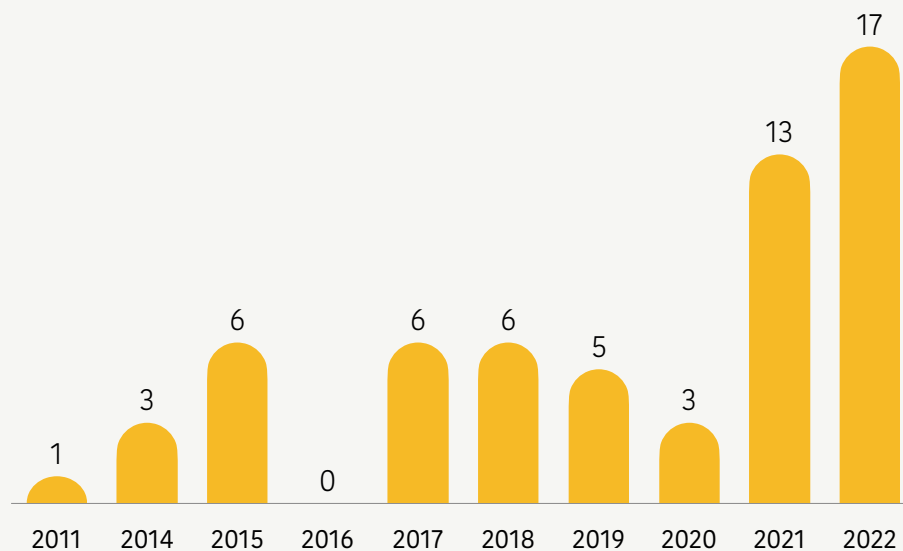
08

## MEDICAMENTOS HUÉRFANOS NO FINANCIADOS

Actualmente hay en España **60 medicamentos huérfanos sin financiar, 5 más que en 2021.**

De estos, un 53% (32) ha recibido una resolución negativa de financiación mientras que el 47% (28) restante o se encuentra en estudio o su financiación no ha sido solicitada todavía.

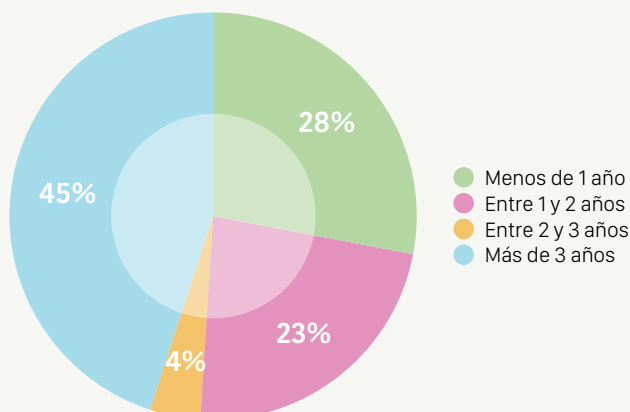
### ■ N° de medicamentos huérfanos sin financiar en España por año de CN



Tal y como refleja el gráfico adjunto:

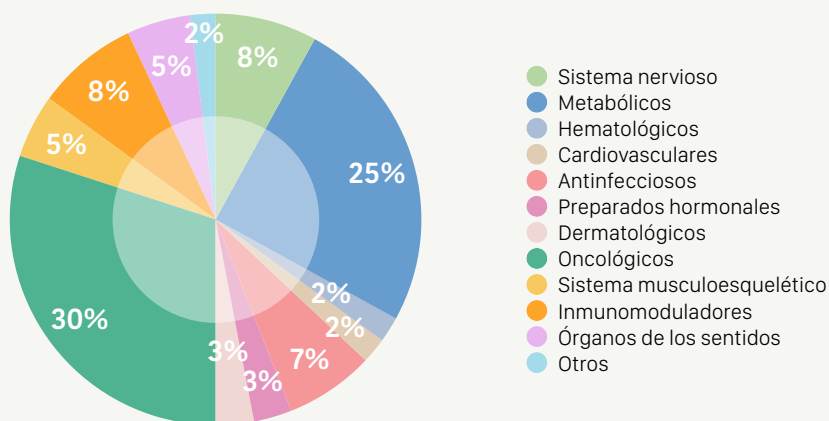
- **El 17%** (10 MM.HH.) llevan esperando financiación pública desde el periodo **2011-2015**.
- **El 55%** (33 MM.HH.) con CN en el periodo **2017-2021** continúan sin financiación por el SNS.
- **El 28%** (17 MM.HH.) recibió CN en **2022**.

