

Memoria
ANUAL
2022
aeImhu

ÍNDICE

01 Carta de la Presidenta

02 Órgano de Gobierno

Cambios en la Asociación
Nuevos asociados
Reuniones del Órgano de Gobierno

03 Actividades

Informes
Encuentros AELMHU
Jornada formativa para
informadores de la salud

04 Grupos de trabajo

05 Relaciones institucionales

Participación en consultas públicas
Reuniones institucionales

06 Actividades externas

Eventos y jornadas
Congresos
Galardones y distinciones

07 Comunicación

Prensa
Entrevistas
Digital

08 Premios AELMHU- 2022

Categorías
Miembros del jurado
Fallo del jurado
Acto de entrega

01 Carta de la Presidenta



Cuando apenas habíamos recuperado la sensación de cierta normalidad tras la pandemia, 2022 se ha revelado como un año lleno de sobresaltos y cambios que han requerido de nuevos esfuerzos de adaptación. Guerra de Ucrania, crisis e inflación, entre otros, han contribuido a generar un clima generalizado de incertidumbre con el que hemos tenido que aprender a convivir. Un año complejo para todos que, sin embargo, nos ha permitido en AELMHU avanzar de forma muy significativa en los grandes retos de transformación y mejora que nos habíamos marcado.

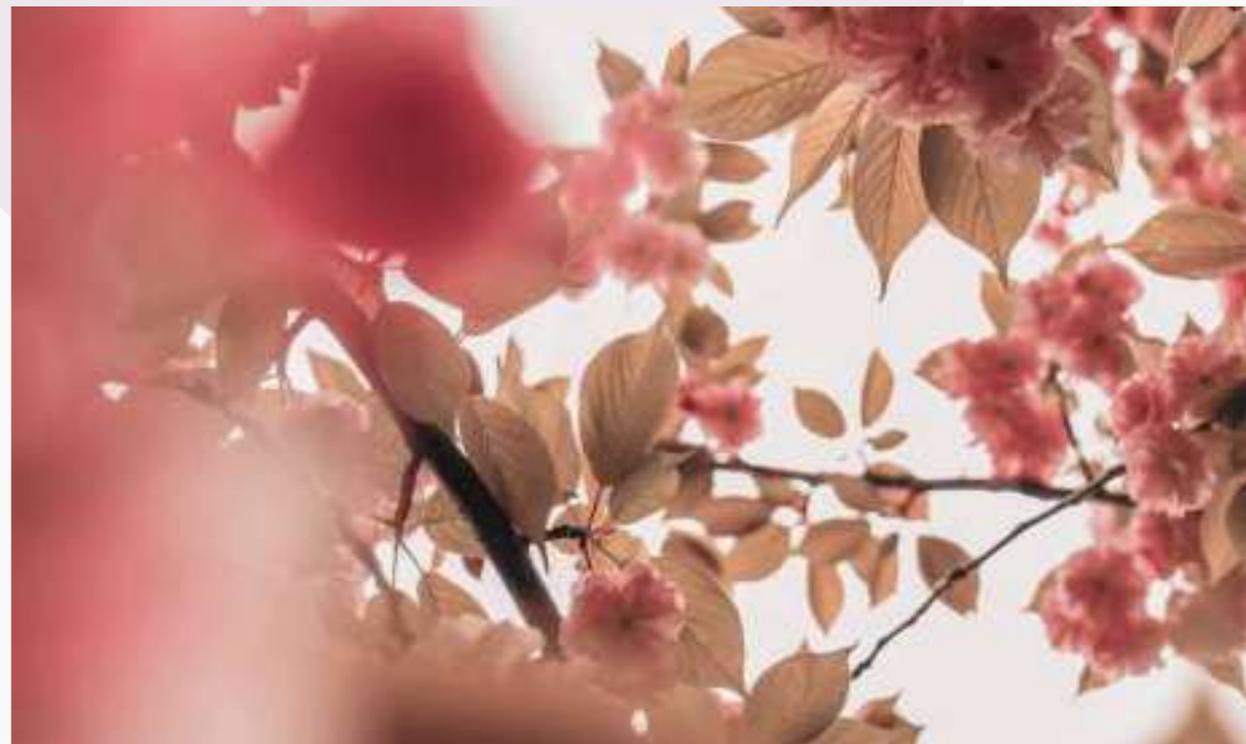
De hecho, el año 2022 se ha saldado con un balance netamente positivo en la mayoría de los terrenos. Especialmente porque hemos avanzado en cohesión, apoyos y colaboración con diferentes entidades que comparten con nosotros el objetivo de mejorar la calidad de vida de pacientes con patologías raras y ultrarraras y sus familias.

Hemos conseguido consolidar proyectos e iniciativas que han reforzado aún más nuestra posición como entidad de referencia respecto a la evolución de los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) en nuestro país. La publicación y difusión del Informe Anual de Acceso a los Medicamentos Huérfanos en España 2022 de AELMHU nos ha permitido afianzar nuestra posición y nuestra capacidad de interlocución con los diferentes expertos, agentes y decisores clave.

A este informe central, que constituye ya una referencia sobre la evolución de estos fármacos en nuestro país, se han sumado nuevos proyectos como la elaboración del primer Análisis de los Informes de Posicionamiento Terapéutico de MM.HH. o los informes e indicadores sobre ensayos clínicos que han permitido generar datos de especial valor para fomentar el debate y favorecer el desarrollo de un modelo cada vez más eficaz enfocado en poner la ciencia y la investigación al servicio de los pacientes.

La actividad desplegada en los Grupos de Trabajo, creados hace apenas doce meses, también ha jugado un papel relevante en el análisis de temáticas y retos relevantes para el sector, como las terapias avanzadas, la participación en consultas públicas de diferentes desarrollos normativos tanto nacionales como europeos o el análisis de los procesos de evaluación de los medicamentos huérfanos en nuestro país, que han permitido compartir conocimientos y puntos de vista entre expertos y los asociados de AELMHU, como fórmula para enriquecer el debate.

En este sentido, durante el año también se han celebrado nuevos encuentros y actividades de formación, como la Jornada sobre 'Enfermedades Raras en España: retos comunes y proyecciones de futuro' celebrada en Madrid con el objetivo de seguir promoviendo el debate e



intercambio de posiciones con las instituciones y entidades con las que compartimos objetivos de mejora.

Durante este año, los resultados de los esfuerzos de investigación de las empresas farmacéuticas y biotecnológicas han permitido seguir incrementando de forma muy sustancial las posibilidades terapéuticas disponibles en Europa en el terreno de las Enfermedades Raras (EE.RR.) y ultrarraras, como reflejan los datos de nuevas aprobaciones de la Agencia Europea del Medicamento. La definitiva irrupción de terapias avanzadas y los nuevos desarrollos en diferentes áreas terapéuticas refuerzan una visión esperanzadora y positiva para pacientes y familiares de este tipo de patologías.

En el ámbito nacional, AELMHU continuará aportando su disposición, conocimientos y colaboración para seguir contribuyendo a mejorar un modelo que facilite y agilice, en todo lo posible, la disponibilidad de estas innovaciones para incrementar los recursos terapéuticos del colectivo médico frente a estas enfermedades.

En definitiva, 2022 ha sido un año complejo y con sobresaltos, pero globalmente positivo para la evolución de AELMHU. Se han generado datos que ayudan a enriquecer el debate y las potenciales líneas de mejora. Se ha incrementado la visibilidad y el debate en torno a las enfermedades raras y sus necesidades. Se ha consolidado la posición de AELMHU como interlocutor de referencia en este ámbito especializado. Y se han consolidado iniciativas y colaboraciones en un contexto realmente esperanzador por los notables avances científicos que se están consiguiendo.

Por eso, en nombre de todas las compañías que forman parte de AELMHU, es momento de trasladar también nuestro agradecimiento a asociaciones de pacientes, comunidad científica, instituciones y expertos por su disposición y colaboración en los objetivos que compartimos.

También quisiera aprovechar la oportunidad que me brinda este espacio para, en nombre propio y en calidad de presidenta, dar las gracias, de corazón, a todos y cada uno

de los asociados de AELMHU que muestran, cada día, su compromiso con la Asociación y trabajan con entusiasmo e ilusión por impulsar el conocimiento sobre las patologías minoritarias en nuestro país.

Los retos, la rapidez con la que se suceden los cambios y las aportaciones científicas y la complejidad de un entorno como las enfermedades raras y ultrarraras, exigen el máximo esfuerzo por parte de todos los agentes y entidades que participamos de este sector para transformar las esperanzas en resultados concretos para un colectivo tan vulnerable.

AELMHU cumple ya más de una década de vida y con cada nuevo año, con cada nuevo balance, con cada nuevo proyecto, seguiremos perseverando en este esfuerzo de mejora continua en torno a la aportación del valor terapéutico y social de los medicamentos huérfanos en España. Pero, sobre todo, continuaremos comprometidos con la investigación y el desarrollo de terapias innovadoras para mejorar la calidad de vida de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultrarraras porque mejorar su situación y la de sus familias es nuestra verdadera razón de ser.

Muchas gracias.

María José Sánchez Losada

Presidenta de AELMHU.

Órgano 02 de Gobierno

1. CAMBIOS en la ASOCIACIÓN

La Junta Directiva

En mayo de 2022, la presidenta de AELMHU, María José Sánchez Losada, **fue reelegida** para un nuevo mandato en las elecciones celebradas tras finalizar los dos años regulares establecidos en los estatutos de la Asociación. Esta reelección supone el **apoyo unánime** por parte de la Asamblea General a la gestión desarrollada con anterioridad a esta fecha y a las políticas impulsadas por la Asociación para 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.

Con esta reelección, la Junta Directiva quedó constituida de la siguiente forma:



Mª José Sánchez Losada

PRESIDENTA

Directora general de CSL Behring en España y Portugal



José Luis Moreno Sánchez

VICEPRESIDENTE

Director general de Ultragenyx en España y Portugal



David Moreno Alforcea

SECRETARIO Y VOCAL

Director general de PTC Therapeutics en España*



Sergio Bullón Avendaño

TESORERO Y VOCAL

Director general de Alnylam Pharmaceuticals en España



Jordi Casals Ferragut

VOCAL

Director general de Amryt Pharma en Iberia



Beatriz Perales Zamorano

VOCAL

Directora de Acceso al Mercado, Relaciones Institucionales y Comunicación para Sobi Iberia**

*Dejó de ser miembro de la Junta en diciembre de 2022

**Se incorporó a la Junta Directiva en sustitución de Jordi Casals Ferragut tras la celebración de la Asamblea ordinaria en septiembre de 2022.

El renovado proyecto impulsado por este equipo supuso **revalidar y fortalecer el plan estratégico iniciado dos años atrás, contemplando el conocimiento, la innovación y la eficiencia como pilares esenciales, para seguir promoviendo el reconocimiento del valor terapéutico y social de los medicamentos huérfanos**, en un entorno tan especializado y complejo como son las enfermedades raras y ultrarraras.

Por otro lado, también es necesario poner en valor y agradecer la gran labor que hicieron los anteriores miembros de la Junta Directiva. Este es el caso de **Jorge Capapey**, actual **director comercial CEMEA en Alnylam**, que ejerció como presidente y vicepresidente de la Asociación; y **Leticia Beleta**, **directora general de Alexion AstraZeneca Rare Disease en España**, que también ocupó una de las vicepresidencias.



2. NUEVOS ASOCIADOS

Durante el año 2022, AELMHU **aumentó un 22% el número de asociados**, alcanzando por primera vez la cifra de 22 empresas asociadas.

Por orden cronológico, estas incorporaciones fueron protagonizadas por **Ferrer**, multinacional farmacéutica española especializada en la pulmonología vascular, la enfermedad intersticial y los desórdenes neurológicos; **GenSight Biologics**, compañía biofarmacéutica francesa especializada en desarrollar terapias génicas para enfermedades neurodegenerativas de la retina y enfermedades del sistema nervioso central; **UCB**, compañía biofarmacéutica belga focalizada, sobre todo, en el campo de la neurología y la inmunología; y **BioCryst**, empresa biotecnológica que, mediante la combinación de la biología tradicional y la química médica, investiga las proteínas diana asociadas a patologías concretas, sobre todo, el angioedema hereditario.



3. REUNIONES *del* ÓRGANO *de* GOBIERNO

La Asamblea, órgano de gobierno, celebró 4 reuniones a lo largo de 2022, tanto de forma presencial como online, para tratar los asuntos de interés y actualidad para la Asociación:

DÍA	MES	CONVOCATORIA	TEMAS TRATADOS	FORMATO
10	Marzo	Reunión actualización	Actualización trimestral trabajo	On line
19	Mayo	1ª Asamblea General	Aprobación cuentas, actualización reglamento y elecciones Junta Directiva	Mixto- Presencial en Madrid
15	Septiembre	Asamblea Extraordinaria	Actualización trimestral trabajo y votación nuevo miembro de la Junta	On line
29	Noviembre	Asamblea Ordinaria	Actualización anual trabajo, presupuesto y objetivos estratégicos	Mixto- Presencial en Barcelona

03 Actividades

1. INFORMES

El firme compromiso de AELMHU por descubrir, investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras que mejoren la vida de los pacientes y sus familias es la razón de su existencia. Y, para ello, la Asociación, como no puede ser de otra manera, promueve la elaboración y difusión de información útil, veraz y objetiva que refleja los datos de la realidad que rodea y atañe a los medicamentos huérfanos en varias vertientes.

