

## DÍA MUNDIAL DEL ENSAYO CLÍNICO

Informe de AELMHU sobre Ensayos Clínicos en Enfermedades Raras en España

### Uno de cada cuatro ensayos clínicos en España investiga enfermedades raras

- Se autorizaron 233 ensayos en el ámbito de las patologías minoritarias, alcanzando un máximo histórico tras crecer un 3% respecto a 2021
- 4.207 personas participaron en ensayos sobre enfermedades raras, un 9% del total de participantes en los ensayos clínicos en toda España
- Los fenómenos genéticos fueron el área terapéutica con mayor crecimiento
- España consolida una posición relevante en el terreno de la investigación clínica

**Madrid, 19 de mayo de 2023.**- Uno de cada cuatro Ensayos Clínicos (EE.CC.) autorizados en España en 2022 investigó Enfermedades Raras (EE.RR.), aumentando un **3%** respecto a 2021 y marcando un máximo histórico con **233 ensayos** dedicados a estas patologías minoritarias. Así lo reflejan los resultados del Informe Anual sobre Ensayos Clínicos en España realizado por la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (**AELMHU**) con motivo de la celebración del Día Internacional del Ensayo Clínico el 20 de mayo.

Según este estudio, en 2022 se ha mantenido por tercer año consecutivo una **tendencia creciente en el porcentaje de ensayos centrados en las patologías poco frecuentes**, a pesar de que el cómputo global de EE.CC. autorizados en España descendió un 8%, pasando de los 996 en 2021 a los 923 en el año siguiente.

En cuanto a la participación, aunque se experimentaron descensos en ambos casos, en los ensayos centrados en EE.RR. esta disminución apenas alcanzó un 5%, pasando de 4.436 participantes en 2021 a 4.207 en 2022, representando un 9% del total. En el conjunto de ensayos autorizados, el número de participantes descendió un 30% respecto al año anterior, pasando de 65.504 en 2021 a los 46.087 en 2022.

Sobre las áreas terapéuticas que han abordado los ensayos en EE.RR. destaca la investigación en oncología que acumula un 24%, en sistema nervioso que suma un 12%, en hematología con un 10% y en sistema inmunitario que supone otro 10%.

Sin embargo, en términos de crecimiento, destacan especialmente las investigaciones sobre **fenómenos genéticos al experimentar un aumento del 80% respecto al año anterior**, con 10 ensayos clínicos en este campo.

Con relación a la distribución territorial hay que subrayar que todas las Comunidades Autónomas, a excepción de La Rioja, han participado en alguno de los 233 EE.CC. en patologías minoritarias, destacando **Cataluña** con un total de 200 ensayos, seguida de **Madrid** con 175, y **Andalucía** y **Valencia**, ambas interviniendo en 98 ensayos, teniendo en cuenta que se trata de **estudios multicéntricos**.

Por otro lado, según los datos de AELMHU basados en el Registro Español de Estudios Clínicos (REEC), dependiente de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), se vuelve a poner de manifiesto que **la industria farmacéutica es la principal impulsora de los ensayos clínicos en enfermedades raras en España**. De los 233 ensayos, el 97% fueron promovidos por estas compañías, evidenciando un claro compromiso por la investigación en este ámbito y pese a las diferentes dificultades que entraña el sector como, por ejemplo, el reclutamiento de pacientes. De hecho, en los últimos 5 años, **los asociados de AELMHU han puesto en marcha un total de 186 ensayos clínicos**.

El Informe Anual sobre ensayos clínicos de AELMHU evidencia que **la investigación en España en el ámbito de las patologías minoritarias se encuentra en un buen momento** y que la **apuesta por la innovación del conjunto del sector** permite mantener un optimismo razonable que debe contribuir a mejorar la situación de las personas y familias afectadas por estas enfermedades poco frecuentes.

España ha consolidado una posición relevante en este terreno de investigación clínica que sigue una línea ascendente. Por eso, AELMHU mantiene su compromiso por seguir impulsando el conocimiento de las enfermedades raras, mediante el diálogo y la colaboración entre todos los agentes –sociedades científicas, asociaciones de pacientes, Administraciones públicas, etc.– para unir esfuerzos por el bienestar de los más de tres millones de personas que padecen una enfermedad poco frecuente en España y para promover el reconocimiento del valor terapéutico y social de los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.).

## 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, Argenx, Biocryst, Biomarin, Chiesi, CSL Behring, Ferrer, GenSight Biologics, Horizon, Insmad, Ipsen, Jazz Pharmaceuticals, Kyowa Kirin, Novartis, PTC Therapeutics, Sanofi, SOBI, Takeda, UCB, Ultragenyx y Vertex Pharmaceuticals.