



RESUMEN EJECUTIVO

Informe Anual

ACCESO 2024

a los Medicamentos
Huérfanos en España

aeLmhu

Situación del acceso de los medicamentos huérfanos (MM.HH.) con designación huérfana vigente a 31 de diciembre de 2024 por la EMA y nombre comercial.

- 01 INFORME DE ACCESO AELMHU
- 02 METODOLOGÍA DEL INFORME
- 03 CONTEXTO ACTUAL DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS
- 04 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA UE Y EN ESPAÑA EN 2024
- 05 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS CON AUTORIZACIÓN DE COMERCIALIZACIÓN SIN CÓDIGO NACIONAL EN ESPAÑA EN 2024
- 06 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS FINANCIADOS EN ESPAÑA
- 07 TERAPIAS AVANZADAS CON DESIGNACIÓN HUÉRFANA
- 08 MEDICAMENTOS HUÉRFANOS NO FINANCIADOS
- 09 PRINCIPALES RESULTADOS DEL INFORME
- 10 VALORACIÓN Y RECOMENDACIONES
- 11 FUENTES DE INFORMACIÓN
- 12 ACRÓNIMOS

01 INFORME DE ACCESO AELMHU

La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) presenta un año más, las principales **conclusiones de su Informe Anual de Acceso a los Medicamentos Huérfanos (MM.HH.) en España.**

En este documento se analiza el estado de los productos con nombre comercial y designación huérfana por parte de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) a fecha 31 de diciembre de 2024, así como el procedimiento seguido por los mismos al llegar a nuestro país, desde la asignación de Código Nacional (CN) por parte de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), hasta su financiación pública.

Desde hace **más de 14 años, AELMHU trabaja para ofrecer más y mejores indicadores que permitan a todas aquellas personas interesadas** -pacientes, comunidad científica, profesionales, industria, decisores públicos y sociedad en general- **disponer de datos actualizados** de forma periódica sobre el acceso y la disponibilidad de la innovación, en un campo tan complejo y, al mismo tiempo, tan esperanzador, como son **los tratamientos para el abordaje de las enfermedades raras (EE.RR.).**

Para nuestra Asociación es una auténtica responsabilidad saber que nuestros informes se han convertido en la **principal referencia** de datos sobre el acceso de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos en España. Por ello, en aras de seguir mejorando la información disponible, trabajamos y ampliamos la línea del año pasado, profundizando por una parte en el análisis de algunos aspectos relevantes, como aquellos tratamientos huérfanos que cuentan con autorización de comercialización comunitaria, pero todavía no disponen de Código Nacional en nuestro país, analizando los plazos y las áreas terapéuticas con las que se corresponden. Y, por otra parte, **hemos actualizado nuestras propuestas para mejorar la situación de los medicamentos huérfanos en España con el fin de colaborar en el diálogo y consenso con todos los agentes implicados.** Esta colaboración y dialogo serán todavía más importantes si cabe dado el desarrollo normativo que se espera para el 2025 y próximos años.

En el contexto político, 2024 ha sido un año marcado por el impulso de diferentes iniciativas dirigidas a la transformación del Sistema Nacional de Salud (SNS), con el objetivo de sentar las bases de un paquete normativo que dé lugar a su publicación y aprobación durante 2025 y 2026. En este sentido, dos proyectos de ley, en Proyecto de Universalidad del Sistema Nacional de Salud y Proyecto de Ley de Equidad y Cohesión, ambos, respectivamente, se mantienen en fase de presentación de enmiendas para su debate en la Comisión de Sanidad del Congreso de los Diputados, al igual, que la Agencia Estatal de Salud Pública. Otros progresos normativos que se ha materializado este año han sido el Proyecto de **Real Decreto por el que se regulan los procedimientos de Financiación y Precio de los medicamentos**, actualmente en fase de consulta pública, y el **Real Decreto por el que se regula la evaluación de tecnologías sanitarias**, cuyo texto está pendiente de publicación. Respecto la reforma de la Ley de Garantías y Uso Racional del Medicamento, ahora llamada **Ley de los Medicamentos y Productos Sanitarios**, aún nos mantenemos a la espera de su publicación.

