

INFORME SOBRE ENSAYOS CLÍNICOS PARA ENFERMEDADES RARAS EN ESPAÑA 2023*

asociación española de laboratorios de medicamentos huérfanos y ultraorfanos
aelmhu

Los ensayos clínicos **son mecanismos de investigación que se utilizan para determinar la seguridad y eficacia de los medicamentos**

Actualmente, el **94%** de las enfermedades raras **no tiene una herramienta diagnóstica o tratamiento**

94%

ENSAYOS CLÍNICOS AUTORIZADOS (2022-2023)

Nº de ensayos clínicos

23%

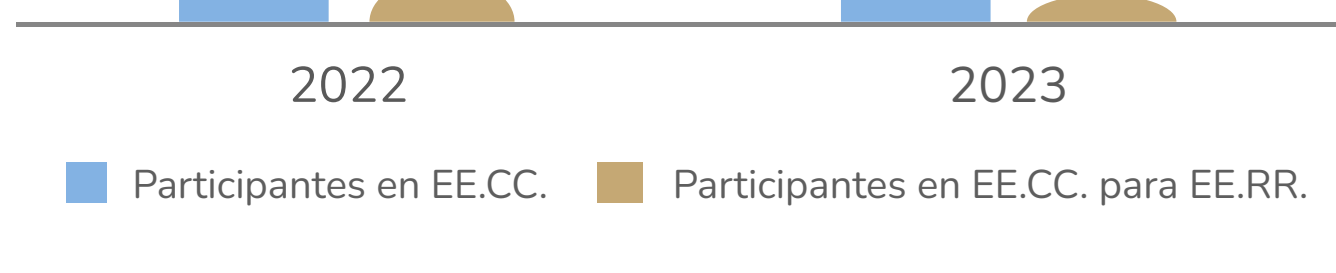
De los ensayos clínicos autorizados son para enfermedades raras

Ensayos clínicos autorizados (2022-2023)

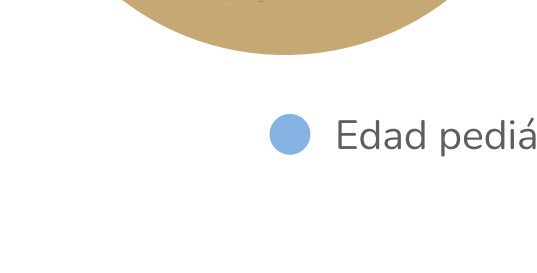


Participantes en los ensayos clínicos

Participantes en ensayos clínicos (2022-2023)



Ensayos clínicos



Ensayos clínicos EE.RR.