En este sentido, 2022 ha sido un año muy activo y completo para la Asociación ya que ha realizado un **total de ocho informes**. De ellos, cinco (acceso, ensayos clínicos e IPT) se han difundido a sus stakeholders a través de diferentes canales, consolidándose como documentos de referencia en el sector de las enfermedades raras.

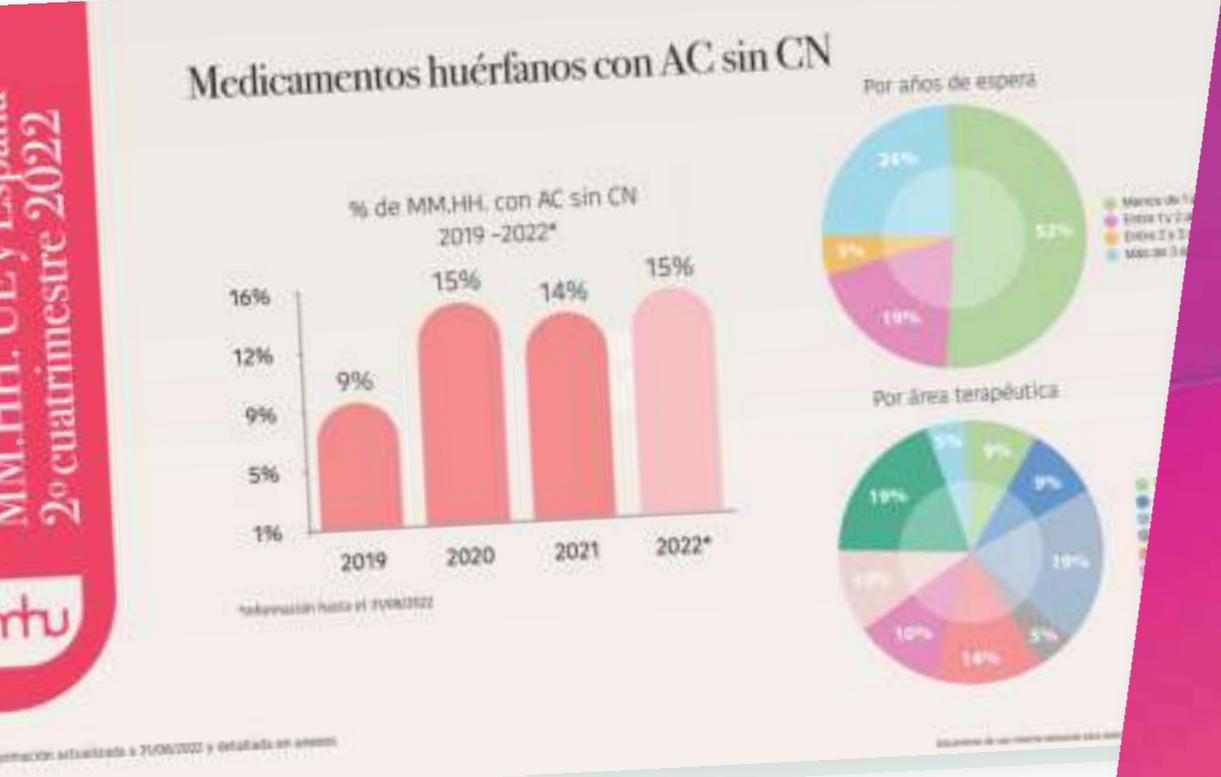
“La Asociación, promueve la elaboración y difusión de información útil, veraz y objetiva que refleja los datos de la realidad que rodea y atañe a los medicamentos huérfanos en varias vertientes”

RESUMEN
EJECUTIVO

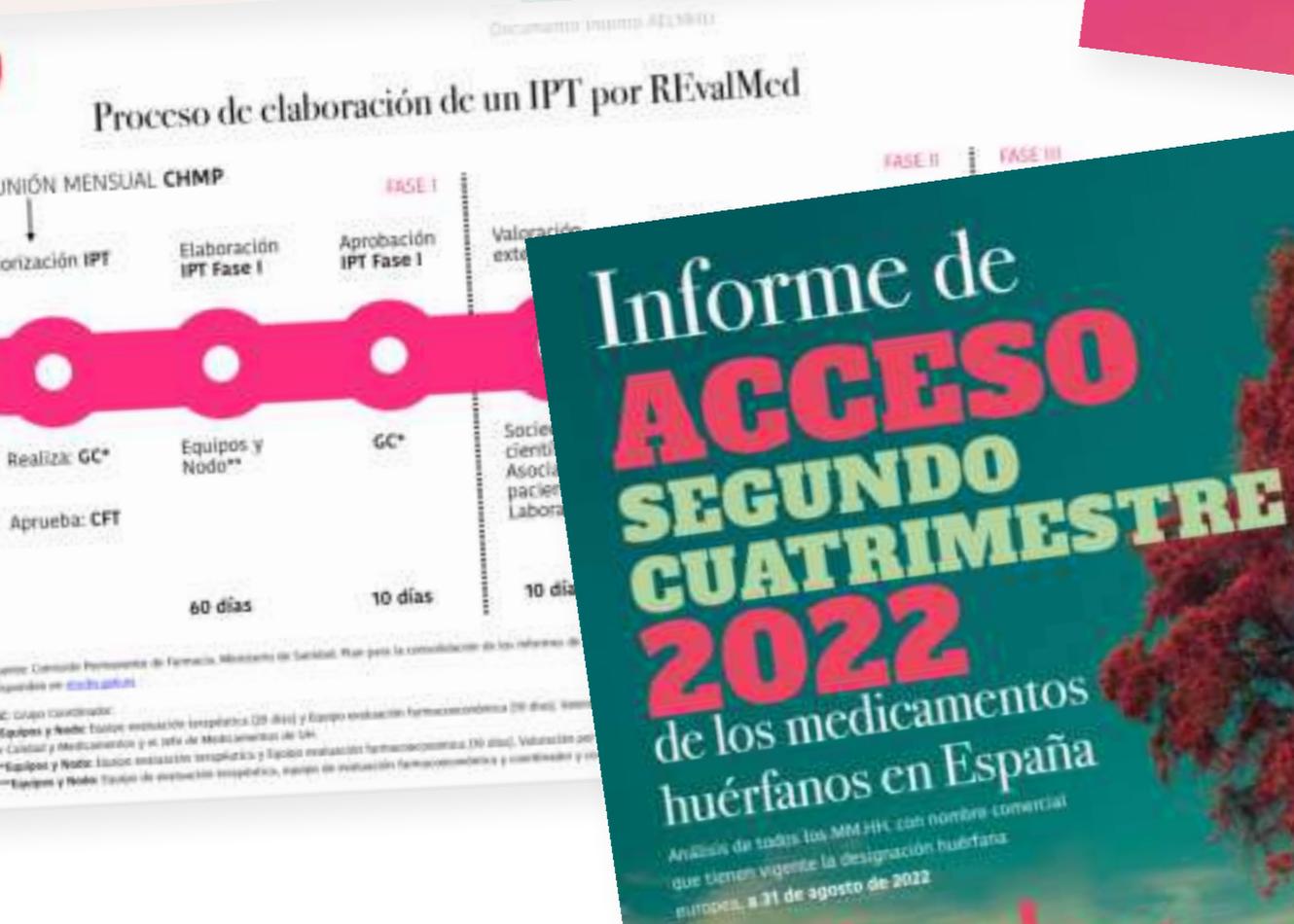
Informe de
ACCESO
2021

de los medicamentos
huérfanos en España

aelmhu



Informe de los INFORMES de POSICIONAMIENTO TERAPÉUTICO 2013-2022*



Informe de ACCESO PRIMER CUATRIMESTRE 2022 de los medicamentos huérfanos en España

Informe de ACCESO PRIMER CUATRIMESTRE 2022 de los medicamentos huérfanos en España

análisis de todos los MM.HH. con nombre comercial que tienen vigente la designación huérfana europea, a 30 de abril de 2022

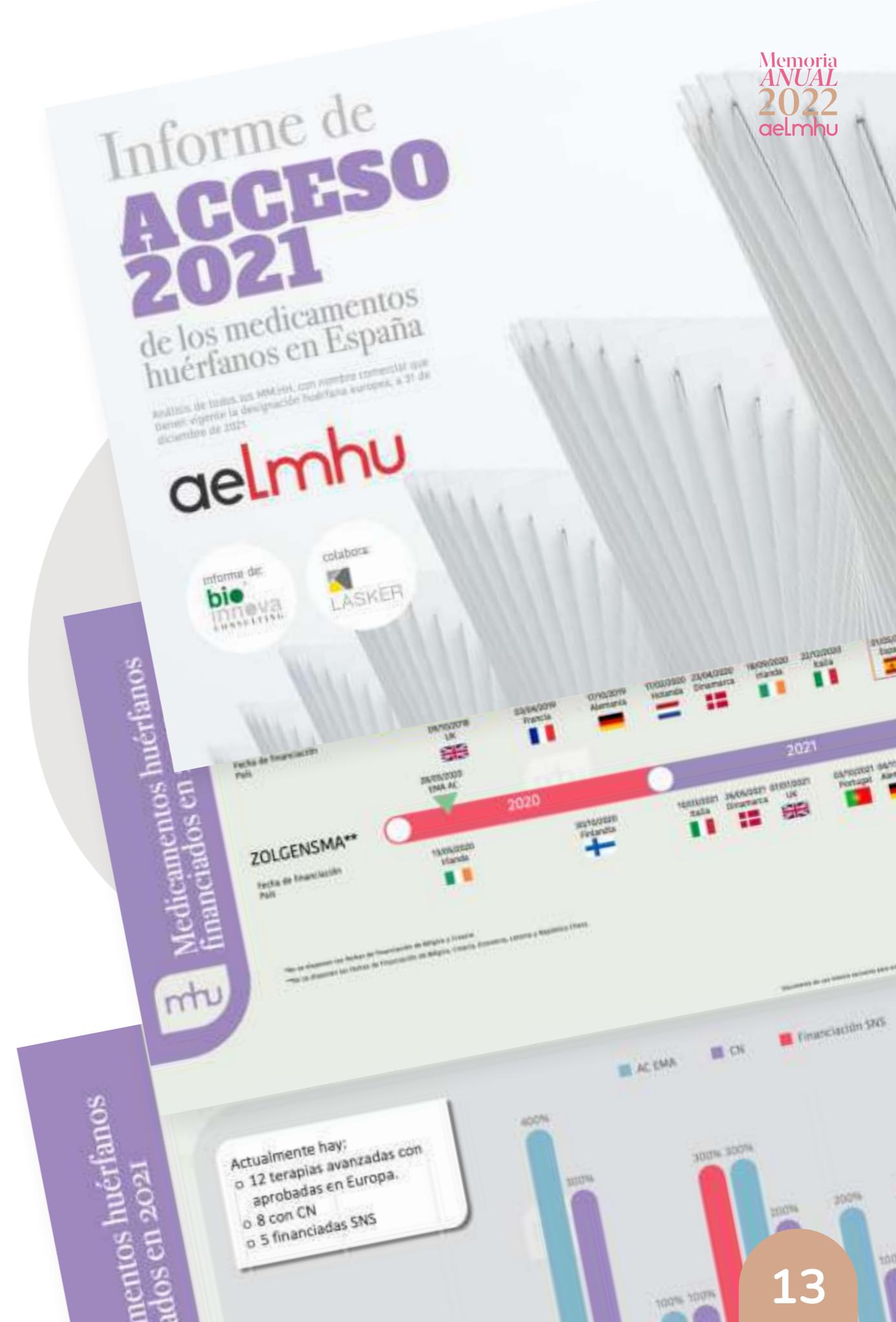
aelmhu

Los informes a destacar son:

1.1 *Informes de Acceso*

Desde su origen, AELMHU ha mantenido como uno de sus objetivos esenciales mejorar y agilizar la disponibilidad de la innovación farmacéutica para todos los pacientes con EE.RR. en España, contribuyendo al desarrollo y mejora de un sector tan sensible como especializado.

En este contexto, la generación de información objetiva, la aportación de datos, el análisis de evolución y las referencias internacionales en diferentes aspectos relacionados con el desarrollo de este sector, han representado uno de los elementos más relevantes de las actividades de la Asociación. Esta actividad se concreta en el desarrollo de un informe anual de acceso, elaborado con datos a 31 de diciembre de cada año, complementado con dos informes cuatrimestrales, **que se han consolidado como una referencia de la situación de los MM.HH. en España**, con indicadores comparativos respecto a la evolución en Europa, incluyendo variables clave como los tiempos de aprobación y financiación nacionales.





Los informes recogen 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 Sistema Nacional de Salud (SNS).

Además de estos datos, **este año se han incorporado nuevos indicadores y referencias** sobre las condiciones especiales de autorización de la EMA, incluyendo datos sobre medicamentos aprobados bajo circunstancias excepcionales, aprobación condicional, evaluación acelerada o aquellos que cuentan con seguimiento adicional.