Casi a punto de terminar el año, se aprobó la **Estrategia de la Industria Farmacéutica**, cuyo objetivo es marcar la hoja de ruta para el sector en los próximos cuatro años y de la que **AELMHU forma parte.**

Estamos ante una gran oportunidad para avanzar hacia un modelo más inclusivo, innovador y sostenible, que tenga en cuenta las necesidades de los pacientes con enfermedades raras. En este sentido, la Estrategia ha reconocido la carga significativa que las **enfermedades raras** suponen para los pacientes y familiares, marcándola como **área terapéutica estratégica y prioritaria de trabajo**, así como el reconocimiento, también estratégico, de las terapias avanzadas que en la gran mayoría de los casos son tratamientos destinados a abordar enfermedades raras.

Igualmente, el Ministerio de Sanidad presentó el Informe de **"Evaluación de la Estrategia de Enfermedades Raras del Sistema Nacional de Salud 2024"** del que se espera que suponga un impulso a la renovación de la Estrategia de Enfermedades Raras, aprobada en 2009 y actualizada en 2014.

A nivel europeo, el Parlamento Europeo ha aprobado, por mayoría, la puesta en marcha de la **Estrategia Farmacéutica Europea, el Reglamento Europeo de Evaluación de Tecnologías Sanitarias (HTA)** ya está activado desde enero de 2025, y la Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios (AEMPS) trabaja en su implementación a nivel nacional.

La asociación ha participado en todas las consultas relevantes sobre iniciativas relacionadas con medicamentos huérfanos y enfermedades raras tanto a nivel autonómico como nacional e internacional, y el Informe de Acceso es un ejemplo de cómo **la asociación quiere seguir proyectando más y mejores indicadores para contribuir al objetivo común de agilizar la disponibilidad de la innovación farmacéutica en España.**

AELMHU es una organización sin ánimo de lucro que agrupa a empresas farmacéuticas y biotecnológicas **con un decidido compromiso por investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras para mejorar la calidad de vida de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultrarraras.**

La misión de la organización es contribuir a mejorar la **salud y la calidad de vida de las personas afectadas por enfermedades raras/poco frecuentes**, dando visibilidad a las patologías y poniendo en valor la investigación y los tratamientos para ellas.

Actualmente los **miembros de AELMHU** son: Alexion, AstraZeneca, Rare Diseases, Alnylam Pharmaceuticals, AOP Health, Argenx, Ascendis Pharma, Biocryst, Biogen, BioMarin, Chiesi, Csl Behring, Grupo Italfarmaco, Horizon, Immunocore, Insmad, Ipsen, Jazz Pharmaceuticals, Kyowa Kirin, Novartis, PTC Therapeutics, Sanofi, Sobi, Takeda, UCB, Ultragenyx Pharmaceutical y Vertex.

02 METODOLOGÍA DEL INFORME

El presente resumen ejecutivo del Informe Anual de Acceso de los Medicamentos Huérfanos en España 2024 ha sido elaborado a través de una metodología de revisión de datos centrada en cuatro fases:

01 Identificación de los medicamentos con designación huérfana vigente y con nombre comercial a 31 de diciembre de 2024

La designación huérfana (OD por sus siglas en inglés) se otorga durante las primeras etapas de la investigación de un medicamento. De los más de 2.9000 principios activos que han recibido esta OD por parte del Comité de Medicamentos y Productos Huérfanos (COMP, por sus siglas en inglés) de la Agencia Europea del Medicamento (EMA por sus siglas en inglés), se han identificado aquellos principios activos que la tienen vigente a fecha 31 de diciembre de 2024 (más de 2.000). De éstos, se identifican, en cada informe, aquellos que tienen nombre comercial (más de 250), excluyendo sus nuevas presentaciones o indicaciones.

Así, se obtienen **210 MM.HH. con OD vigente** a fecha de 31 de diciembre de 2024 y con nombre comercial.