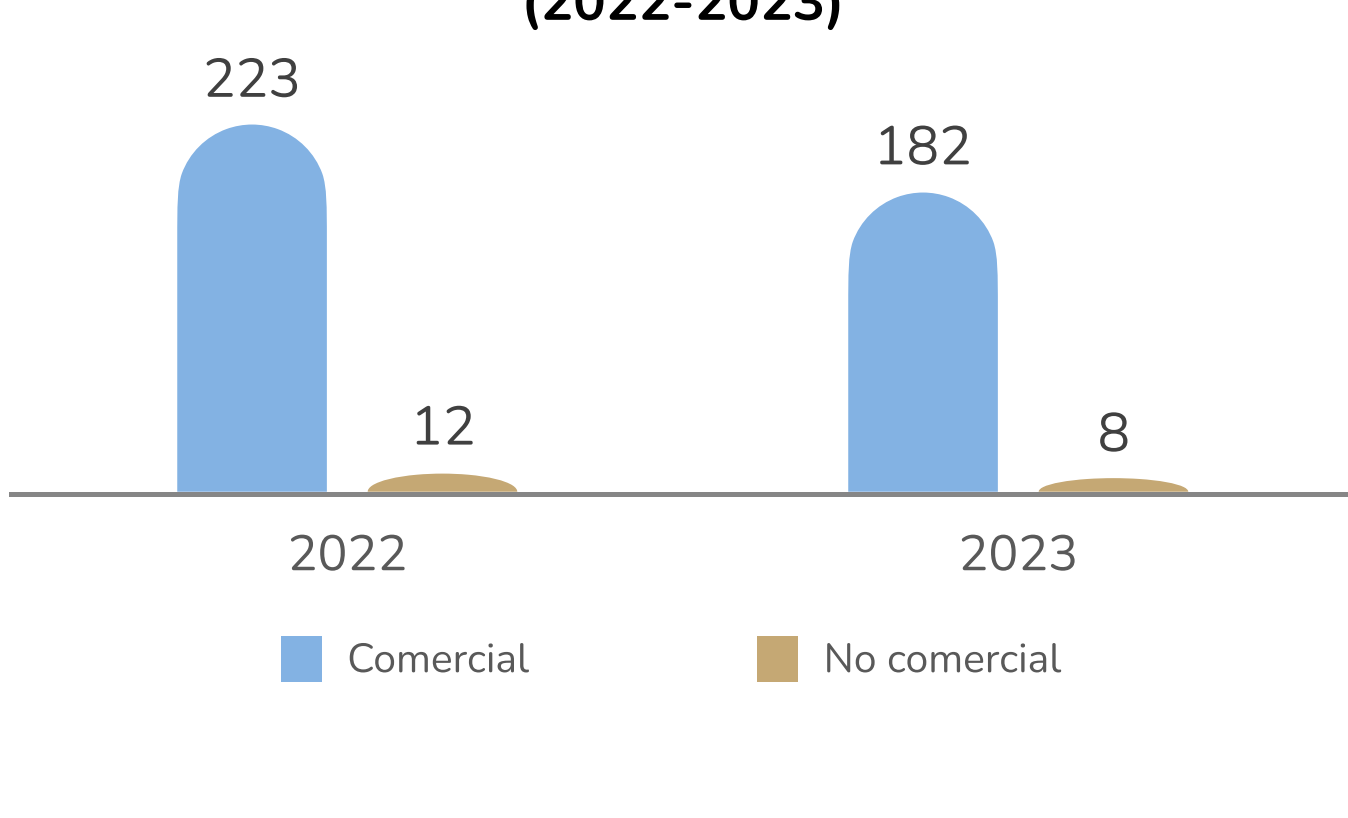


Ensayos clínicos para EE.RR. por promotor (2022-2023)

96%

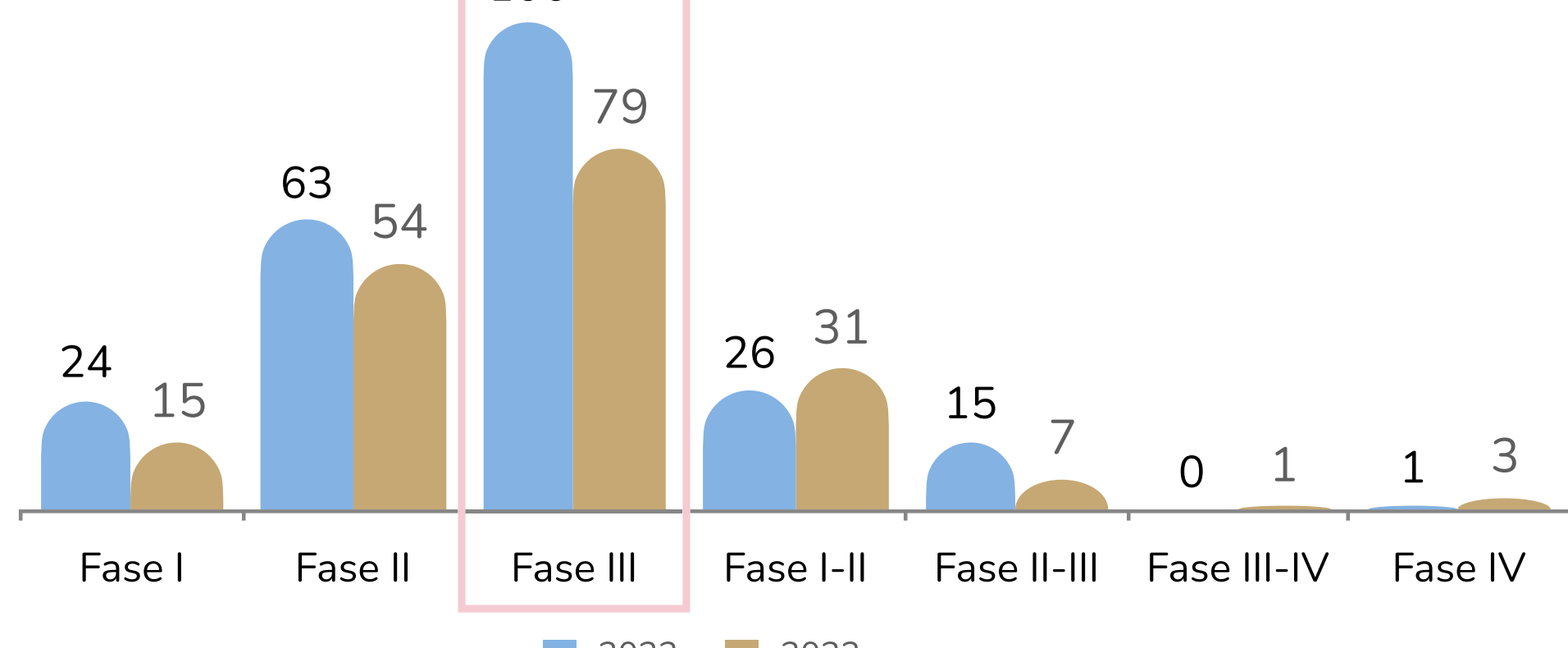
De los ensayos clínicos para enfermedades raras son de promotores comerciales

Ensayos clínicos para EE.RR. por promotor (2022-2023)