La relevancia de este Proyecto se ha constatado aún más en 2022 experimentando un **notable incremento de descargas y de peticiones** por parte de expertos, líderes de opinión, comunidad científica, asociaciones e instituciones de diferentes ámbitos, incluyendo también una gran repercusión a través de los medios de comunicación que ha contribuido a estimular un debate necesario para seguir mejorando el modelo de acceso y la operativa en el ámbito nacional.

LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN ESPAÑA INFORME DE ACCESO SEGUNDO CUATRIMESTRE 2022

aelmhu
Asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

Situación del acceso de los medicamentos huérfanos (MM.HH.) con nombre comercial, con designación huérfana vigente a 31 de agosto de 2022

MM.HH. EN LA UE Y ESPAÑA

182
Productos con nombre comercial y designación huérfana

138
MM.HH. con autorización de comercialización (AC)

117
Tienen Código Nacional (CN) en España (85%)

60
Están financiados por el SNS (43%)

2º CUATRIMESTRE 2022

5 Nuevas designaciones huérfanas en la UE

9 Nuevas autorizaciones de comercialización EMA

6 MM.HH. han obtenido Código Nacional en Es

4 MM.HH. han sido financiados SNS

MM.HH. FINANCIADOS

60 medicamentos huérfanos están actualmente financiados por el SNS

% FINA

MM.HH. con autorización comercial y financiados por el SNS 2019 - 2022*



MM.HH. con CN y fina 2019 - 2022*



55 medicamentos huérfanos están esperando una resolución favorable de precio y financiación

Nº DE MM.HH. SIN FINANCIAR POR AÑO DE CN



MM.HH. SIN FINANCIAR POR ÁREA TERAPÉUTICA



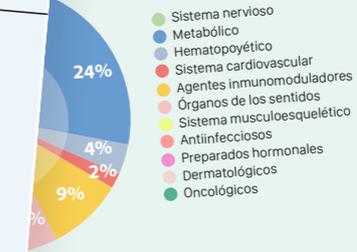
TERAPIAS AVANZADAS con designación huérfana

Actualmente hay:
 • 12 terapias avanzadas con autorización comercial en Europa
 • 8 con CN
 • 5 financiadas SNS:
 ○ 2021: 2 terapias avanzadas
 ○ Tiempo medio de espera para su financiación: 21 meses

APROBACIONES Y FINANCIACIÓN 2015-2021



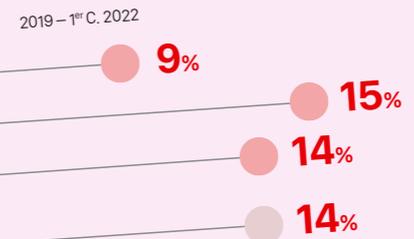
1. SIN FINANCIAR REA TERAPÉUTICA



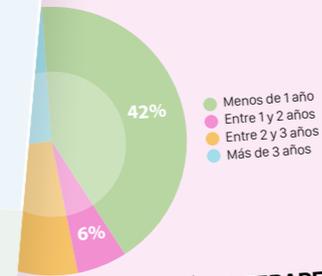
LEGAR A ESPAÑA

EDICAMENTOS CON AC SIN CN

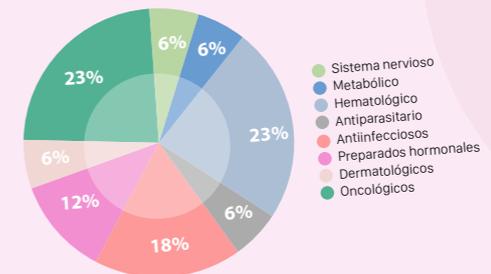
% MM.HH. CON AC SIN CN



% DESDE EL AÑO DE LA AC



POR ÁREA TERAPÉUTICA



APIAS AVANZADAS DESIGNACIÓN HUÉRFANA

A 30 de abril de 2022 hay:
 • 11 terapias avanzadas con autorización comercial en Europa
 • 9 con CN
 • 5 financiadas SNS

1.2 *Informe de Ensayos Clínicos (EE.CC.)*

Asimismo, por **segundo año consecutivo** y con motivo de la celebración del Día Mundial del Ensayo Clínico, el 20 de mayo, AELMHU hizo público el segundo Informe sobre Ensayos Clínicos en Enfermedades Raras en España.

El análisis mantiene como objetivo esencial destacar la labor y esfuerzo investigador por parte de las compañías farmacéuticas, analizando la evolución y condicionantes de esta línea de actividad que se produce en la fase de evaluación de los medicamentos. **Un informe anual que confirma la tendencia alcista de los últimos años en el incremento de inversiones y esfuerzos de la industria en la investigación en enfermedades raras, que alcanzó la cifra récord de 225 EE.CC. autorizados en investigación de EE.RR. en 2021 y que volvió a batir máximos históricos en el 2022, con 233 EE.CC. autorizados en investigación de EE.RR. y que supusieron uno de cada cuatro ensayos en el país.**

Con este informe, basado en fuentes públicas y datos que se recogen en el Registro Español de Estudios Clínicos de la AEMPS, AELMHU quiere seguir activando el debate en torno a las necesidades y posibles líneas de mejora en este terreno específico de análisis clínicos que permitan favorecer las dinámicas de innovación en España, destacando también el claro compromiso de los asociados de AELMHU con la investigación y el desarrollo de nuevos tratamientos, huérfanos y ultrahuérfanos.

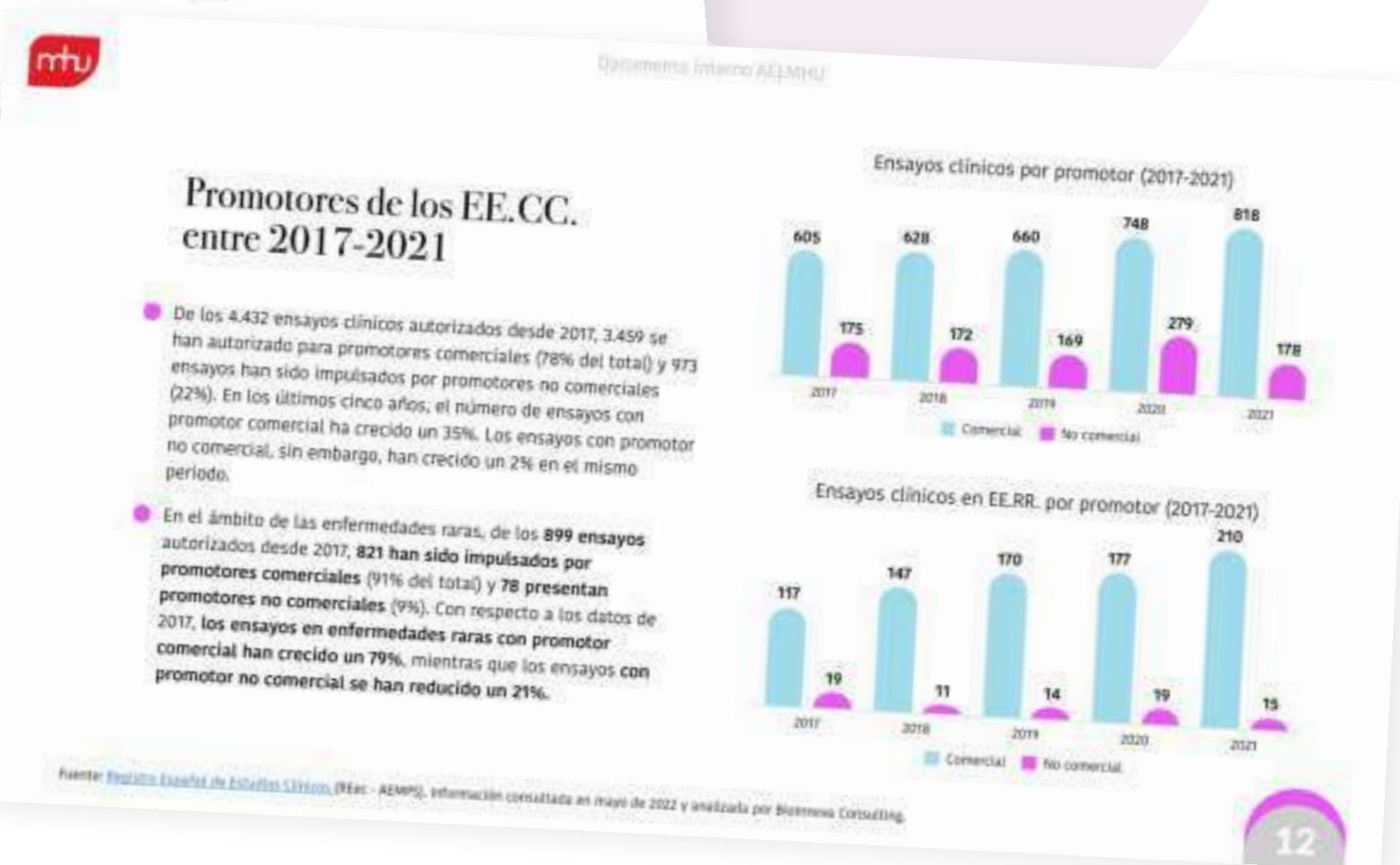




“El informe mantiene como objetivo esencial destacar la labor y esfuerzo investigador por parte de las compañías farmacéuticas”



Ensayos clínicos por CC.AA. (2021)



1.3 *Informe de IPT*

Como novedad destacada en 2022, AELMHU publicó en julio su **primer Informe de Posicionamiento Terapéutico en Medicamentos Huérfanos en España**, analizando la evolución de diferentes indicadores desde que se crearon estos informes en 2013 hasta 2022. Un estudio pionero y precursor realizado por primera vez en España que ha permitido **profundizar en la situación de la evaluación terapéutica de los productos huérfanos y ultrahuérfanos a lo largo de los últimos 9 años**.

El Informe desarrolla datos comparativos respecto al total de medicamentos, revisando diferentes parámetros como el área terapéutica, la fecha de inicio del expediente o el promedio de tiempo en las diferentes fases de tramitación.

El análisis ha permitido destacar los retrasos en la evaluación terapéutica de los medicamentos huérfanos como uno de los factores que más demoran el acceso a la innovación por parte de los pacientes españoles de las enfermedades poco frecuentes, a pesar de contar con una eficacia ya acreditada por la EMA. Unos retrasos que, en ocasiones, superan los 400 días desde el inicio del trámite del informe hasta su publicación final y cuyos datos contribuyen a seguir mejorando el modelo en España.

RESUMEN EJECUTIVO

Análisis **aelmhu**
sobre los Informes de
Posicionamiento
Terapéutico en
Medicamentos Huérfanos
2013 – 2022¹

aelmhu

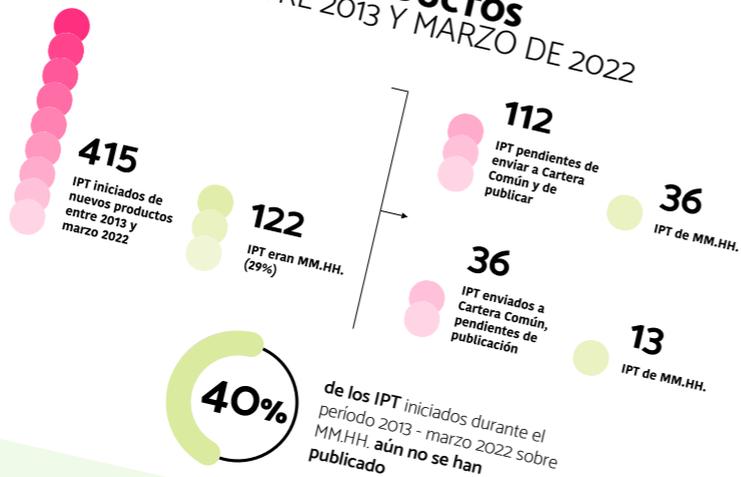
aelmhu

LOS IPT DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN ESPAÑA 2013 -2022

Análisis de los Informes de Posicionamiento Terapéutico en España iniciados entre 2013 - marzo 2022 y con fecha de publicación anterior al 13 de mayo de 2022

aelmhu
Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Orfandades

IPT DE NUEVOS PRODUCTOS INICIADOS ENTRE 2013 Y MARZO DE 2022



EVOLUCIÓN DE LOS IPT INICIADOS POR AÑO



El año que más IPT de nuevos MM.HH. se iniciaron en España fue 2021, con 20 nuevos informes

20+
2021

EVOLUCIÓN DE LOS IPT PUBLICADOS POR AÑO



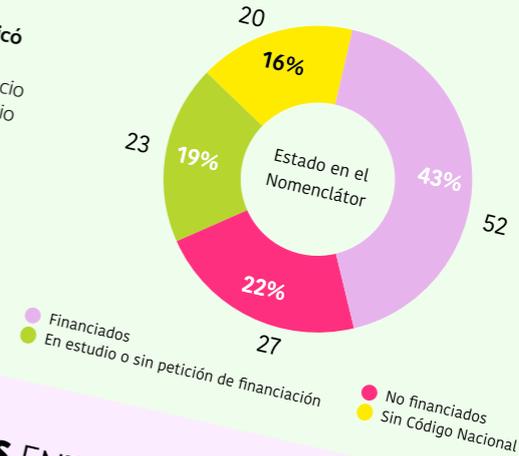
El año que más IPT de nuevos MM.HH. se publicaron en España fue 2019, con 17 informes

17+
2019

ANÁLISIS POR ÁREA TERAPÉUTICA DE LOS IPT DE NUEVOS MM.HH.