02 Medicamentos huérfanos con autorización de comercialización y retirados

Después, se han analizado cuáles de estos MM.HH. han sido retirados (o todavía no han sido incluidos) en el Registro Comunitario de Medicamentos Huérfanos de la Comisión Europea para su comercialización en la UE (n=63). Como resultado, se obtiene el número de **productos huérfanos con autorización comercial (AC)** a 31 de diciembre de 2024, en países de la UE (n=**147**).

03 Medicamentos con Código Nacional

El tercer paso ha sido identificar cuáles de esos medicamentos con nombre comercial que están aprobados para su comercialización en la UE, tienen **Código Nacional (CN)** por parte de la AEMPS para su comercialización en España (n=**131**).

04 Medicamentos financiados

Por último, se han identificado cuáles y desde cuándo están financiados por el SNS los medicamentos huérfanos según la información recogida en el Nomenclátor del Ministerio de Sanidad (n=**85**). Como fecha de financiación se ha tomado la primera fecha de alta.

03

CONTEXTO ACTUAL DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

Los medicamentos huérfanos están destinados a establecer un diagnóstico, prevenir o tratar a pacientes que sufren alguna **enfermedad rara o minoritaria** sin alternativa terapéutica. Se trata de **medicamentos innovadores**, la mayoría de ellos de origen biotecnológico.

Las **enfermedades raras** forman un conjunto muy heterogéneo de enfermedades cuya principal característica común es su **baja prevalencia**, cerca del **80 % tienen origen genético y un alto porcentaje se manifiestan en edad pediátrica**.

Actualmente, las enfermedades raras o poco frecuentes **afectan a menos de 5 de cada 10.000 personas que carecen de tratamiento alternativo**. Estamos ante enfermedades **graves, crónicas e incapacitantes** que en un alto porcentaje comprometen la vida de los pacientes.

Se calcula que en el mundo existen más **de 6.300 enfermedades poco frecuentes, de las que solo un 6 % dispone de algún tipo de herramienta diagnóstica o tratamiento**, por lo que la investigación y la innovación en este campo representan una necesidad urgente para toda la sociedad.

Conscientes de esta situación, el Parlamento Europeo y el Consejo de la UE aprobaron el **Reglamento de la UE 141/2000, del que se sigue esperando actualización**, y el cual establecía que «los pacientes afectados por enfermedades raras deben tener derecho a la misma calidad de tratamiento que otros pacientes», incorporando incentivos para mejorar el conocimiento y promover la investigación, el desarrollo y la comercialización de medicamentos en el campo de las EE.RR.

Desde entonces, **la legislación impulsada desde la UE y desde España ha conseguido indudables avances**. De hecho, especialmente en los últimos años, **el esfuerzo investigador de las compañías farmacéuticas** se ha visto reforzado y ha aumentado la disposición de un número creciente de empresas capaces de aportar innovaciones en este campo.

Este esfuerzo sigue suponiendo una prioridad, como así reflejan los datos del último Informe Anual **sobre Ensayos Clínicos en Enfermedades Raras en España en 2023**, elaborado por AELMHU.

Como

dato especialmente positivo destaca el aumento de los ensayos clínicos en las primeras fases de desarrollo, pero un **descenso del 10 %** respecto al total del número de ensayos clínicos autorizados el año anterior (233 vs 190).

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.

Sin embargo, hay varias **áreas de mejora** para que ese interés de la industria por profundizar en un ámbito tan complejo como el de las enfermedades raras, tenga un reflejo directo en una mejor, y más rápida, disponibilidad a los medicamentos huérfanos para los pacientes.