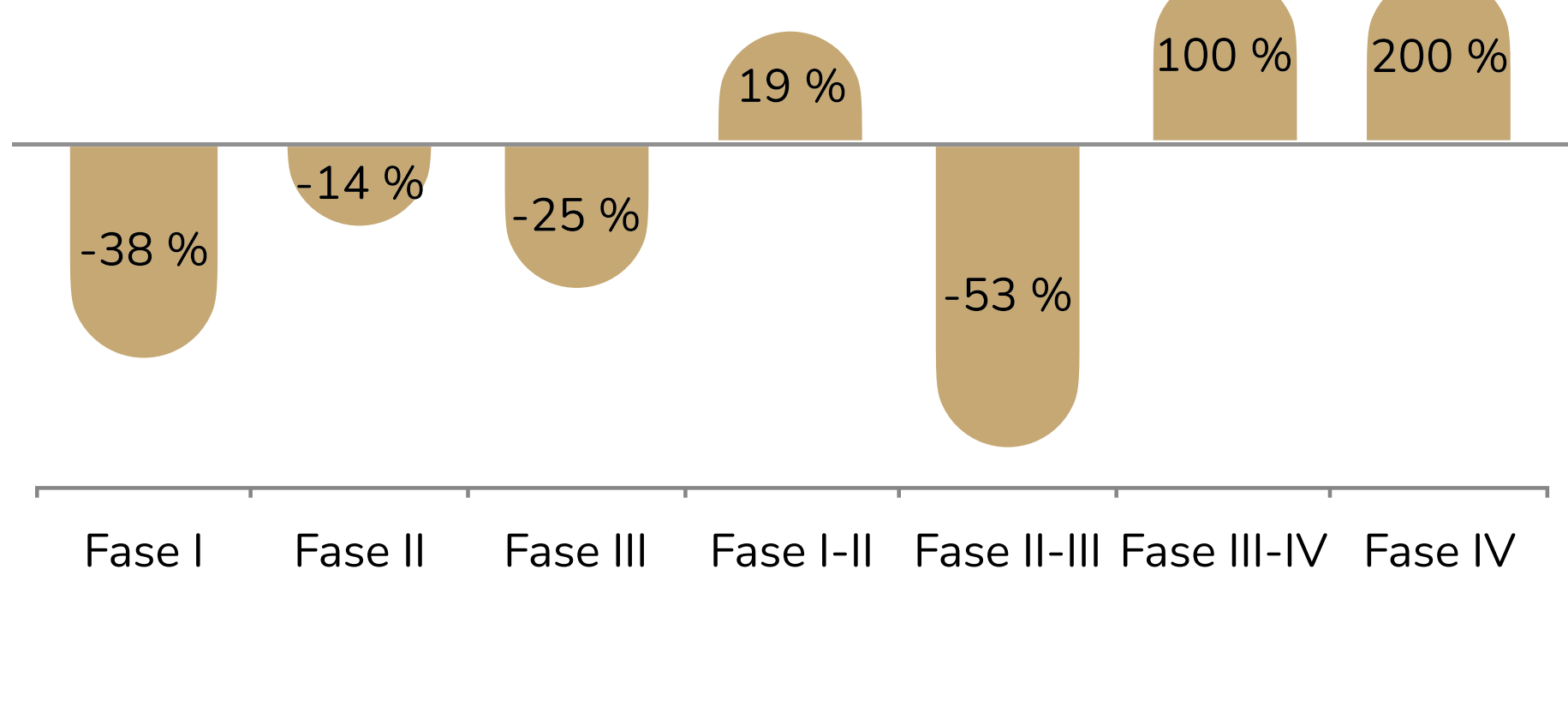


Fases de los ensayos clínicos para EE.RR.

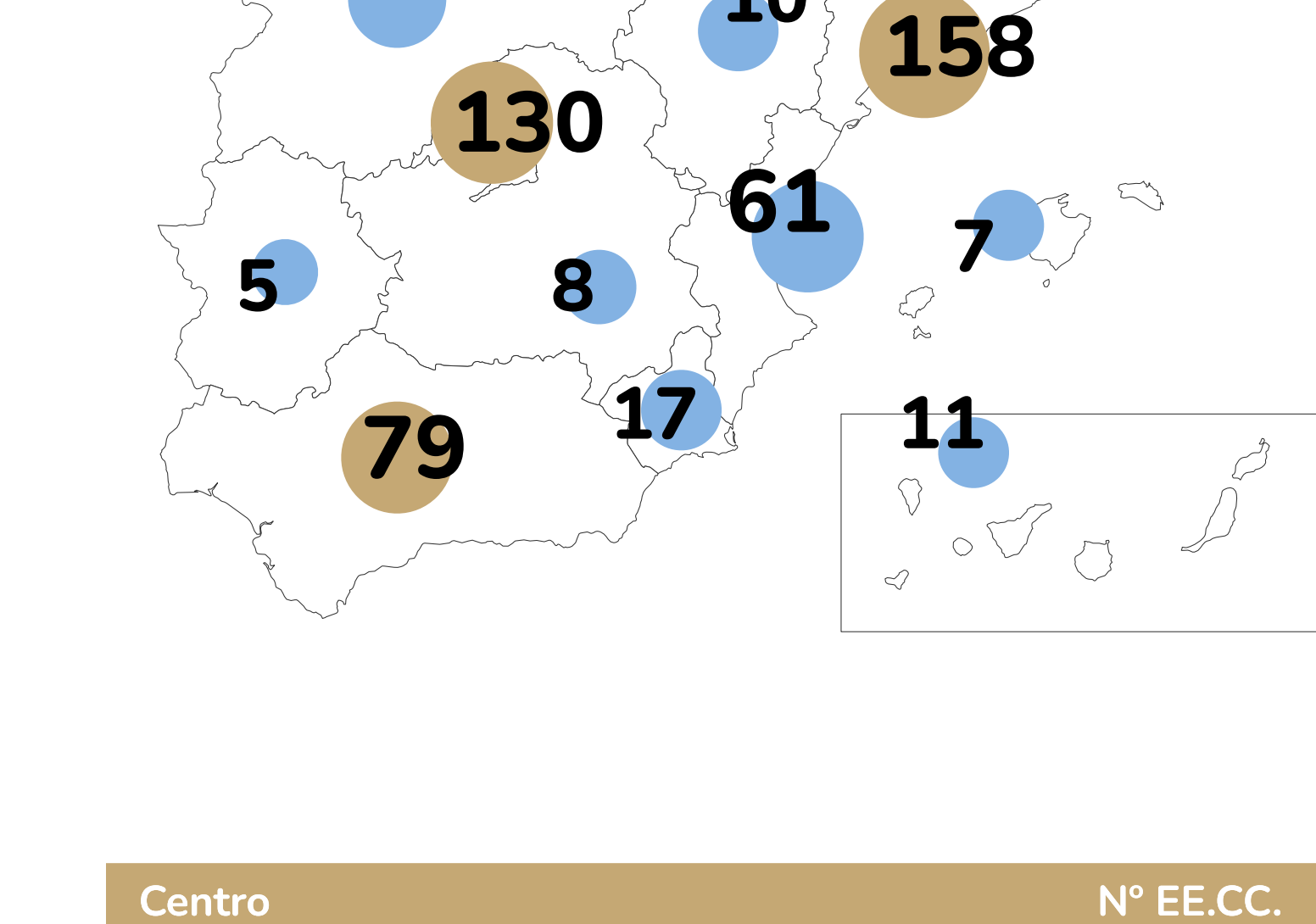
Ensayos clínicos en EE.RR. por fase (2022-2023)