ANÁLISIS DEL ESTADO DE FINANCIACIÓN DE LOS IPT DE NUEVOS MM.HH.

En el **73%** de los MM.HH. financiados el IPT se publicó con posterioridad a la resolución favorable de precio y reembolso, con un promedio de **78 días de diferencia.**



PROMEDIO DE DÍAS ENTRE EL INICIO DEL IPT DE NUEVO PRODUCTO Y SU PUBLICACIÓN



En todos los ejercicios, el promedio de tiempo para la tramitación de un IPT es mayor en el caso de MM.HH. que para el total de medicamentos. 2013 y 2019 fueron los ejercicios que mayor diferencia mostraron (8 meses).

-8
2013-2019

IPT PILOTO REvalMed

Nº IPT PUBLICADOS 2020-MAYO 2022



Entre 2020 y mayo de 2022 se han publicado 74 IPT de nuevos productos de los que solo 6 se iniciaron con REvalMed (8%).

La media de tiempo desde el inicio del IPT de MM.HH. con REvalMed hasta su envío a Cartera Común es de 363 días.

363 días

1.4 *Informe de Terapias Avanzadas con designación huérfana*

Por otro lado, a través del Grupo de Trabajo de Terapias Avanzadas (TT.AA.) de AELMHU y consciente de la relevancia del desarrollo de este tipo de tratamientos en el ámbito de las EE.RR., se puso en marcha un exhaustivo informe anual, de uso interno y de acceso limitado a los asociados, sobre las **terapias avanzadas** con designación huérfana **hasta 31 de diciembre de 2021**.

Asimismo, este proyecto se complementó con dos análisis semestrales en 2022 que recogían una detallada recopilación actualizada de información, datos y referencias.

El objetivo de este proyecto se ha centrado en analizar la evolución de este tipo de tratamientos que abren nuevas vías de investigación con potencial para aportar soluciones capaces de mejorar la calidad de vida de pacientes que actualmente cuentan con pocas, o incluso con ninguna, alternativa terapéutica.

DOCUMENTO EXCLUSIVO para los ASOCIADOS de AELMHU

**TERAPIAS
AVANZADAS
con designación
HUÉRFANA
2021**

Grupo de trabajo
Terapias Avanzadas

aeLmhu

Documento elaborado por el grupo de trabajo y coordinado por **Bioinnova Consulting**, para recopilar información detallada y actualizada sobre las Terapias Avanzadas a 31 de diciembre de 2021.

2. ENCUENTROS AELMHU

Dada su magnífica acogida en años anteriores, en 2022 la Asociación incrementó notablemente la celebración de encuentros especializados y exclusivos cuyo objetivo es crear un espacio de debate con terceras partes relevantes del sector sanitario y biotecnológico y nuestros asociados, con el objetivo de promover el diálogo, compartir conocimientos e intercambiar opiniones, experiencias e ideas sobre un área o tema específico relevante para el sector.

Febrero

Jaime Espín

Profesor en la Escuela Andaluza de Salud Pública (EASP), experto en políticas de precio y reembolso de medicamentos y evaluación económica de tecnologías sanitarias.



Marzo

Despacho Faus & Moliner, con Jordi Faus y Lluís Alcover

Abogados especializados en Derecho Farmacéutico.



Julio

Julio Sánchez Fierro

Abogado especialista en Derecho Sanitario. Doctor en Ciencias de la Salud y ex subsecretario de Sanidad.



Octubre

Elizabeth Hernández González

Directora general de Programas Asistenciales del Servicio Canario de la Salud, Consejería de Salud, Gobierno de Canarias.



Noviembre

Casimiro Jiménez Guillén y Joaquín Palomar Rodríguez

Subdirector General de Farmacia e Investigación y jefe del Servicio de Planificación y Financiación Sanitaria, Consejería de Salud de la Región de Murcia.



Diciembre

Juan Carlos Valenzuela

Jefe de Área de Farmacia, Dirección General de Asistencia Sanitaria. SESCAM Consejería de Sanidad de Castilla – La Mancha.



3. JORNADA FORMATIVA *para* INFORMADORES *de la SALUD*

En septiembre de 2022, AELMHU organizó una jornada formativa en colaboración con la Asociación Nacional de Informadores de la Salud (ANIS), enfocada específicamente a los profesionales de la comunicación **bajo el lema “Las Enfermedades Raras en España: los retos comunes y las proyecciones de futuro”**.

El encuentro, que tuvo lugar en la emblemática Asociación de la Prensa de Madrid (APM), contó con la participación de diversos agentes del sector científico-sanitario que, en cada uno de sus campos o ámbitos, ofrecieron una perspectiva transversal.

Una Jornada que pretendió mejorar el conocimiento de este tipo de patologías entre los periodistas para facilitar su adecuada difusión y abordaje que superó todas las expectativas tanto de asistencia como de divulgación, duplicando prácticamente los resultados obtenidos en la anterior edición organizada antes de 2019.





La presidenta de AELMHU, **María José Sánchez Losada** abrió la jornada explicando la definición de medicamento huérfano, su desarrollo y los últimos datos de acceso a este tipo de tratamientos en nuestro país.

El economista de la salud y profesor asociado de la Universidad Carlos III, **Jorge Mestre**, explicó el sistema de evaluación y financiación de los medicamentos huérfanos.



Juan Carrión, presidente de FEDER, habló de las enfermedades raras desde la perspectiva del paciente y el movimiento asociativo en España.

La investigadora del CIEMAT, **Susana Navarro**, compartió su experiencia clínica y conocimiento científico sobre las terapias avanzadas para enfermedades raras.



04 Grupos de Trabajo

En 2020, la Asociación decidió crear varios grupos de trabajo con el objetivo de dinamizar la labor de la entidad, involucrando a sus asociados en la puesta en marcha y desarrollo de sus actividades con el objetivo de actualizar sus líneas estratégicas en función de los desarrollos políticos, sociales e institucionales que se vayan produciendo.

A lo largo de 2022 y desde su creación, AELMHU ha contado con 5 grupos de trabajo:

- Precio y Reembolso
- Acceso Temprano
- Terapias Avanzadas con designación huérfana
- Asuntos Públicos y Agenda Legislativa
- Co-creación con las Asociaciones de Pacientes de EE.RR.



“ A lo largo de 2022, más de 40 profesionales han participado activamente en estas reuniones que cuentan con una periodicidad ordinaria, dependiendo de la temática que se trate, y que han dado lugar al desarrollo de más de 20 acciones ”

En total, estos Grupos han estado formados por más de 40 personas. Todas ellas, miembros de las distintas compañías asociadas a AELMHU con una clara y decidida apuesta por la evolución y desarrollo de la Asociación y un compromiso firme con nuestra misión: mejorar la situación de las personas y familias afectadas por enfermedades raras o poco frecuentes.

En este sentido, los grupos de trabajo han impulsado nuevas iniciativas y han puesto en marcha diferentes proyectos y colaboraciones con los *stakeholders* más relevantes, políticos y no políticos, en aras de seguir trabajando por el objetivo principal: impulsar la investigación, el desarrollo y la comercialización de terapias innovadoras que mejoren la vida de los pacientes que sufren patologías minoritarias y sus familias.

05 Relaciones Institucionales

El 2022 ha sido un año distinguido por la sucesión de numerosos cambios de cargos a nivel político que lo han caracterizado de intenso y, en cierta medida, convulso en el ámbito institucional.

La salida de la crisis del Covi-19 pero la entrada en otras como la crisis de los suministros, que ha impedido la llegada de ciertos medicamentos a los hospitales y a los pacientes, o la crisis de la inflación, que ha encarecido los costes de los medicamentos y productos sanitarios, en un momento político clave como el término del periodo legislativo ordinario en la mayoría de las Comunidades Autónomas y, en consecuencia, la cercanía de las elecciones autonómicas y regionales para mayo de 2023 han marcado, sin duda, alguno de los cambios y desarrollos de la actualidad política de España.

Esta situación tan cambiante ha llevado a que AELMHU haya redoblado e intensificado el número de reuniones institucionales, haya tenido que retomar el contacto con numerosos cargos, y se haya tenido que dar a conocer con muchos otros de una forma más concisa y relevante.



aelmhu RESPUESTA a la AUDIENCIA PÚBLICA

SOBRE EL PROYECTO
DE REAL DECRETO POR
EL QUE SE MODIFICA
EL REAL DECRETO
1093/2010, DE 3 DE
SEPTIEMBRE, POR EL
QUE SE APRUEBA EL
CONJUNTO MÍNIMO
DE DATOS DE LOS
INFORMES CLÍNICOS
EN EL SISTEMA
NACIONAL DE SALUD



Por tanto, siendo conscientes de la importancia que tienen las políticas públicas en el ámbito de la sanidad, AELMHU ha trabajado para dar a conocer las problemáticas de las enfermedades raras a las distintas administraciones de interés.

En este sentido, a lo largo de todo 2022, y en el año de la fase de consolidación de Asociación como referente nacional en el ámbito de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos, AELMHU ha apostado por desarrollar y reforzar las relaciones con todos los agentes implicados. El objetivo, a través de la agenda institucional, es ejercer de interlocutores con los representantes públicos y con terceras partes, a fin de ampliar la presencia de la Asociación en la toma de decisiones, presentándose como un agente representativo, relevante y fiable.

Entre las principales acciones desarrolladas en este campo, destacan:

1. PARTICIPACIÓN *en* CONSULTAS PÚBLICAS

1. *Aportaciones a la consulta sobre un proyecto de Orden por la que se modifican los anexos I, II, III, VI y VII del Real Decreto 1030/2006, de 15 de septiembre, por el que se establece la Cartera de Servicios Comunes del Sistema Nacional de Salud y el procedimiento para su actualización.*

En el mes de marzo, la Asociación remitió al Ministerio de Sanidad sus aportaciones para dar un impulso a la detección y diagnóstico temprano de las enfermedades raras a través de la actualización de la Cartera de Servicios Comunes del SNS, en diferentes áreas.

Para AELMHU las EE.RR. conllevan frecuentemente un deterioro incremental de la salud de los pacientes, que hace de la detección temprana un factor determinante, tanto para su abordaje y progresión como para la calidad de vida del paciente y su entorno familiar, social y laboral. El cribado neonatal unido a los avances que se están desarrollando en el ámbito de la genética, se han revelado como sistemas cada vez más eficaces para avanzar en este objetivo común de detección temprana, especialmente en el terreno de las enfermedades minoritarias.

Por ello, desde la Asociación se recomendaba:

- La **inclusión** del mayor número posible de EE.RR. en el programa de cribado neonatal como herramienta común de detección temprana y que sea accesible de forma equitativa indistintamente de la CC.AA. en la que se encuentre el ciudadano.
- El **reconocimiento** de la especialidad en genética clínica, tanto para alinearse con Europa al ser España el único país que no cuenta con esta especialidad, como para acelerar el acceso a los pacientes.

2. *Aportaciones a 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*

En el mes de agosto, la Asociación hizo llegar al Ministerio de Sanidad sus aportaciones con el objetivo de 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, y dotar de mayor certidumbre, transparencia, y participación a todo el trámite de aprobación, entre otras cuestiones.

Desde La Asociación, celebramos que el Ejecutivo considere las EE.RR. una prioridad, manifestando en su acuerdo de Gobierno su compromiso de **“integrar las necesidades de las enfermedades minoritarias en la planificación global de la cobertura universal, garantizando el acceso a diagnóstico y tratamiento de todas las personas, independientemente de dónde vivan y la patología con la que convivan”**.



Así, desde la Asociación se recomendaba:

- La **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.
- El proceso de evaluación de los productos, proponiendo una solución consensuada que permita **compartir información de forma ágil** (preferiblemente en formato digital), **establecer un procedimiento predecible** de presentación, resolución e información de alegaciones e incrementar la **participación de los pacientes** en esta fase del proceso, con “voz y voto” en la toma de decisiones, entre otros.
- La **financiación ligada a resultados clínicos y a resultados financieros**, con acciones encaminadas hacia una mayor transparencia y gobernanza, que permita homogeneizar la disparidad territorial existente y facilitar la recogida de datos, entre muchas otras.
- La **exclusión del Sistema de Precios de Referencia**.
- La **exclusión de los Medicamentos Huérfanos** de la ampliación de la aportación cuatrimestral a la dispensación en centros sanitarios.
- Los **nuevos mecanismos de agilización en el acceso** para los pacientes con EE.RR., que reflejen las propias especificidades de los MM.HH. y la necesidad de incentivarlos, en consonancia con las previsiones del Reglamento Europeo de Medicamentos Huérfanos, para que contribuyan a mejorar las condiciones de acceso.
- La **incorporación de la perspectiva del paciente y el clínico** en los grupos de apoyo del Comité Asesor para la Financiación de la Prestación Farmacéutica del SNS (CAPF).
- La **exención de la aportación de los usuarios** en la prestación farmacéutica ambulatoria en MM.HH.
- La incorporación de los aprendizajes que nos ha dejado la pandemia, en materia de **agilización de procesos de autorización y comercialización**, uso de soluciones digitales para ensayos clínicos, presentaciones regulatorias y atención domiciliaria y colaboración público-privada.
- La **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.