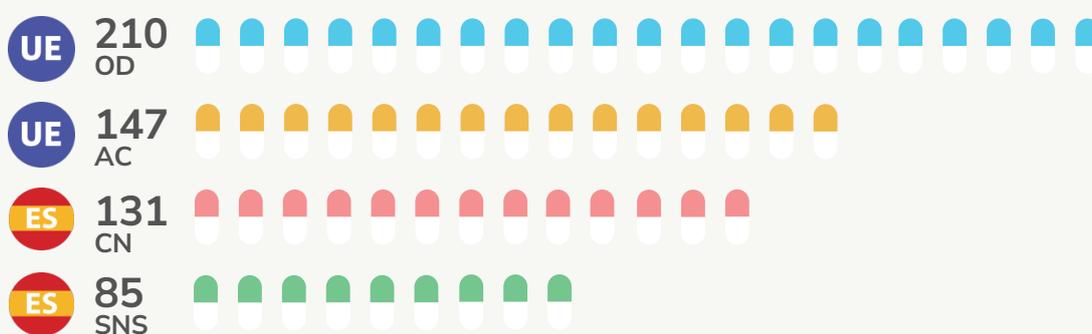
En este sentido, AELMHU quiere seguir profundizando en numerosos aspectos como la **equidad en el acceso** a estos tratamientos o la **agilización de procesos** burocráticos para facilitar el **acceso efectivo** a una oportunidad única para muchas personas que padecen este tipo de patologías y que no han encontrado una alternativa terapéutica.

04

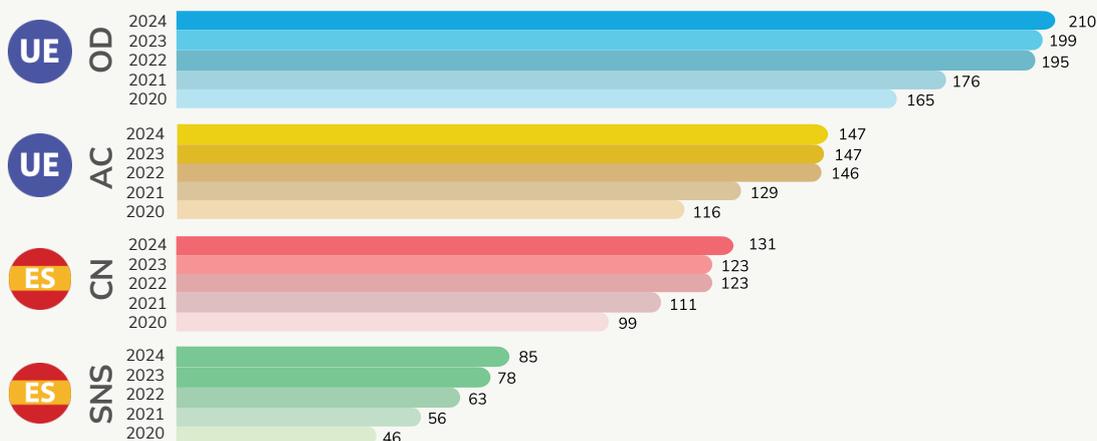
MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA UE Y EN ESPAÑA EN 2024

A fecha 31 diciembre 2024, hay un total de **210 medicamentos con designación huérfana vigente** y nombre comercial en la UE, de los cuales, **147 disponen de autorización de comercialización comunitaria**, **131 adquirieron Código Nacional** en España (89 %) y **85 están financiados** por el Sistema Nacional de Salud (58 %).

Principales indicadores en la UE y en España



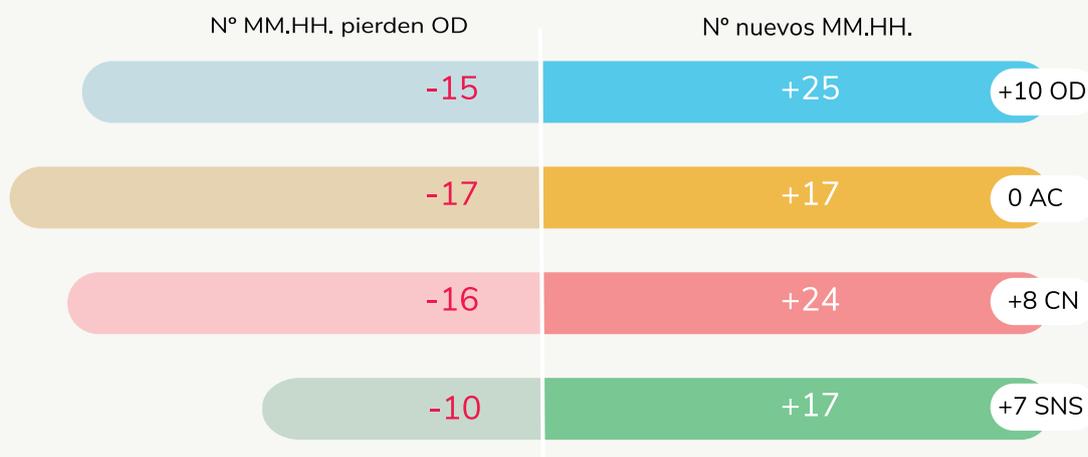
Evolución de los indicadores UE y España 2020-2024