Variación de ensayos clínicos para EE.RR. por fase (2022-2023)



Participación de los centros de investigación



Cataluña, la Comunidad de Madrid y Andalucía son las comunidades con mayor participación en ensayos clínicos en enfermedades raras

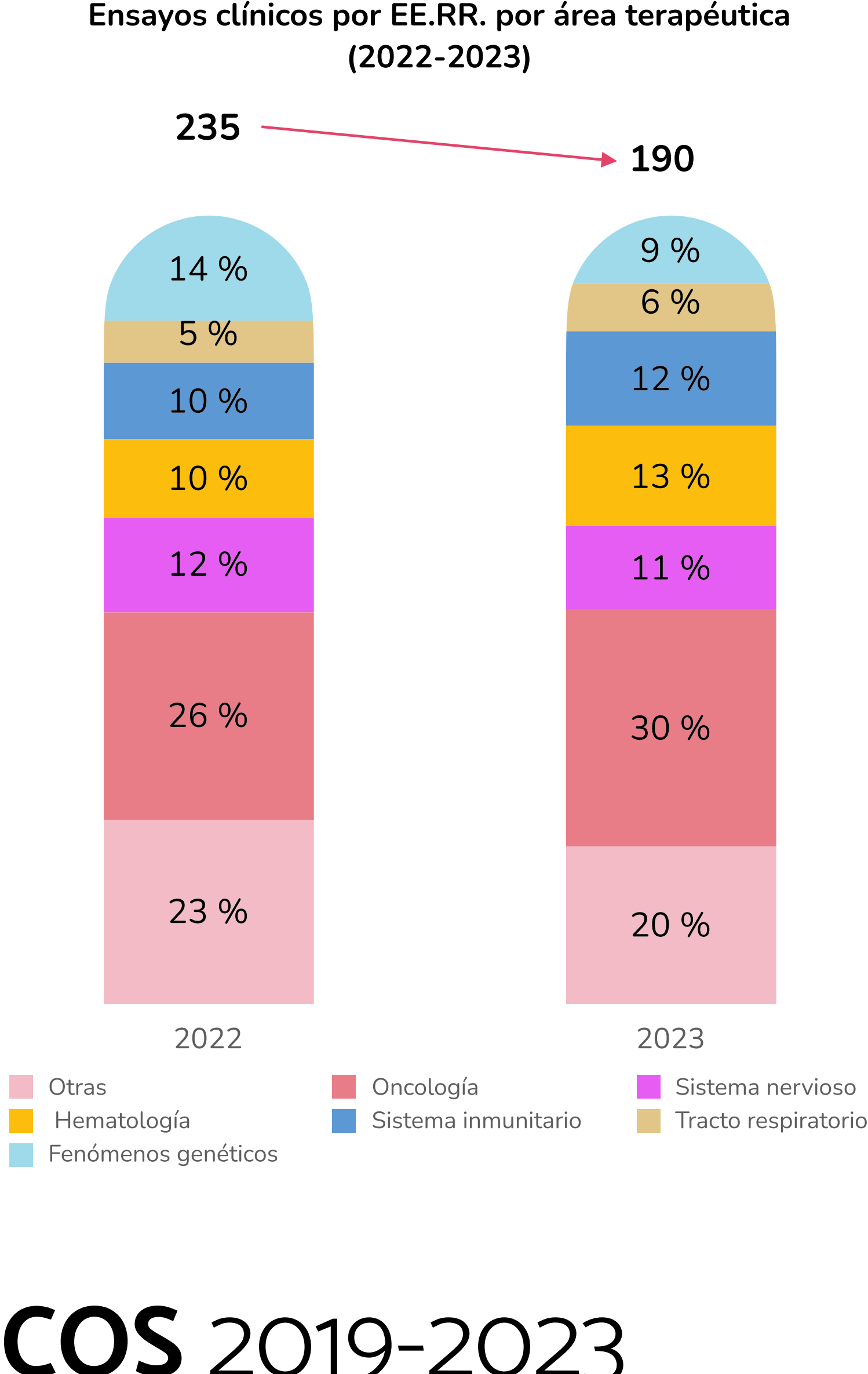
Centro	Nº EE.CC.
Hospital Universitario Vall d'Hebron	84
Hospital Clínic de Barcelona	43
Hospital Universitario 12 de Octubre	41
Hospital Universitario Virgen del Rocío	39
Hospital Universitario La Paz	32
Hospital Universitario Ramón y Cajal	31
Hospital Gregorio Marañón	28
Hospital de Santo Joan de Déu	25
Instituto Catalán de Oncología	24
Clínica Universidad de Navarra	23
Hospital Universitario de Salamanca	22
Hospital Universitario Marqués de Valdecilla	19
Hospital de la Santa Creu i Sant Pau	17
Hospital Universitario y Politécnico La Fe	17
Hospital Universitari Germans Trias i Pujol	16
Complejo Hospitalario Universitario de Santiago	14