3. Aportaciones a la Consulta Pública Previa sobre el Proyecto de Orden por la que se crea el Observatorio de Enfermedades Poco Frecuentes de la Comunidad de Madrid y se establece su composición, organización y funcionamiento

En el mes de agosto, AELMHU también participó con sus aportaciones en esta consulta del Gobierno madrileño con el objetivo de seguir profundizando en nuevos desarrollos y propuestas que den visibilidad a las patologías menos frecuentes y sus desafíos. Asimismo, se pretendían abordar nuevas propuestas de mejora, como el reconocimiento del valor económico y social que aporta la investigación farmacéutica en este campo, la equidad en el acceso a los tratamientos en toda España, la agilización de procesos burocráticos o la mejora del proceso de evaluación de la innovación, entre muchos otros.

Por ello, aplaudimos que el Ejecutivo regional mantenga y fortalezca su compromiso con las EE.RR., apostando por iniciativas como la puesta en marcha de este Observatorio de Enfermedades Poco Frecuentes.

En sentido, desde AELMHU se recomendaba que:

- El nuevo Observatorio **cuenta con la industria de los medicamentos huérfanos** en sus órganos consultivos y grupos de trabajo para la toma de decisiones.
- Estudie y promueva todas aquellas mejoras en la **agilización de los procesos** que se han emprendido durante la pandemia de la Covid 19.
- Aproveche todas las ventajas de las **nuevas herramientas tecnológicas** y su aplicación en salud para realizar más y mejores análisis, susceptibles de compartirse en el seno del Observatorio Regional, con el fin de visibilizar los progresos diagnósticos y mejorar la atención y el conocimiento sobre las enfermedades poco frecuentes.
- Cuento con un **grupo de trabajo** sobre las nuevas líneas de investigación en el campo de las enfermedades raras (ej., terapia génica y celular), en el que pacientes, profesionales, decisores públicos e industria podamos poner en común nuevas experiencias y resultados.

4. *Aportaciones a la Audiencia Pública sobre el proyecto de Real Decreto por el que se modifica el Real Decreto 1093/2010, de 3 de septiembre, por el que se aprueba el conjunto mínimo de datos de los informes clínicos en el SNS*

Por último, durante el 2022, AELMHU formó parte de esta Audiencia Pública con el objetivo de mejorar el ámbito de la interoperabilidad de la información que se produce en el marco del SNS. Concretamente, dentro del proceso de aprobación y financiación de medicamentos de alto impacto, como son los medicamentos huérfanos.

Entre los principales aspectos de mejora se encuentran la eliminación y prevención de duplicidades en el proceso; la reducción de información manual y el desarrollo de futuros escenarios que permitan captar la información disponible de la historia clínica del paciente. Por ello, AELMHU considera que este trámite de Audiencia Pública representaba una excelente oportunidad para “unificar” el lenguaje de los diferentes sistemas de información clínica (desde VALTERMED hasta la Historia Clínica o la tarjeta sanitaria).

Así, AELMHU solicitaba:

- Evitar la recogida de datos adicionales a los que ya se recojan en las historias de los pacientes y los registros de los hospitales o las Comunidades Autónomas.
- Impulsar la interoperabilidad de los sistemas.
- Permitir a la industria participar en la funcionalidad de descarga de datos.
- Incorporar la participación en ensayos clínicos como información relevante en la historia clínica.
- Reforzar la oportunidad que podrían ofrecer los datos de vida real (RWE) para mejorar el conocimiento en el diagnóstico, tratamiento y seguimiento de los pacientes y aprovechar los datos obtenidos para poder generar nuevas hipótesis o anticipar posibles diagnósticos.
- Consensuar criterios adecuados, rigurosos y transparentes en los protocolos farmacoclinicos.
- Establecer un canal de comunicación hacia las Comunidades Autónomas, fijando un modelo de información básica.
- Homogeneizar la disparidad territorial.
- Recoger la opinión de los pacientes.

2. REUNIONES INSTITUCIONALES

Asimismo, a lo largo de 2022, AELMHU mantuvo numerosos y enriquecedores encuentros de trabajo con diferentes **representantes institucionales**, tanto del ámbito ejecutivo como parlamentario a nivel nacional (Asesor Técnico del Grupo Parlamentario Ciudadanos en el Congreso de los Diputados para Salud, Ciencia e Innovación) y autonómico (Canarias, Directora General de Programas Asistenciales; Extremadura, Director General de Asistencia Sanitaria del Servicio Extremeño de Salud; Comunidad de Madrid, Viceconsejero de Gestión Económica y Farmacia).

Igualmente, se han mantenido diversas reuniones con las principales asociaciones (2) representativas en el ámbito de las enfermedades raras, en especial con la **Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER)**.

El objetivo de dichos encuentros no ha sido otro que poner en valor la importancia y trabajo de la industria farmacéutica y biotecnológica enfocada en los MM.HH. y, sobre todo, **dar a conocer las reivindicaciones de este sector** en cuanto a la problemática en materia de acceso, ejercer como un interlocutor real y constructivo y ampliar la participación de la Asociación en la toma de decisiones.



06 Actividades Externas

A consecuencia de la gran importancia y relevancia que AELMHU ha ido adquiriendo en los últimos años como referente en el sector de los MM.HH., gracias a su labor por dar una mayor visibilidad y entendimiento en relación con este campo de la sanidad, y su contribución al conocimiento, investigación y desarrollo de fármacos dirigidos al tratamiento de EE.RR., multitud de agentes han querido contar con la Asociación para su presencia y participación en diferentes eventos a lo largo del año 2022.



1. EVENTOS y JORNADAS

1. *Foro acERca las Enfermedades Raras*

(09/02/22)

De forma presencial, SOBI celebró en Barcelona el **Foro acERca las Enfermedades Raras**, un acto al que asistió la directora ejecutiva de AELMHU, Marian Corral, y en el que, junto a profesionales del CatSalud y otros representantes y pacientes, se crearon sinergias para generar conocimiento sobre las enfermedades poco frecuentes que contribuyan a mejorar la calidad de vida de los pacientes.



2. *Encuentro Digital* *“Avanzando en la Humanización de las Enfermedades raras”* *(23/02/2022)*

En este encuentro digital, organizado por SOBI en colaboración con Levin y Europa Press, se abordaron las medidas para mejorar la atención, cuidado y calidad de vida de los pacientes con enfermedades raras. Así, Marian Corral acudió y formó parte de este en calidad de directora ejecutiva de AELMHU y estuvo acompañada de Beatriz Perales como vocal de la Asociación y directora de Acceso al Mercado, Relaciones Institucionales y Comunicación de la compañía organizadora, así como con Pablo de Mora, director general de Sobi Iberia; Julio Sánchez Fierro, abogado y doctor en Ciencias de la Salud y coordinador de la iniciativa; Fide Mirón, vicepresidenta de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER); Mercedes Carreras, enfermera y vicepresidenta del Consejo Asesor del Sistema Público de Salud de Galicia; y Jordi Cruz, representante de la Asociación de Hemoglobinuria Paroxística Nocturna de España.

👉 *Jornada "Avanzando en la humanización de las EE.RR"*



Un total de 33 propuestas para la vida de las personas con enfermedades raras



3. *Jornada “Crea conciencia, hazte visible”* (04/03/2022)

👉 *Jornada "Crea conciencia, hazte invisible"*

Marian Corral, directora ejecutiva de AELMHU, participó de forma presencial en la VIII Jornada organizada por IBIMA-RARE en el Rectorado de la Universidad de Málaga bajo el lema “Crea conciencia, hazte visible”. De este modo, la directora intervino en el segundo bloque sobre la “Atención sanitaria y la realidad social de las personas afectadas por enfermedades raras”, centrandó su exposición en la importancia de visibilizar las enfermedades raras en las redes sociales. Asimismo, Marian Corral estuvo acompañada en este bloque por la deportista valenciana Noah Higón Bellver.



4. *Jornada “Enfermedades Raras o Poco Frecuentes: un nuevo paradigma”* (14/03/2022)

👉 [Jornada "Enfermedades Raras o Poco Frecuentes: un nuevo paradigma"](#)

La presidenta de AELMHU, María José Sánchez, formó parte de este foro presencial, organizado por la Fundación Bamberg en Madrid, donde se debatió sobre las políticas actuales en investigación y atención sanitaria, de la **actualización de la Estrategia de Enfermedades Raras**, las dificultades en el acceso a tratamientos, el papel de la industria y los pacientes y sobre el actual modelo de evaluación y financiación de los MM.HH. María José estuvo acompañada por Eva Bermejo, Directora del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras del ISCIII; Francesc Palau, Coordinador Científico de la Estrategia de Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud; Juan Carrión, Presidente de FEDER y José Luis Poveda, Jefe de Servicio de Farmacia del Hospital de la Fe, entre otros.



5. *Día mundial de las enfermedades raras* (15/03/2022)

María José Sánchez, Leticia Beleta y Marian Corral acompañaron a FEDER en la celebración del Día Mundial de las Enfermedades Raras. Un acto que por primera vez se celebró en la ciudad de León y al que también asistieron un gran número de asociados de AELMHU.

En el acto contó con una gran representación institucional y del movimiento asociativo, y fue clausurado por S.M. la Reina Letizia.



6. *Debate 'En voz rara' de la Fundación Mehuer* (05/04/2022)

👉 [Debate "En voz rara"](#)

AELMHU, representada por su directora Marian Corral, participó en el encuentro “**Hitos y retos de la Industria Farmacéutica con los Medicamentos Huérfanos**”. El debate, que transcurrió de forma *online*, se centró en los hitos y retos de la Industria en dicho ámbito, así como en el análisis de los cambios previstos en la normativa europea y fue organizado por la Fundación Mehuer en colaboración con Sanofi y moderado por Manuel Pérez Fernández, Presidente de la Fundación Mehuer y del Colegio de Farmacéuticos de Sevilla.

Asimismo, en dicho debate intervinieron también Arantxa Catalán, Responsable de Public Affairs en Sanofi España e Iciar Sanz, Directora de Asuntos Internacionales en Farmaindustria.



7. Seminario web “Avances en enfermedades raras, nuevos mecanismos de acción”

(21/04/2022)

La presidenta de AELMHU, María José Sánchez, intervino de forma no presencial en el seminario web “Avances en enfermedades raras, nuevos mecanismos de acción”, organizado por Bioinnova Consulting, en el que explicó la situación actual de los medicamentos huérfanos en España. El encuentro, moderado por José Manuel Martínez Sesmero, Jefe de Farmacia del Hospital Clínico San Carlos, contó también con la participación de José Antonio Martín Conde, Jefe de Sección del Servicio de Farmacia del Hospital Nuestra Señora de la Candelaria, para hablar de los mecanismos de ARN de interferencia, y José Luis Poveda, Jefe de Farmacia del Hospital Politécnico La Fe de Valencia, quien ha centrado su intervención en las terapias avanzadas.

👉 [Seminario "Avances en enfermedades raras"](#)



8. Ponencia: “Investigación y Equidad en la innovación”

(22/04/2022)

👉 [Ponencia "Investigación y Equidad en la innovación"](#)

AELMHU, representada por su presidenta María José Sánchez, participó de forma *online* en la reunión multidisciplinar del Post-WS RareReview en Madrid - organizado por Sanofi - en el que, dentro de la mesa “Investigación y Equidad en la innovación”, se trataron temas como el cribado, la atención integral de los pacientes con enfermedades poco frecuentes o los biomarcadores. En la misma mesa participaron también Álvaro Lavandeira Hermoso, Elena Corchete Prats, Jorge Gómez Cerezo, Dr. Domingo Gómez -Lamuño Leguina, Dr. José Luis Poveda Andrés, Dr. Rafael López López y Salvador García.



9. *Jornada sobre medicamentos huérfanos del CiMUS* (29/04/2022)

👉 [Jornada "CiMUS"](#)

Leticia Beleta, vicepresidenta de AELMHU, acudió de forma presencial al encuentro sobre “**Designación, desarrollo y acceso a los medicamentos huérfanos**” celebrado en Santiago de Compostela, Galicia. En la Jornada, organizada por el Centro de Investigación en Medicina Molecular y Enfermedades Crónicas (CiMUS), el Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras (CIBERER), el Instituto de Salud Catalán y la Plataforma de Malalties Minoritàries, Beleta centró su intervención en el interés de la industria en estos medicamentos para enfermedades minoritarias. Al finalizar su presentación, formó parte en una mesa de debate moderada por la Dra. M^a Luz Couce, directora del Instituto de Investigación Sanitaria de Santiago de Compostela (IDIS), en la que también intervinieron la Dra. Yoana Nuevo, miembro de la Oficina de Innovación de la AEMPS; la Dra. Mabel Loza, perteneciente al Centro de Investigación CiMUS de la Universidad de Santiago de Compostela; y el Dr. Juan Luque, gestor de la Actividad Científica CIBERER.