Durante el 2024, todos **los indicadores sobre medicamentos huérfanos en la UE y en España mejoran**, aunque es importante resaltar que con **diferente magnitud**. Así, se observa el mayor incremento en las designaciones huérfanas, seguido por los tratamientos que obtienen Código Nacional y después aquellos que están financiados.

En estos indicadores también se tiene en cuenta, como se detalla a continuación, los tratamientos huérfanos que han perdido la designación huérfana y/o autorización de comercialización en 2024 y, que por lo tanto, quedan fuera de la muestra relevante para el estudio.

Variación de los indicadores entre 2023 – 2024



En este gráfico se detalla el número de **MM.HH. que han perdido la designación huérfana** durante el año 2024 y que, por lo tanto, quedarían excluidos del análisis: 15 fármacos con nombre comercial sin AC, 17 con AC, 16 con CN y 10 financiados. Así, las principales cifras en **términos netos de 2024** son las siguientes:

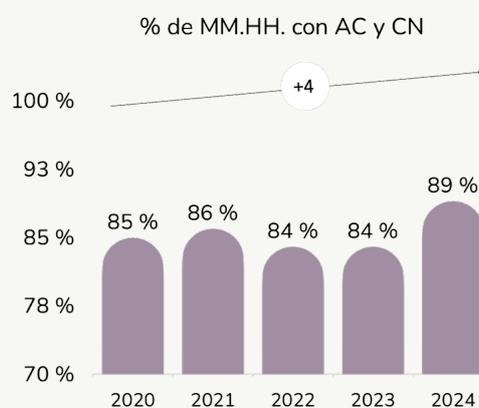
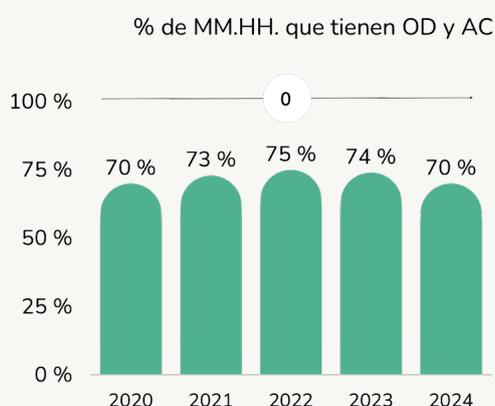
- Incremento de 11 nuevas designaciones positivas².
- Incremento de 1 AC.
- Incremento de 8 CN.
- Incremento de 7 nuevos medicamentos huérfanos financiados.

² Debido a un fallo en la actualización de la página de la EMA entre diciembre de 2023 y abril de 2024, el medicamento TAVNEOS no se incluyó en el informe anual de MM.HH. de 2023. Este error fue corregido en el informe del primer cuatrimestre de 2024. No obstante, en la comparativa anual 2023 vs. 2024, el total de medicamentos con OD presenta un ajuste por este motivo (199 OD de 2023 + 25 añadidos - 15 eliminados + TAVNEOS = 210 OD de 2024).