Hospitales líderes en investigación clínica para enfermedades raras

La investigación de las enfermedades raras por área terapéutica

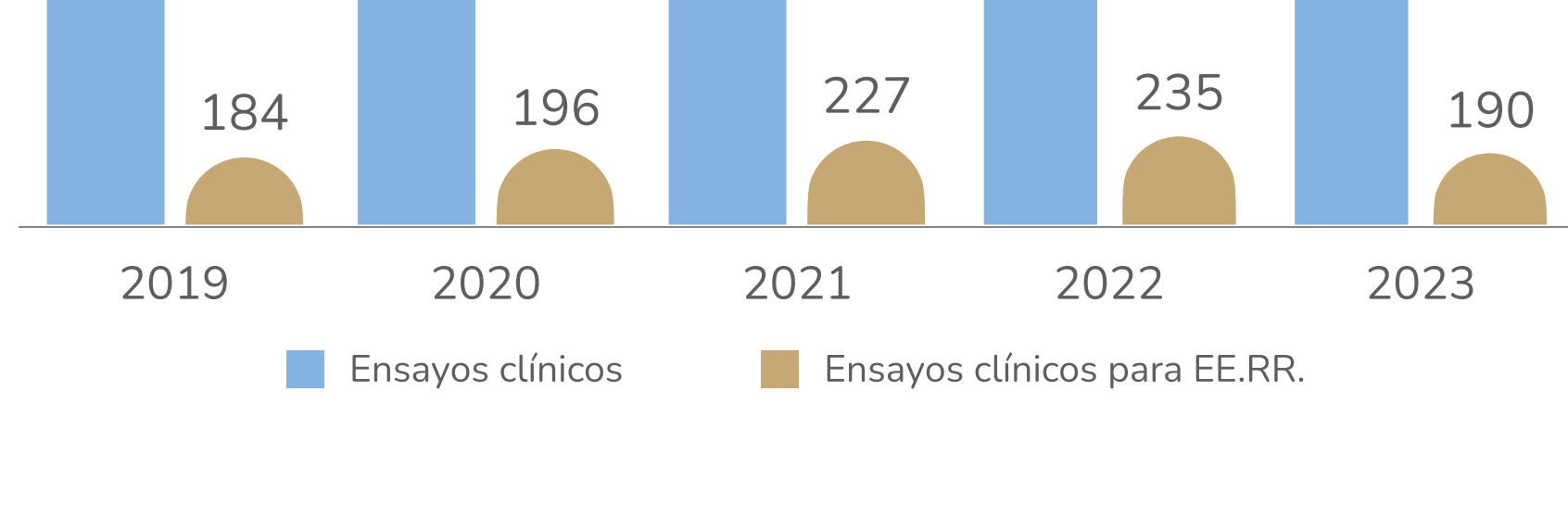
Ensayos clínicos por EE.RR. por área terapéutica (2022-2023)

De los 190 ensayos en enfermedades raras autorizados en 2023, **oncología ha sido el área terapéutica líder, con 57 ensayos (30%)**. Hematología con 24 ensayos (13%), sistema inmunitario con 23 ensayos (12%) y sistema nervioso con 20 ensayos (11%), ocupan también posiciones destacadas.