10. *II Edición Jornadas Singulares* (08/06/2022)

👉 [II Edición Jornadas Singulares](#)

AELMHU estuvo representada en la 2ª edición de Singulares por Sergio Bullón, miembro de su junta directiva. En la Jornada, organizada en Madrid con formato híbrido, se trataron las diferentes perspectivas en el acceso a los medicamentos huérfanos, además de otros temas como el abordaje multidisciplinar de los pacientes, los avances en enfermedades raras, así como la visión del paciente y sus necesidades. Junto a Sergio también participaron Álvaro Lavandeira, abogado y profesor del Instituto para la investigación y Formación en Salud, José Luis Poveda Andrés, doctor del Hospital Universitario y Politécnico de La Fe y Gloria Palomo Carrasco, representando a la Agencia Española de Medicamentos y productos Sanitarios (AEMPS).



11. *Evento de FEDER en el Congreso de los Diputados* (28/06/2022)

👉 [Evento FEDER Congreso de los Diputados](#)

María José Sánchez, presidenta de AELMHU, participó en dos de las tres mesas redondas del evento organizado por FEDER y EURODIS en el Congreso de los Diputados – de forma presencial –, donde habló sobre las necesidades no cubiertas y la compra centralizada de medicamentos huérfanos y los incentivos en la investigación. Además, en el acto se hizo hincapié en la necesidad de la revisión del modelo de financiación actual de estos medicamentos. Junto a María José Sánchez también participaron Juan Carrión, Antonio Cabrera y Jordi Cruz, miembros de la Junta Directiva de FEDER; Mercedes Amellam de la asociación GNAO1; Nacho Muela, de la Asociación Nacional de Atrofia de Nervio Óptico de Leber e Iciar Sanz, Directora del Departamento Internacional de Farmaindustria.



12. *Curso de Verano “Retos a nivel de acceso a los MMHH en España”* (14/09/2022)

👉 [Curso de Verano](#)

Un año más, la Universidad de Castilla La Mancha celebró en Toledo, junto a WEBER, su curso de verano al que Marian Corral, directora ejecutiva de AELMHU, tuvo la oportunidad de acudir de forma presencial para participar en la mesa coloquio sobre los “Retos a nivel de acceso a los MM.HH. en España”. junto al Dr. Antonio J. García Ruiz, Profesor Titular y director del Máster Economía de la Salud, Gestión Sanitaria y Uso Racional del Medicamento del Departamento de Farmacología y Pediatría de la Universidad de Málaga (UMA); el Dr. José Luis Poveda Andrés, Jefe del Servicio de Farmacia Hospitalaria del Hospital Universitario y Politécnico La Fe de Valencia y Girisha Fernando, CEO y fundador de Lyfegen HealthTech AG.



13. *Máster AMIR para profesionales sanitarios* (06/06/2022)

La presidenta de AELMHU, María José Sánchez, formó parte del profesorado del Máster AMIR para profesionales sanitarios. Durante la sesión formativa, la presidenta centró su exposición en el proceso que siguen los medicamentos huérfanos, desde la investigación hasta su comercialización, tratando de explicar el ciclo de vida de estos tratamientos. El máster fue organizado por Talent Up de forma digital y fue la segunda edición en la que AELMHU ha participado.



Medicamentos huérfanos

María José Sánchez, Presidenta AELMHU

2. CONGRESOS

1. *Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades raras en Sevilla*

(27/04/2022)

👉 [Intervención David Moreno](#)

👉 [Intervención Alberto Torres](#)

La Asociación, representada por Alberto Torres Falcón y David Moreno, participó de forma presencial en la X edición del Congreso Internacional de Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Raras celebrado en Sevilla, organizado por la Fundación Mehuer, Feder y su fundación. David Moreno estuvo acompañado por Gloria María Palomo Carrasco, evaluadora no clínica del Servicio de Evaluación Fármaco-Toxicológica del departamento de Medicamentos de Uso Humano de la AEMPS; y Jordi de Dalmases Balañá, vicepresidente del Consejo General de Colegios Farmacéuticos.

Por su parte, en el segundo día Alberto Torres Falcón contó con la compañía de César Hernández García, jefe del Departamento de Medicamentos de Uso Humano de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios; Javier García Castro de la Unidad de Biotecnología Celular del Instituto de Salud Carlos III y Nuria Mir Melendo, directora médica de la unidad de enfermedades raras de Pfizer.



2. *Congreso Internacional de Duchenne* (13/05/2022)

👉 [Congreso Duchenne](#)

Organizado por Duchenne Parent Project España, a este evento acudió de forma presencial en Madrid la directora ejecutiva de AELMHU, Marian Corral. Durante su intervención, Corral destacó los principales datos del informe anual de Acceso de los Medicamentos Huérfanos en España, centrándose en el número de medicamentos pendientes de aprobación, los tiempos de espera y el porcentaje de fármacos que no han llegado aún a España. La mesa fue completada por el Dr. Juan Estévez del Departamento de Medicamentos de Uso Humano de la AEMPS; el Dr. Jose Luis Poveda, Presidente de la Comisión Nacional de Farmacia Hospitalaria; el profesor Álvaro Lavandeira, Doctor en Derecho Sanitario y Farmacéutico; Manuel Pérez, Presidente de la Fundación Mehuer; y Silvia Ávila, Presidenta de Duchenne Parent Project España.



3. *Congreso de Fibrosis Quística* (08/10/2022)

👉 [Congreso Fibrosis Quística](#)

Bajo el lema “Días de cambios. Días de esperanza”, la Federación Española de Fibrosis Quística organizó en Pamplona su VIII Congreso sobre Fibrosis Quística en colaboración con la Asociación de Fibrosis Quística de Navarra. Así, la directora ejecutiva de AELMHU, Marian Corral, formó parte – de manera presencial - del panel “Acceso temprano a nuevos tratamientos en España”, junto con Juan Da Silva, presidente de Federación de Fibrosis Quística; Isabel Pineros, directora de Acceso de Farmaindustria; y el doctor Oscar Asensio de la Cruz, presidente de la Sociedad de Fibrosis Quística para debatir sobre el futuro de los MM.HH. el actual modelo de financiación y sus áreas de mejora.



4. *Congreso Paraparesia Espástica Familiar* (14/10/2022)

👉 *Congreso Paraparesia Espástica Familiar*

Marian Corral, directora de AELMHU, participó de forma presencial en el IV Congreso Paraparesia Espástica Familiar en Madrid, donde tuvo la oportunidad de explicar la situación actual de acceso que tienen los MM.HH. en España de la mano del Dr. Manuel Posada, profesor de investigación del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras; Álvaro Lavandeira, profesor de Derecho y presidente de IFSA; y Milena Peraita, representante de la AEMPS.



5. *Congreso Anual Científico Familiar de ASMD España* (22/10/2022)

 [Congreso ASMD](#)

Bajo el lema “¡Avanzamos!”, la asociación ASMD España celebró en Segovia su II Congreso Anual Científico Familiar. Al encuentro acudió de forma presencial la directora ejecutiva de AELMHU, Marian Corral, quien formó parte del debate sobre los problemas de acceso que sufren los medicamentos huérfanos en nuestro país junto con Álvaro Lavandeira, profesor y abogado, y Daniel de Vicente, presidente de AEMD y farmacéutico.



6. *XV Congreso Internacional de Enfermedades Raras* (03/11/2022)

👉 [Congreso Internacional de Enfermedades Raras](#)

Bajo el lema “Equidad y derechos para las personas con enfermedades raras” la Asociación D’genes organizó en Murcia este Congreso, en el cual estuvo presente AELMHU; Marian Corral, directora ejecutiva, apoyó de forma presencial la iniciativa y destacó el difícil acceso que sufren los medicamentos huérfanos. Marian Corral estuvo acompañada de Juan Carrión, Presidente de D’genes; Isabel Pineros, Directora del departamento de acceso de Farmaindustria; Gloria María Palomo Carrasco, evaluadora preclínica del Departamentode Medicamentos de Uso Humano de la AEMPS; y Daniel de Vicente, Presidente de la asociación ASMD y miembro de la junta directiva de FEDER.



7. *Primer Congreso de Derecho Farmacéutico* (18/11/2022)

👉 [Congreso Derecho Farmacéutico](#)

La secretaria y vocal de AELMHU, Beatriz Perales, representó de forma presencial a la Asociación en el primer Congreso sobre Derecho Farmacéutico organizado por el Ilustre Colegio de la Abogacía de Madrid (ICAM) y que tuvo lugar en la misma ciudad. Acompañada de otros representantes de diferentes sociedades científicas, instituciones y asociaciones de pacientes, entre los que se destacan Xosé Manuel Rey, abogado de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH); Daniel de Vicente, Farmacéutico y Presidente de la Asociación de Déficit de Esfingomielinasa Ácida (ASMD) y Álvaro Lavandeira, miembro del Comité de la Sección de Derecho Farmacéutico del ICAM.

Beatriz Perales, por su parte, pudo comentar en este foro las dificultades que sufren los pacientes en el acceso a los MM.HH.



3. GALARDONES

1. *Premios AVENZOAR*

(22/06/2022)

👉 [Premios AVENZOAR](#)



Coincidiendo con su 38º aniversario, la Fundación Farmacéutica Avenzoar hizo entrega de sus premios anuales correspondientes a los años 2020, 2021 y 2022 de investigación, periodismo, mejor profesional o fomento de la donación de sangre a través de trabajos escolares.

En un acto emotivo y destacado, celebrado en el emblemático Paraninfo de la Universidad de Sevilla, la Fundación quiso reconocer, entre otros, la labor de AELMHU en el ámbito de la investigación y el desarrollo de tratamientos para los pacientes con enfermedades raras.

De este modo, el tesorero y vocal de la Junta Directiva de AELMHU, Sergio Bullón, y su directora ejecutiva, Marian Corral, recogieron en nombre de la Asociación el Premio 2022 en esta categoría, un reconocimiento que premia la labor de la Asociación como representante del colectivo de la industria farmacéutica especializada en los tratamientos huérfanos.

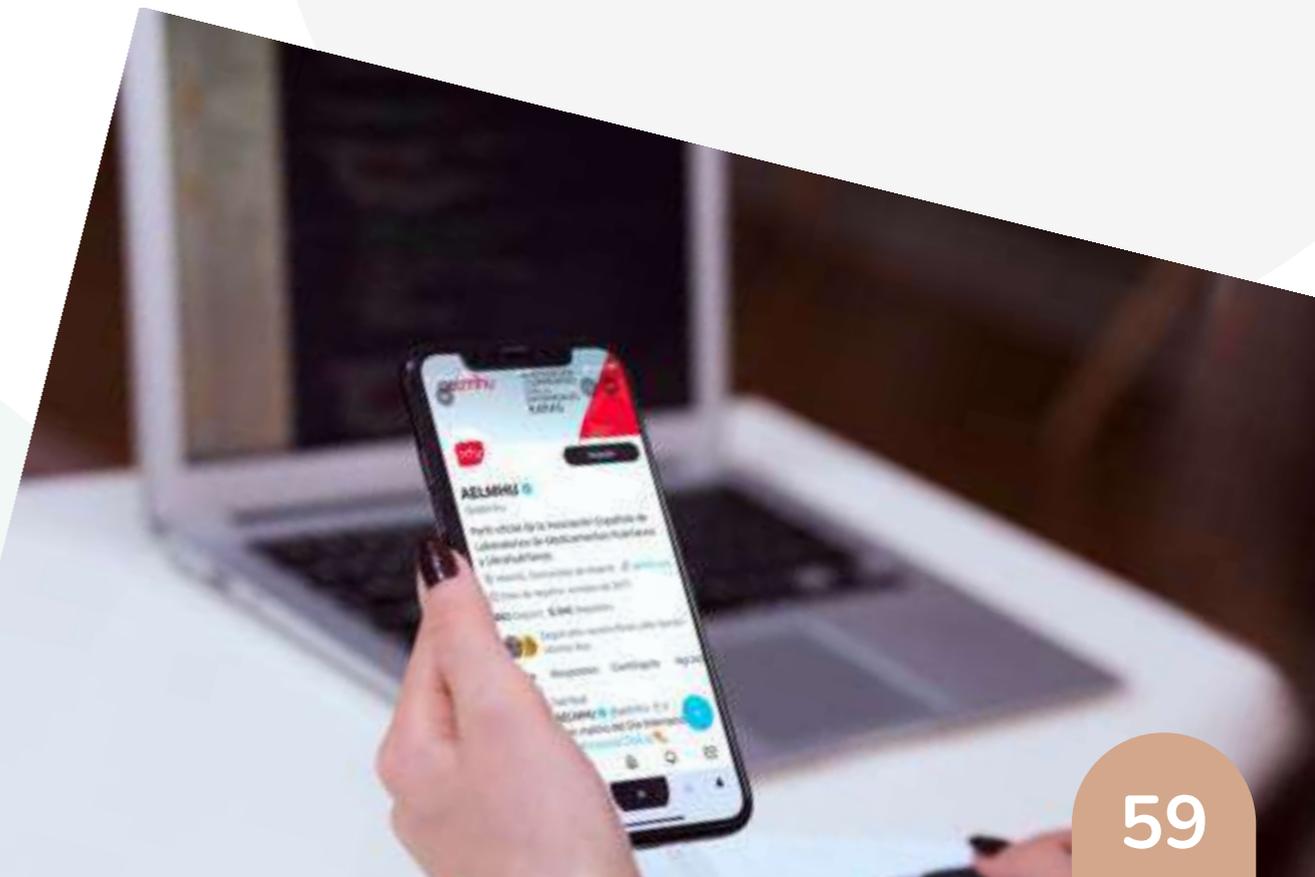


07 Comunicación

La comunicación ha constituido, desde la fundación de AELMHU, otra pieza e instrumento clave de interacción con el resto de los agentes del sector. Mediante este canal, la Asociación ha dado a conocer su compromiso por el descubrimiento, la investigación, el desarrollo y el impulso en la comercialización de terapias innovadoras para el tratamiento de enfermedades raras que mejoren la vida de los pacientes y sus familias.