## MM.HH. sin financiar por años de espera



Además, **cerca de la mitad (45%) de los MM.HH. con CN sin financiación llevan esperando más de 3 años para su incorporación al SNS**, mientras que solo un 28% lleva menos de un año en esta situación.

## MM.HH. sin financiar por área terapéutica



De los MM.HH. no financiados, un 30% son para enfermedades oncológicas, un 25% metabólicos y un 8% inmunomoduladores, entre otros.



## 09 PRINCIPALES CONCLUSIONES DEL INFORME

- 01 **Para AELMHU, los datos de acceso de los MM.HH. en 2022 reflejan que el futuro de las terapias huérfanas en la UE es, cada vez, más positivo**, lo que representa una extraordinaria noticia para todos aquellos pacientes y familias que todavía no han encontrado un diagnóstico o tratamiento para sus patologías y miran a la innovación farmacéutica con gran esperanza.
- 02 En el último año **han mejorado todos los parámetros comunitarios**, con máximos históricos tanto en nuevas designaciones huérfanas (29) como en autorizaciones de comercialización (24), lo que ha elevado la cifra de productos con designación huérfana positiva hasta los 195 y con autorización de comercialización hasta los 146.
- 03 En cambio, **las cifras a nivel de España no son tan positivas**: disminuye el porcentaje de solicitudes de Código Nacional con respecto al total de MM.HH. autorizados a nivel europeo, desciende el número de nuevos MM.HH. financiados con respecto a 2021 y, sobre todo, **aumenta de forma preocupante el tiempo de espera hasta alcanzar una resolución positiva de precio y reembolso en el SNS**.
- 04 Es cierto que, **en términos de financiación, el porcentaje de MM.HH. financiados por el SNS con respecto al total de autorizaciones europeas, se mantiene estable en el 43%**: España financia 4 de cada 10 MM.HH. aprobados por la UE. Sin embargo, mientras en 2021 se aprobó la financiación de 14 nuevos productos, en 2022 solo se han financiado 9 nuevos MM.HH. lo que supone un descenso notable en las decisiones positivas de precio.
- 05 Además, el 60% de los 9 productos nuevos financiados durante 2022 tienen **restringida su financiación** (en base a las indicaciones aprobadas por EMA) y el 100% de ellos la tienen **condicionada**: el 56% están sometidos a 2 o más **condiciones de financiación**, todos tienen **condiciones de seguimiento**, el 44% (4 de 9) está sometido a **coste máximo por paciente** y el 22% (2) a **techo de gasto**.
- 06 Por otro lado, a fecha 31 de diciembre de 2022, **había 23 MM.HH. aprobados a nivel europeo que no disponían de CN en España**, un 16% del total de los autorizados en la UE, la cifra más alta de los últimos 4 años. De ellos, el 57% lleva más de un año autorizado sin que haya accedido todavía a nuestro mercado, lo que demuestra **una menor disponibilidad de innovaciones relevantes para los pacientes españoles**.
- 07 Asimismo, a pesar de que estos desarrollos son el futuro de la atención sanitaria, particularmente en el ámbito de las EE.RR., **en el año 2022 España no ha financiado ninguna terapia avanzada con designación huérfana**. Y de las 14 terapias con autorización de comercialización en la UE, un 79% (11) disponen de Código Nacional, un 12% más que en 2021, pero solo un 36% (5) están financiadas por el SNS, lo que representa un descenso del 6% con respecto al año pasado.
- 08 Parece que uno de los elementos que más influye en esta situación son los **dilatados tiempos de espera que, lejos de mejorar, aumentaron un 42% en el último ejercicio**. A día de hoy, el tiempo promedio entre el CN y la financiación de un producto huérfano supera en **España los 34 meses, casi 3 años**, muy lejos de los 6 meses deseables como tiempo medio máximo para la aprobación y financiación.
- 09 En este momento, **60 medicamentos huérfanos se encuentran sin financiar en nuestro país, 5 más que en 2021, de los cuáles cerca de la mitad (45%) lleva esperando más de 3 años** para su incorporación al SNS.

## 10 VALORACIÓN Y RECOMENDACIONES AELMHU

01

Los datos de acceso de los MM.HH. del año 2022 nos llevan a demandar, una vez más, que **España debería ser capaz de agilizar los procesos de aprobación de MM.HH.**, sobre todo porque su eficacia ya ha sido acreditada por la Agencia Europea del Medicamento (EMA).