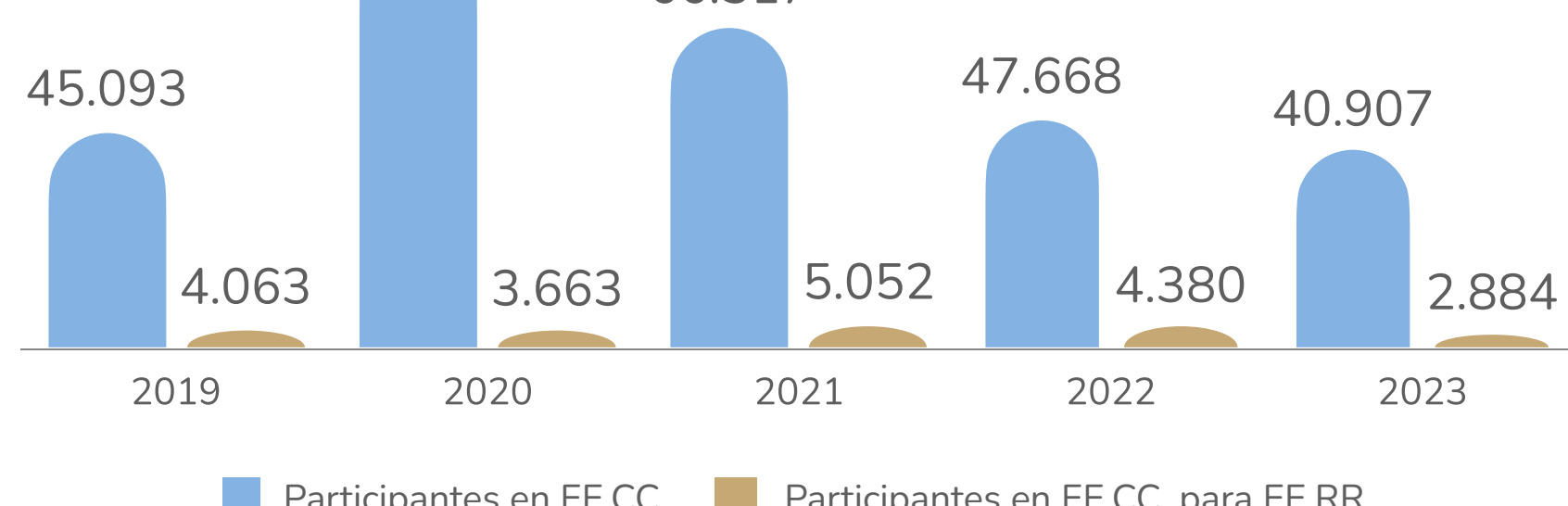
ENSAYOS CLÍNICOS 2019-2023

Ensayos clínicos (2019-2023)



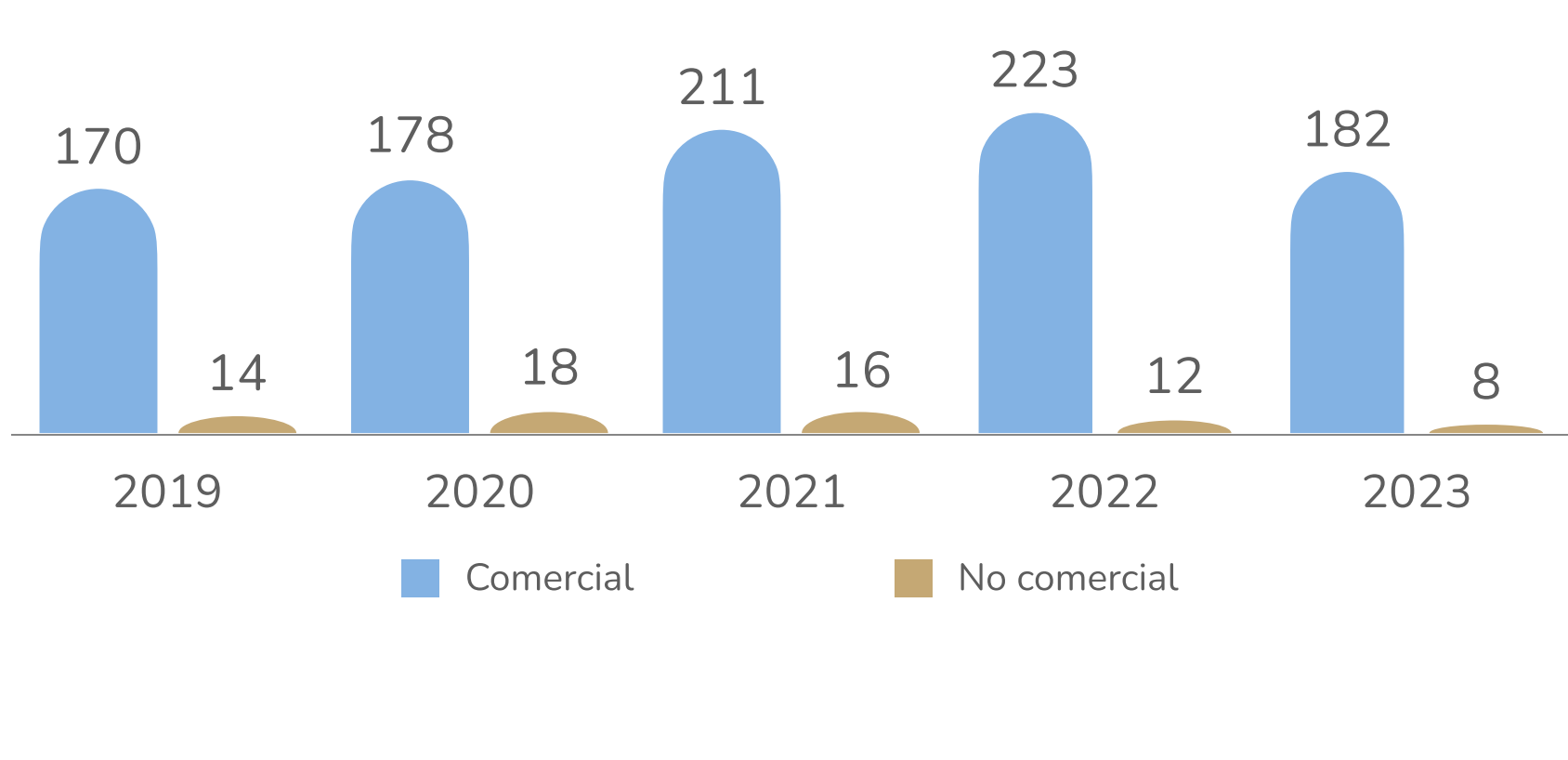
Entre 2019 y 2023, se han autorizado **4.610 ensayos** clínicos en España, **1.032** para investigar enfermedades raras.