La transmisión y optimización de las acciones que se llevan a cabo desde la Asociación, así como la divulgación de contenidos y noticias relevantes en el ámbito de los huérfanos han de servir para dar apoyo y seguridad a los pacientes. Y qué mejor manera que utilizar este medio para tener un contacto directo y accesible con todos ellos, tanto a través de los distintos medios de comunicación como por las diferentes plataformas sociales o la página web.

Así, durante el 2022, con una imagen consolidada que representa los valores de la Asociación gracias a los cambios recogidos en el manual de identidad corporativa elaborado el año anterior, AELMHU ha continuado dando un impulso trascendental a sus servicios de comunicación para poder seguir ofreciendo a todos los usuarios los hechos y datos más relevantes entorno a los MM.HH. y las EE.RR. con una mayor calidad.



1. PRENSA

Actualmente, la sociedad se encuentra ante un cambio de paradigma en la manera de transmitir y recibir toda la información. El surgimiento y proliferación de los medios digitales, el acceso más fácil y alcanzable a cualquier tipo de fuente, el impulso a la globalización en todos los sectores y el nuevo fenómeno de la desinformación han contribuido a que el sector de la comunicación se haya vuelto más complejo y, por ende, sea necesario reforzar la confianza de los usuarios en una información más rigurosa y exigente.

Así, el sector farmacéutico y biotecnológico no es ajeno a este cambio ya que además está condicionado por otros asuntos como: la tecnicidad de los contenidos, los vaivenes legislativos y el avance de la innovación.

No obstante, durante 2022 en AELMHU se han alcanzado cifras muy positivas gracias, entre otras cosas, a la publicación de seis notas de prensa.

Entre las más significativas destacan:

- La presentación del Informe Anual de Acceso a los MM.HH. 2021 en España
- La reelección de la presidenta de AELMHU
- Y la publicación del primer Análisis de los Informes de Posicionamiento Terapéutico (IPT) de MM.HH.

Todas ellas, generaron más de 300 impactos, tanto en medios digitales como impresos, siendo los primeros los más utilizados. Las notas de prensa fueron recogidas por más de 55 medios de comunicación en el ámbito nacional, generando un 51% de impactos directos en medios generalistas y un 40% en medios especializados. Asimismo, el 92% de las noticias relativas a AELMHU fueron recogidas en medios digitales y el 6% en medios impresos.



diariofarma
 LE INFORMACIÓN CLAVE DE LA FARMACIA Y EL MEDICAMENTO

Publica: Profesión Gestión Terapéutica Opinión Farmacia y Paciente 7, 13 y 20 de cada mes

Expertos piden procedimientos de financiación y acceso específicos para medicamentos huérfanos

¡Quiero saber si...!
 - ¿Cómo se financian los medicamentos huérfanos?
 - ¿Cómo se garantiza el acceso a los medicamentos huérfanos?
 - ¿Qué rol juega el Estado en la financiación de los medicamentos huérfanos?
 - ¿Cómo se garantiza el acceso a los medicamentos huérfanos en el extranjero?
 - ¿Qué rol juega el Estado en la financiación de los medicamentos huérfanos en el extranjero?



oksalud
 OKSALUD

MEDICAMENTOS PREVENTIVOS FARMACIA BOTICARÍA SALUD SEXUAL TELEMEDICINA FAMILIA INSUR

De 0 a 100 km/h en 3,9 segundos.*

Esto es smart.

Calcula el BS

El Colegio de Farmacéuticos de Sevilla es reconocido por su «solidaridad» con las enfermedades raras

- Miguel Pérez ha recogido en Madrid esta galardón de manos de la presidenta de Aelmu, María José Sánchez
 - Se estima que entre el 2,5 y el 5,9% de la población padece alguna de las más de 7.000 enfermedades raras



El huérfano suma reglas de riesgo compartido a la nueva ley del medicamento

Entre ellas, la valoración de la incertidumbre clínica para obtener mayor transparencia, eficacia y consenso



¡Inscri...
 ya...

LA VERDAD La Verdad
 Industria y paciente en la incorporación

SIGLO XXI
 Diario de la información, el poder y el dinero

España alcanza un máximo histórico de ensayos clínicos en Enfermedades Raras, con 225 autorizados

2. ENTREVISTAS

En cuanto a la aparición y realización de entrevistas o tribunas de opinión en los diferentes medios, los miembros de AELMHU o la propia Asociación en sí participaron en **23 interacciones**. Cabe destacar que en este ámbito **se batió un récord respecto a los años anteriores**.

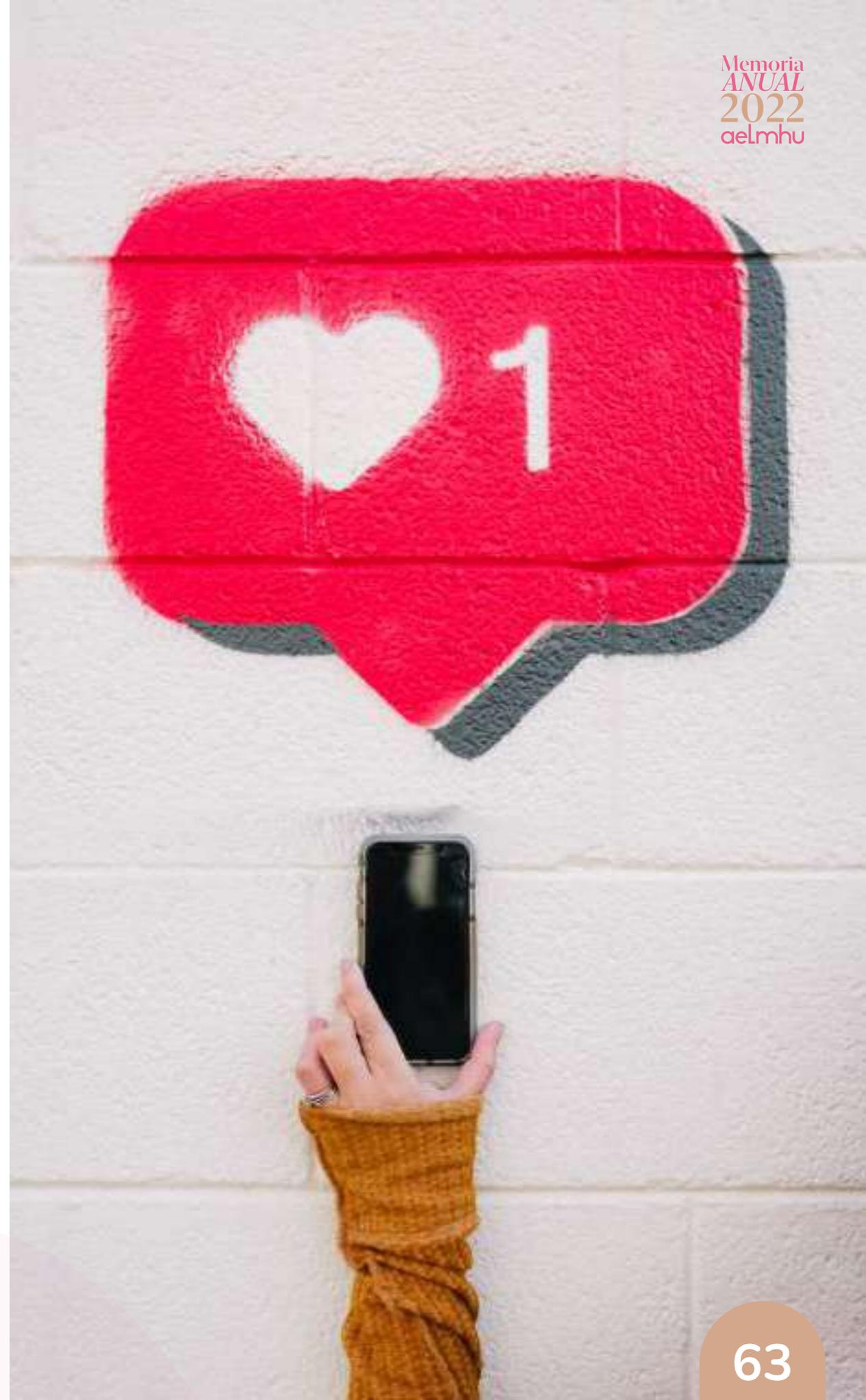
De este modo, destacan las apariciones en medios nacionales como el artículo en The Objective, la tribuna de El Economista o la noticia en Newtral. En cuanto a diarios especializados, AELMHU aparece en Redacción Médica e IM Médico, varias veces, ConSalud o El Global, entre otros. Y se realizaron entrevistas en una radio regional catalana, RAC1, y en la televisión autonómica canaria.



2. DIGITAL

Desde hace varios años, AELMHU tiene presencia en las redes sociales. Empezó en Twitter en 2017 y, posteriormente, en LinkedIn en el año 2019. Desde ese momento y, ayudada por el ímpetu de dar a conocer de forma objetiva todos los contenidos propios y de terceros en relación con los MM.HH. y las EE.RR., la Asociación ha ido adquiriendo una posición de relevancia en dicho ámbito de la comunicación. Este hecho se ha podido producir gracias a su apuesta estratégica por la expansión y divulgación de la información de calidad y por la modernización en su forma de difusión de contenidos, adaptándose a las nuevas maneras de informar y haciéndola más atractiva para los usuarios.

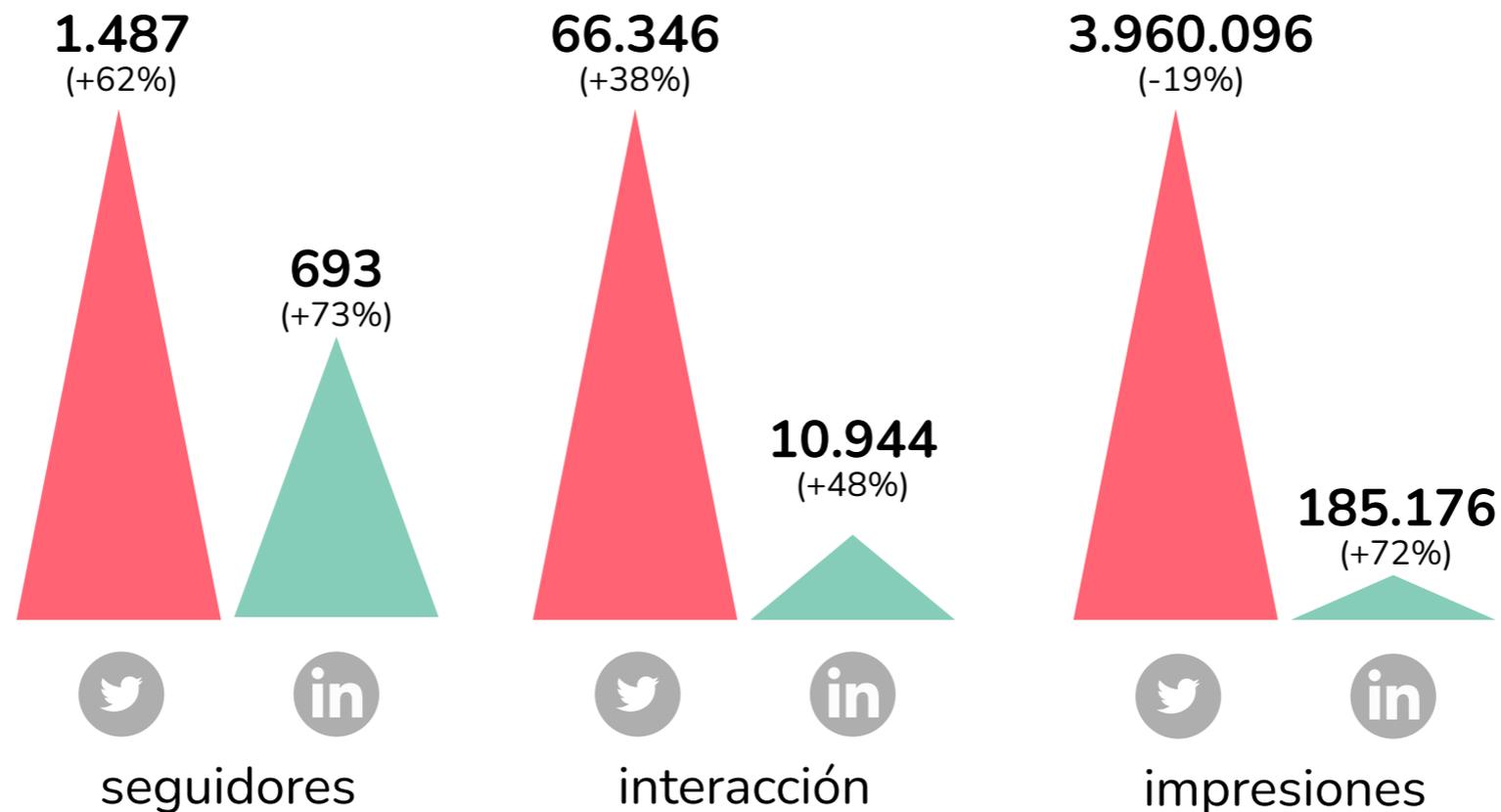
Por ello, su objetivo, no es otro que continuar incrementando su visibilidad y notoriedad en los ámbitos de actuación de la Asociación y generar interacción y conversación con grupos de interés para fomentar diálogos relevantes para las sociedades científicas y la sociedad civil.