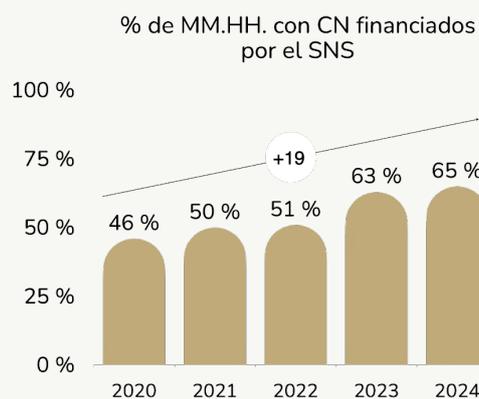
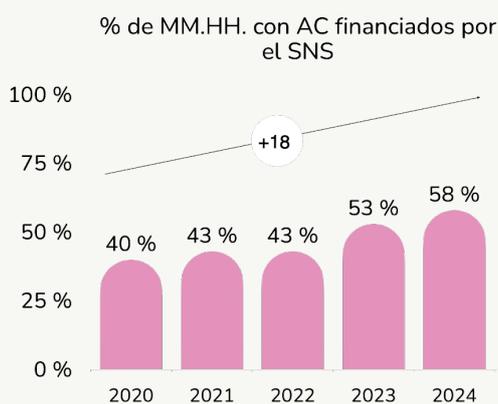
Comparativa entre indicadores

Tal y como reflejan los siguientes gráficos, el **70 % de todos los MM.HH. con designación huérfana vigente y nombre comercial, tiene autorización de comercialización comunitaria**, lo que representa una reducción de 4 puntos porcentuales con respecto a la cifra de 2023, e igualando el mínimo desde 2020.

Por otra parte, la proporción de solicitudes de **Código Nacional en España para aquellos medicamentos huérfanos con AC en 2024 aumenta al 89 %**, el porcentaje más alto durante los últimos 5 años.

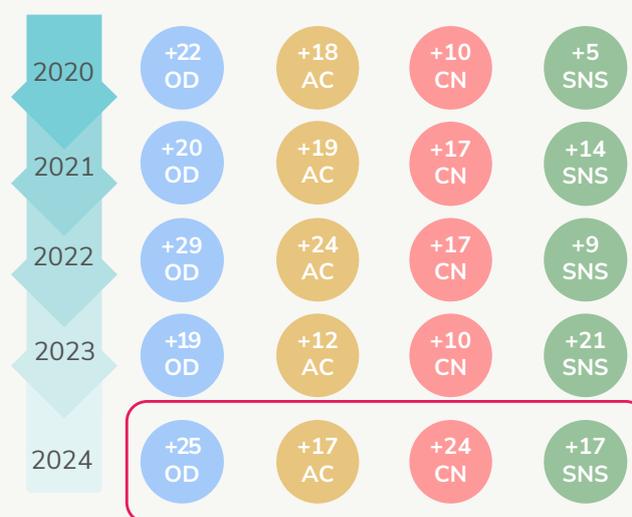


Los medicamentos huérfanos financiados por el SNS en 2024 representan el **58 % con AC y el 65 % con CN**; los incrementos son de 5 y 2 puntos porcentuales respectivamente desde el 2023. Más adelante profundizamos en los productos huérfanos que han sido financiados en 2024.



Situación de nuevos medicamentos huérfanos por año y por indicador

El siguiente gráfico muestra la evolución de los principales indicadores: nuevas designaciones, autorizaciones de comercialización, códigos nacionales y nuevos productos financiados en España, año por año desde el 2020.