Participantes en ensayos clínicos (2019-2023)



Durante los 5 últimos años, 285.429 personas participaron en algún ensayo clínico, **31.001 en ensayos para enfermedades raras (11%)**.

Ensayos clínicos para EE.RR. por tipo de promotor (2019-2023)



Participación de los centros de investigación por comunidades autónomas

Ensayos clínicos para EE.RR. por CC.AA. (2019-2023)

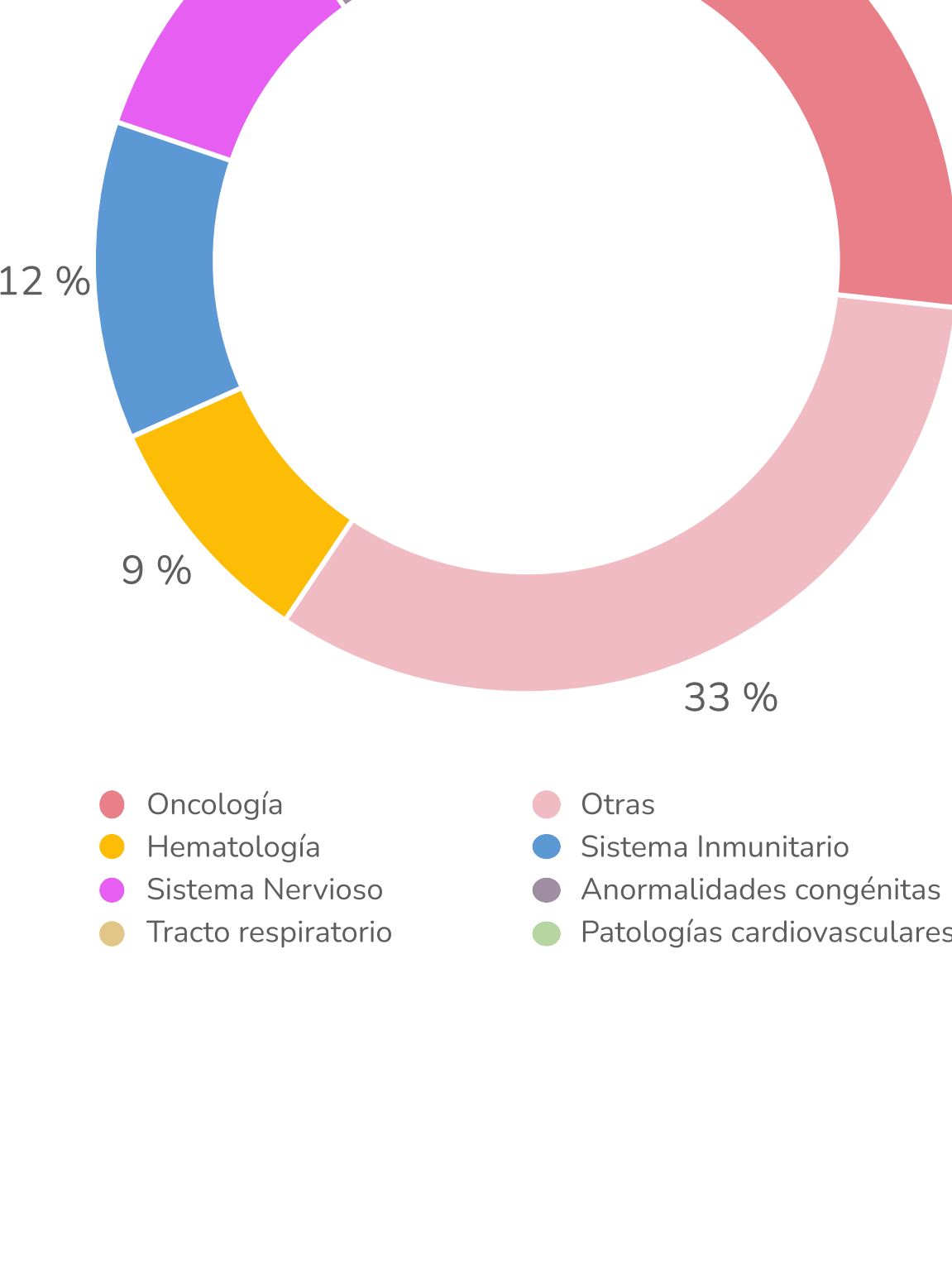


Hospitales líderes en investigación clínica para enfermedades raras

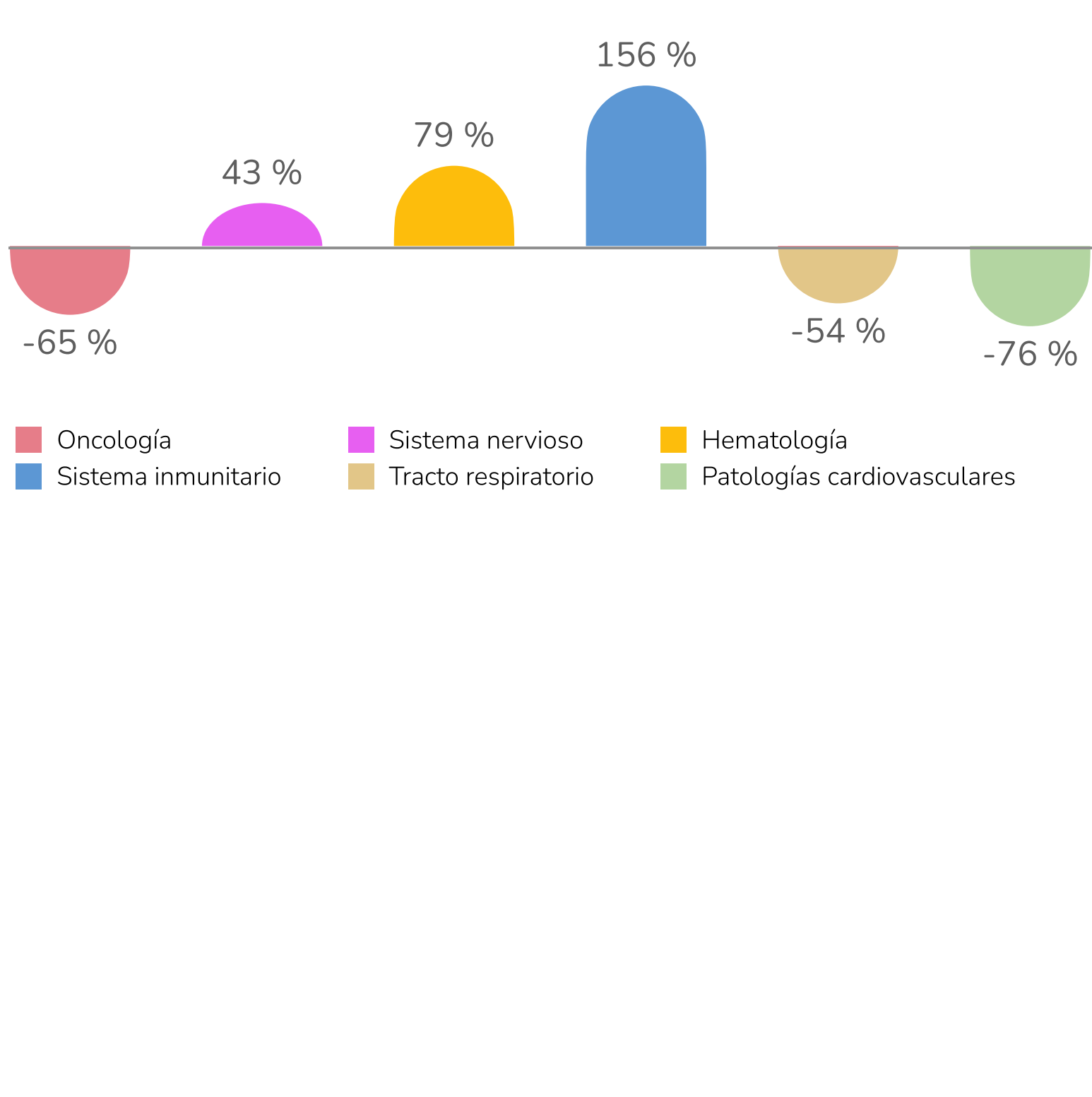
Centro	CC.AA.	Nº EE.CC.
Hospital Universitario Vall d'Hebron	Cataluña	541
Hospital Universitario y Politécnico La Fe	Comunidad Valenciana	296
Hospital Clínic de Barcelona	Cataluña	294
Hospital Universitario 12 de Octubre	Comunidad de Madrid	284
Hospital Universitario Virgen del Rocío	Andalucía	273
Hospital Universitario La Paz	Comunidad de Madrid	267
Hospital Universitario Gregorio Marañón	Comunidad de Madrid	214
Hospital Universitario Ramón y Cajal	Comunidad de Madrid	205
Hospital de la Santa Creu i Sant Pau	Cataluña	187
Clínica Universidad de Navarra	Navarra	149
Hospital Universitario de Salamanca	Castilla y León	146
Hospital Marqués de Valdecilla	Cantabria	137
Complejo Hospitalario Universitario de Santiago	Galicia	132
Hospital Universitario Fundación Jiménez Díaz	Comunidad de Madrid	125

Ensayos clínicos por área terapéutica

Porcentaje de ensayos clínicos para EE.RR. por área terapéutica (2019-2023)



Variación EE.CC. para EE.RR. por área terapéutica (2019-2023)



*Fuente: Registro Español de Estudios Clínicos (REEC - AEMPS), consultada en febrero de 2024.
De este análisis del número de pacientes por ensayo clínico, se ha excluido el ensayo clínico en fase IV con identificador 2023-506977-36-00 enmarcado en el área terapéutica de enfermedades víricas ya que se desvirtuaban los datos por haber incluido 114.011 pacientes.
La mayor parte de los ensayos analizados han sido multicéntricos, contabilizándose cada ensayo individual en varias Comunidades Autónomas.