

AELMHU presenta su Informe sobre Ensayos Clínicos para Enfermedades Raras en España

## Las enfermedades raras acaparan el 23% de los ensayos clínicos realizados en España en 2023

- Del total de ensayos clínicos realizados en España, 190 se centraron en enfermedades raras.
- El 7% de todas las personas participantes en ensayos clínicos en España en 2023, correspondían al ámbito de las enfermedades minoritarias.
- Los promotores comerciales siguen siendo los principales impulsores de los ensayos clínicos en enfermedades raras en España.
- En el último lustro los ensayos realizados en enfermedades raras han ido en aumento hasta 2023.

**Madrid, 16 de mayo de 2024.-** Con motivo del Día Internacional del Ensayo Clínico que se celebra el 20 de mayo, la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos ([AELMHU](#)) ha hecho público su informe anual en el que destaca que **cerca de una cuarta parte de los ensayos clínicos realizados en España en 2023 se centraron en enfermedades raras**, a pesar de haberse registrado un descenso de dos puntos respecto al 25% que representaron el año anterior.

El Informe revela que durante 2023 se autorizaron en España 834 ensayos clínicos, de los cuales **190 correspondieron a enfermedades raras**, que supusieron un descenso del 10% respecto al año anterior. Como dato especialmente positivo destaca el **aumento significativo de los ensayos clínicos en las primeras fases de desarrollo, que han crecido un 19% respecto al año anterior**.

Por otro lado, los ensayos dirigidos a población pediátrica representaron el 22% de todos los autorizados en el ámbito de las enfermedades raras.

Según datos de AELMHU basados en el Registro Español de Estudios Clínicos (REec), dependiente de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), **la industria farmacéutica sigue siendo la principal impulsora de los ensayos clínicos en enfermedades raras en España**, al representar el 96%, un punto más que en 2022, mostrando un claro compromiso con la investigación en este ámbito.

### Cinco años de investigación en cifras

Entre 2019 y 2023 en España se realizaron **4.610 ensayos clínicos** con la participación de 285.429 personas. De ellos, **1.032 se centraron en enfermedades raras** (22%). Aunque el total de ensayos clínicos autorizados registró un notable aumento en 2020, los últimos tres años muestran una tendencia decreciente que ha sido más pronunciada en 2023. En el ámbito de las enfermedades raras, 2023 ha

sido el primero en el que se ha registrado un descenso tras cuatro años de tendencia creciente.

Durante estos cinco años, los **asociados de AELMHU han participado en un total de 210 ensayos clínicos en enfermedades raras**, experimentando un crecimiento del 24% y alcanzando la cifra récord de 56 ensayos clínicos durante en 2021.

“A pesar de que se ha producido por primera vez un descenso en los ensayos clínicos realizados en enfermedades raras, los datos siguen mostrando una firme apuesta del sector farmacéutico por una innovación que resulta esencial para seguir contribuyendo a mejorar la calidad de vida de las personas con enfermedades poco frecuentes y la de sus familiares. Durante los últimos años España ha consolidado una posición destacada en este ámbito y desde AELMHU ratificamos nuestro compromiso por seguir trabajando y aunando esfuerzos en torno a este objetivo común”, ha explicado **María José Sánchez Losada, presidenta de AELMHU**.

## 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 ultrarraras. 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 Diseases, Alnylam Pharmaceuticals, Amgen, AOP Health, Argenx, Biocryst, Biogen, BioMarin, Chiesi, Csl Behring, Grupo Italfarmaco, Immunocore, Insmad, Ipsen, Jazz Pharmaceuticals, Kyowa Kirin, Novartis, PTC Therapeutics, Sanofi, Sobi, Takeda, UCB, Ultragenyx Pharmaceutical y Vertex.

Para más información:  
[información@aelmhu.es](mailto:información@aelmhu.es)

[Informe sobre Ensayos Clínicos para Enfermedades Raras en España](#)