02

AELMHU lleva muchos años defendiendo **el valor sanitario, pero también económico y social que proporcionan los tratamientos huérfanos para los pacientes con EE.RR., desde la convicción de que la innovación es un activo tangible para toda la sociedad y un proyecto de futuro y de país.**

03

En este sentido, superado lo peor de la crisis sanitaria originada por el COVID-19, y en un año tan importante para España, **la aceleración en la investigación y desarrollo de nuevos medicamentos huérfanos representa una gran oportunidad** que debería estimular la suma de esfuerzos para situarnos en primera línea en eficiencia, capacidad de respuesta y atractivo.

04

**Es preciso seguir profundizando en numerosos aspectos** como el reconocimiento del valor económico y social que aporta la investigación farmacéutica sobre nuevos productos e indicaciones, la equidad en el acceso a esos tratamientos, la agilización de procesos burocráticos, la mejora del proceso de evaluación, etc., y dotar de mayor certidumbre, transparencia y participación a todo el trámite de aprobación, entre otras cuestiones.

05

**AELMHU quiere reiterar su invitación para que todos juntos** -industria, pacientes, comunidad científica, profesionales y decisores públicos- **aunemos fuerzas con el fin de encontrar soluciones que mejoren la calidad de vida de todas aquellas personas que padecen una enfermedad minoritaria.**

06

Por ello, y tal y como le hemos planteado al Ministerio de Sanidad en un [documento de recomendaciones](#) con motivo de la Consulta Pública Previa sobre el Anteproyecto de Ley que modifica el Texto Refundido de la Ley de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos y Productos Sanitarios, queremos realizar una **batería de propuestas** en las siguientes materias:

- **Financiación y fijación de precios de los MM.HH. y su inclusión en la prestación farmacéutica del SNS**, con el fin de aportar certeza, agilidad y una mayor transparencia en los procesos.
- **Evaluación de los medicamentos**, para favorecer soluciones consensuadas que permitan compartir información de forma ágil, establecer un procedimiento predecible de presentación, resolución e información de alegaciones e incrementar la **participación de los pacientes y los clínicos**.
- **Financiación ligada a resultados clínicos y a resultados financieros**, estimulando una mayor transparencia y gobernanza, que permita homogeneizar la disparidad territorial existente y facilitar la recogida de datos.
- **Sistema de Precios de Referencia**, mediante la exclusión de los MM.HH.
- **Agilización en el acceso**, con nuevos mecanismos que reflejen las propias especificidades de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos, así como la necesidad de incentivarlos, en consonancia con las previsiones del Reglamento europeo de MM.HH.

- **Incorporación de los aprendizajes que nos ha dejado la pandemia**, en cuanto a agilización de procesos de autorización y comercialización, uso de soluciones digitales para ensayos clínicos, presentaciones regulatorias, atención domiciliaria y colaboración público-privada.
- **Dotación suficiente** de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) para que pueda desarrollar su labor con agilidad y garantías.
- **Asegurar la equidad en el acceso entre diferentes Comunidades Autónomas.**
- **Incentivos a la innovación** farmacéutica y **apoyo a la transformación digital** del sector.

## 11 BIBLIOGRAFÍA

- 01 [Medicamentos con designación huérfana positiva de la Agencia Europea del Medicamento](#)
- 02 [Registro Comunitario de Medicamentos Huérfano](#)
- 03 [Medicamentos Huérfanos autorizados por la AEMPS](#)
- 04 [Medicamentos Huérfanos financiados por el SNN \(Nomenclátor\)](#)
- 05 [Acuerdos Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos](#)

## 12 ACRÓNIMOS

- AC:** Autorización de Comercialización.
- AEMPS:** Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios.
- CHMP:** Comité de Medicamentos de Uso Humano.
- CN:** Código Nacional.
- COMP:** Comité de Medicamentos y Productos Huérfanos.
- CIPM:** Comisión Interministerial de Precios de Medicamentos.
- EE.RR:** Enfermedades Raras.
- EMA:** Agencia Europea del Medicamento.
- MM.HH.:** Medicamentos Huérfanos.
- OD:** Orphan Designation.
- SNS:** Sistema Nacional de Salud.
- UE:** Unión Europea.

# aeLmhu

asociación española de laboratorios de  
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

[comunicacion@aelmhu.com](mailto:comunicacion@aelmhu.com)



Resumen ejecutivo elaborado por:



LASKER

Informe elaborado por:



Arte: *Unmaculada Cagliostro*  
+++23MONALISAS