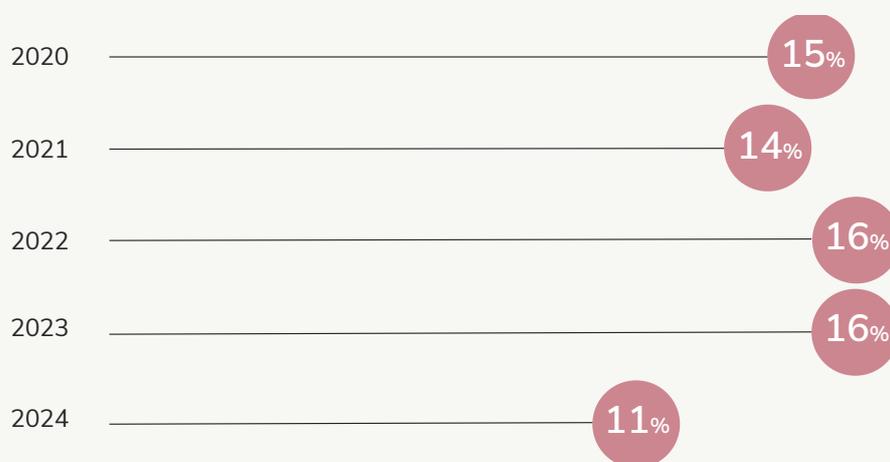


En términos absolutos, en el 2024 la evolución de todos los indicadores mejora. Si los comparamos con el año anterior, en los 3 primeros indicadores (OD, AC y CN), vemos incrementos considerables. **El incremento de un 140 % en Códigos Nacionales** merece especial mención. Sin embargo, el número de MM.HH. financiados es menor que en el 2023, año especialmente bueno para este indicador.

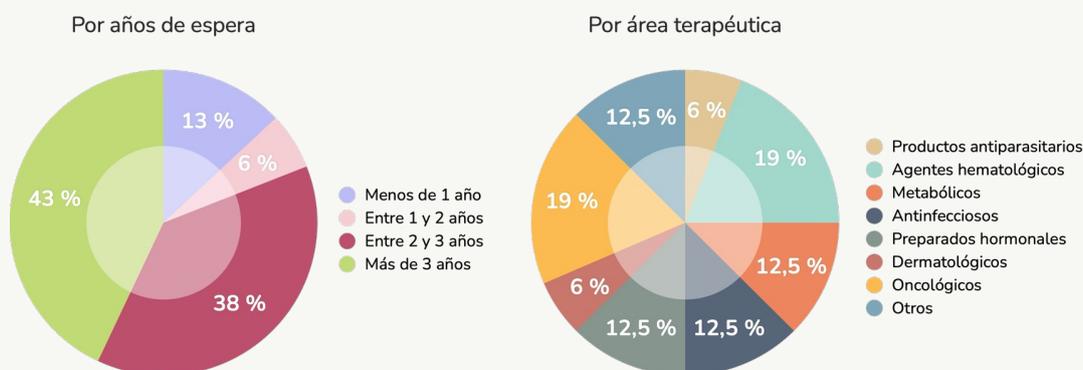
05

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS CON AUTORIZACIÓN DE COMERCIALIZACIÓN SIN CÓDIGO NACIONAL EN ESPAÑA EN 2024

A 31 de diciembre de 2024, **había 16 MM.HH. con autorización comercial que todavía no habían llegado a España** (sin CN), lo que representa un 11 % de los autorizados a nivel comunitario. Hay una reducción importante en este porcentaje en el 2024 consiguiendo que esta proporción sea la más baja de los últimos cinco años.



Si nos fijamos en el tiempo transcurrido desde que estos tratamientos han obtenido la autorización de comercialización, podemos observar que el 13 % la ha obtenido hace menos de 1 año, el 6 % entre 1 y 2 años y el 81 % restante, hace más de 2 años. Este último porcentaje es el que más ha crecido respecto a 2023, año en el que el porcentaje de los medicamentos que habían obtenido la autorización de comercialización hace más de 2 años, se situaba en el 37 %.



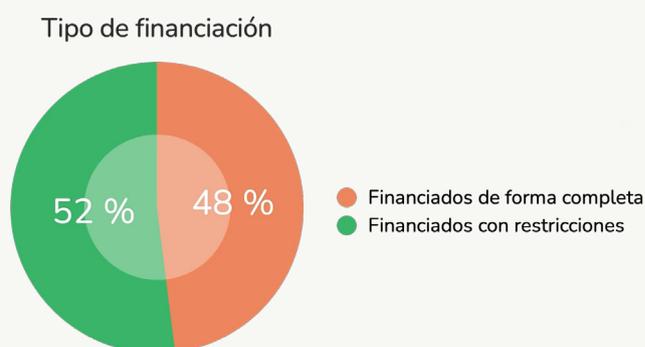
Por área terapéutica, los agentes hematológicos y oncológicos se convierten en el área predominante (19 % cada uno), seguido por antiinfecciosos, metabólicos y preparados hormonales (12,5 % cada uno respectivamente).