En cuanto a los datos de crecimiento, desde el inicio de 2022, el perfil de AELMHU en **Twitter creció en más de 1487 seguidores, un 62% más que el año anterior**, gracias a los contenidos publicados y que demuestran la apuesta por el cambio y modernización. **En LinkedIn, AELMHU consiguió 693 seguidores, un 73% más que en 2021.** Destacan seguidores del ámbito farmacéutico, entorno político o periodistas del sector.

Durante el año 2022, AELMHU generó más de 3,9 millones de impresiones en Twitter. En LinkedIn se generaron 185.176 impresiones, **un 72% más que el periodo anterior.**

Asimismo, desde el inicio de este año, el perfil de AELMHU en Twitter generó más de 66.346 interacciones, un 38% más que en 2021 gracias a los contenidos publicados. En LinkedIn se generaron 10.944 interacciones, un 48% más que en 2021.

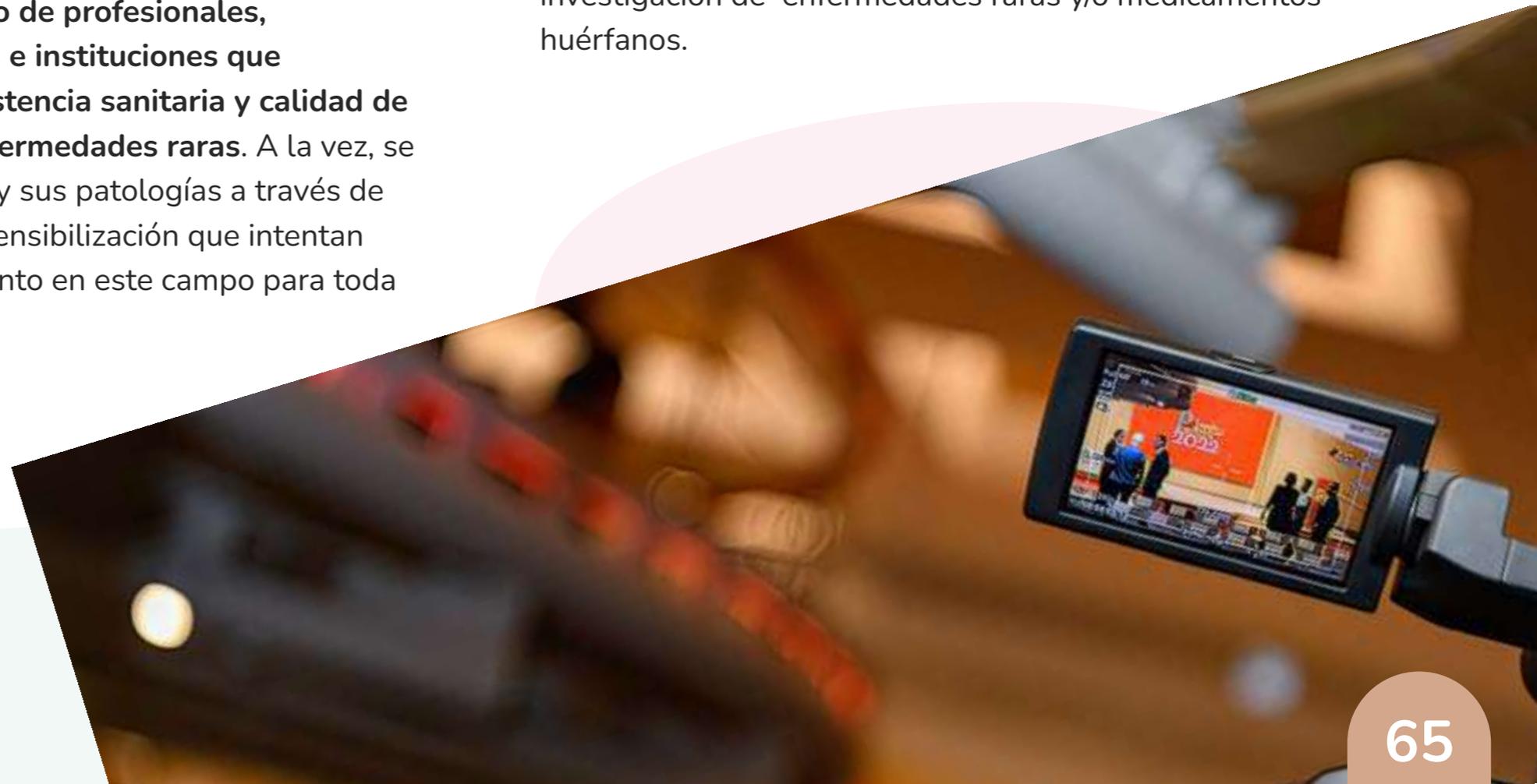


08 Premios AELMHU 2022

Los Premios AELMHU se celebran anualmente y se han convertido en una tradición y en un referente dentro del sector de la industria farmacéutica, de la investigación y para las asociaciones de pacientes.

De este modo, en 2022 ha tenido lugar la **cuarta edición de los Premios AELMHU** con los que la Asociación pretende **reconocer el trabajo de profesionales, organizaciones, asociaciones e instituciones que contribuyen a mejorar la asistencia sanitaria y calidad de vida de las personas con enfermedades raras**. A la vez, se da visibilidad a los pacientes y sus patologías a través de proyectos divulgativos y de sensibilización que intentan crear conciencia y entendimiento en este campo para toda la sociedad.

Estos galardones, cuyas bases se pueden consultar en la página web de la Asociación, conllevan un reconocimiento o distinción honorífica y ofrecen la posibilidad a los ganadores y los finalistas de destinar, íntegra y directamente, una donación a la entidad o institución que deseen siempre que esté vinculada a proyectos de investigación de enfermedades raras y/o medicamentos huérfanos.



1. CATEGORÍAS

Los premios 2022 contaron con 4 categorías:

- *Premio al Mejor Proyecto Asistencial sobre enfermedades raras*
- *Premio a la Mejor Trayectoria Profesional en el campo de las enfermedades raras*
- *Premio al Mejor Proyecto de divulgación, difusión y/o sensibilización sobre enfermedades raras*
- *Premio Honorífico a un Organismo Público por su labor en dar visibilidad a las enfermedades raras*



2. MIEMBROS *del* JURADO

En esta edición, AELMHU contó con un jurado externo compuesto por miembros de reconocido prestigio en el sector de las enfermedades raras pertenecientes a instituciones, asociaciones de pacientes o centros de investigación:

- **Dña. Eva Bermejo-Sánchez**, directora del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras del Instituto de Salud Carlos Tercero (ISCIII).
- **D. Juan Carrión Tudela**, presidente de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER).
- **D. Carlos García Collado**, subdirector general de Farmacia y prestaciones en Servicio Andaluz de Salud, Junta de Andalucía.
- **D. Antoni Gilabert Perramon**, director de Innovación y Partenariado en el Consorcio de Salud y Social de Cataluña.
- **Dña. Encarna Guillén Navarro**, presidenta de la AEGH. Servicio de Genética Médica del Hospital C. U. V. Arrixaca. IMIB. UMU. CIBERER-ISCIII.
- **Dña. Coral Larrosa De Lope**, vicepresidenta de la Asociación Nacional de Informadores de la Salud (ANIS).
- **D. Jordi Nicolás Picó**, vicepresidente de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH).
- **D. José María Vergeles Blanca**, vicepresidente Segundo y Consejero de Sanidad y Servicios Sociales de la Junta de Extremadura.
- **Dña. Marian Corral López**, directora de AELMHU (sin voto)



3. FALLO *del* JURADO

Una vez que el jurado evaluó las categorías recibidas, en el mes de julio se dio conocer el fallo del jurado:

🏆 ***Mejor Proyecto Asistencial sobre Enfermedades Raras:***

Premiado:

Institución: Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona

Por el proyecto: **“La Casa de Sofía”**

Finalista:

“Guía de Asesoramiento Preconcepcional desde Atención Primaria”

Coautores: Ismael Ejarque Doménech, María Isabel Castelló López y José Vicente Sorlí Guerola





Mejor Trayectoria Profesional en el campo de las Enfermedades Raras:

Premiado:

Dr. Francesc Palau Martínez, médico y científico

Finalista:

Dr. José María Millán Salvador, facultativo especialista e investigador



🏆 ***Mejor Proyecto de divulgación, difusión y/o sensibilización sobre Enfermedades Raras:***

Premiado:

Asociación MPS-Lisosomales España

Por el proyecto: **“1er Certamen Raras internacional de Fotografía y Cortometrajes – El Cumpleaños de Estela”**

Finalista:

Asociación En Ruta por las Enfermedades Raras

Por el proyecto: **“En Ruta por las Enfermedades Raras”**



🏆 **Premio honorífico
AELMHU 2022**

*(premio elegido por los asociados de
AELMHU)*

Premiado:

Fundación Mehuer, como reconocimiento por su compromiso con el conocimiento social y el fomento de la investigación epidemiológica, clínica, terapéutica y social de las enfermedades raras.



4. ACTO *de* ENTREGA

Finalmente, el pasado día 10 de noviembre, la IV Edición de los Premios AELMHU se materializó en una ceremonia de entrega que tuvo lugar en el Espacio Bertelsmann de Madrid.

La gala contó con la participación y asistencia de personas relevantes en el ámbito de la Salud, miembros del jurado así como una gran representación de las compañías farmacéuticas y biotecnológicas asociadas a AELMHU, numerosos representantes del sector de los medicamentos, asociaciones de pacientes o representantes de la Administración pública o del entorno político y social.

El acto fue presentado, un año más, por la periodista Silvia Jato, la inauguración corrió a cargo del director general de Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud (SNS) y de Farmacia, César Hernández. Durante el acto también tomó la palabra Juan Carrión, presidente de FEDER, en representación de los miembros del jurando de los Premios 2022.



Durante la ceremonia, María José Sánchez, presidenta de AELMHU, centró su intervención en el sincero y enorme compromiso de la Asociación con las personas con patologías minoritarias. Y la clausura corrió a cargo de la nadadora y medallista paralímpica, **Teresa Perales**.



Entrega de premios:

Premiado:

El Hospital San Joan de Déu de Barcelona

Por el proyecto '**La casa de Sofía**', en la categoría de mejor proyecto asistencial sobre Enfermedades Raras (EE.RR.). El gerente del hospital, **Manel del Castillo**, recibió el premio de manos de **César Hernández**.



Premiado:

La Asociación MPS-Lisosomales España

Recibió el premio por el proyecto '**Primer certamen de fotografía y cortometraje de EE.RR., el cumpleaños de Estela**', en la categoría de mejor proyecto de divulgación, difusión y sensibilización sobre EE.RR.. **Coral Larrosa** entregó el galardón al director de la asociación, **Jordi Cruz**.



Premiado:

El doctor y científico Francesc Palau Martínez

Fue galardonado por su trayectoria profesional en el campo de estas enfermedades minoritarias y **Antoni Gilabert** fue el encargado de entregar el premio.



Premiado:

La Fundación Mehuer

Recibió el premio honorífico de 2022 por su compromiso con el conocimiento social y el fomento de la investigación de las EE.RR. El galardón fue entregado a su presidente, **Manuel Pérez** por parte de la **Junta de AELMHU.**

Además, la Asociación también quiso hacer una mención especial y reconocimiento a todos los finalistas de las categorías. En la de mejor proyecto asistencial, a **Ismael Ejarque Doménech, María Isabel Castelló López y José Vicente Sorlí Guerola**, por su Guía de Asesoramiento Preconcepcional desde Atención Primaria; en el de mejor proyecto de divulgación, a la Asociación En Ruta por las EE.RR.; y en la de mejor trayectoria profesional, al **doctor José María Millán Salvador**.

En definitiva, esta ceremonia de los Premios AELMHU evidenció que 2022 ha sido un año apasionante; complicado en algunos momentos, pero enriquecedor todo el tiempo. La industria, la comunidad científica, los profesionales, los representantes de los pacientes, los decisores públicos, todos, se han volcado en recordar que los pacientes con patologías minoritarias representan un colectivo de especial vulnerabilidad por el que hay que seguir trabajando.









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 2022

Memoria
ANUAL
2022
aeImhu

Arte:
Inmaculada Cagliostro
+++ *23* *Monalissas*