

AELMHU PRESENTA SU INFORME ANUAL DE ACCESO A LOS
MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN ESPAÑA EN 2024

ESPAÑA FINANCIA EL 58% DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS AUTORIZADOS EN LA UNIÓN EUROPEA

- *Los datos confirman una evolución positiva en el acceso a los medicamentos huérfanos por segundo año consecutivo.*
- *El Informe señala como una de las asignaturas pendientes mejorar el modelo y los tiempos de acceso a los tratamientos, que es de 23 meses.*

Madrid, 28 de enero de 2025.- La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (**AELMHU**) presenta hoy los resultados de su Informe Anual de Acceso a los Medicamentos Huérfanos para 2024 que cada año da a conocer la situación de estos fármacos en Europa y su disponibilidad para los pacientes en España.

El Informe analiza los datos de los medicamentos huérfanos tomando como referencia diferentes fuentes públicas europeas y españolas a fecha de 31 de diciembre de 2024, contemplando la evolución de los indicadores.

Según el análisis, la situación en Europa ha mostrado una evolución positiva, registrándose **25 nuevos medicamentos con designación huérfana y nombre comercial, 6 más que en 2023**. Por otro lado, **17 medicamentos han obtenido autorización para su comercialización en la Unión Europea** por parte de Agencia Europea del Medicamento (EMA, por sus siglas en inglés), **mejorando en 5 puntos el número de productos autorizados respecto al año anterior**.

En términos acumulados, y contemplando tanto nuevas designaciones como las pérdidas de orfandad, al cierre de 2024, **210 medicamentos cuentan con designación huérfana y nombre comercial y 147 tienen autorización de comercialización en la UE**.

En línea con esta tendencia positiva, AELMHU destaca la necesidad de que la nueva legislación europea continúe impulsando la investigación y el desarrollo de tratamientos para enfermedades raras, eliminando las barreras burocráticas y equiparando y agilizando el acceso a los tratamientos para todos los pacientes de enfermedades raras en la UE.

Acceso y financiación en España

La evolución en España también ha sido positiva con la incorporación de **24 nuevos productos que han obtenido el código nacional (CN)** frente a los 10 del año anterior.

En lo que respecta a la **financiación pública, los datos reflejan un descenso en el número de medicamentos financiados, pasando de 21 a 17 en 2024**.

A cierre de año, en España se contabilizan **131 fármacos huérfanos con código nacional, el 89% de los que tienen autorización de comercialización en la UE**. De estos, el SNS financia 85, es decir, el 58% de los **medicamentos autorizados en la UE**, 5 puntos porcentuales más que en el ejercicio anterior.

Por otro lado, el Informe indica que aún quedan **46 medicamentos huérfanos sin financiar** y que un 39% de ellos lleva más de tres años sin una resolución de financiación favorable.

Tiempos de espera

Durante 2024, los tiempos de espera desde que se obtiene el código nacional hasta la aprobación de la financiación mantiene la media de **23 meses** del año anterior.

AELMHU considera que este indicador, junto con otros ya comentados en el Informe, pone de manifiesto la necesidad de que el nuevo modelo de precio y financiación contemple la especificidad de los medicamentos huérfanos a la hora de su evaluación y financiación en nuestro país. Un modelo que, además, favorezca y facilite el acceso temprano y equitativo para todos los pacientes con enfermedades raras, área terapéutica estratégica identificada en la Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024-2028.

Terapias avanzadas con designación huérfana

El Informe de AELMHU refleja también la evolución de las terapias avanzadas para patologías poco frecuentes. Un dato especialmente relevante este año es la **financiación de 3 de ellas**, algo que no sucedía desde 2021.

Actualmente, **15 terapias avanzadas cuentan con autorización de comercialización**, de las cuales 14 disponen ya de código nacional en España y **7 están financiadas por el SNS**.

Para la presidenta de AELMHU, Beatriz Perales, “este Informe de 2024 refleja cómo gracias al el esfuerzo y colaboración de todos los agentes implicados en el proceso de evaluación y financiación se han generado avances y mejoras importantes en el acceso a estos tratamientos. Una tendencia positiva que debemos seguir fortaleciendo, preservando el abordaje y tratamiento diferencial que deben tener las enfermedades raras y, por ende, los medicamentos huérfanos”.

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, Ascendis Pharma, 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:
comunicacion@aelmhu.es

aelmhu.es | comunicacion@aelmhu.es