06

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS FINANCIADOS EN ESPAÑA

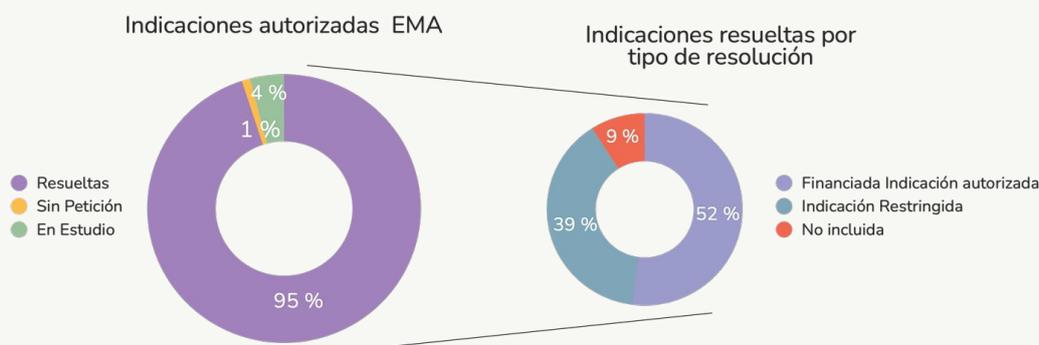
Medicamentos financiados en España

A fecha de 31 diciembre 2024, están **financiados 85 medicamentos huérfanos en España**, lo que representa un 65 % del total de los 131 MM.HH. con Código Nacional. Este porcentaje es **2 puntos más alto que en 2023**.



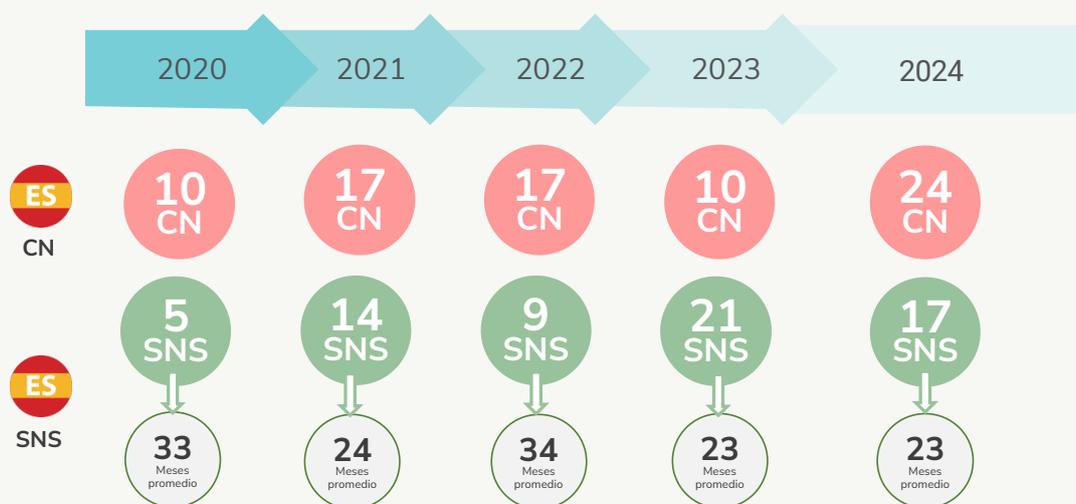
De estos 85 medicamentos con resolución positiva de precio y financiación en el SNS, y como indica el gráfico anterior, el **52 % (44) está financiado con restricciones**, ya sea debido a restricciones en la/s indicación/es autorizada/s, o debido a que tienen alguna indicación no financiada.

Además, estos 85 medicamentos poseen un total de 115 indicaciones autorizadas por la EMA, y, de ellas, 59 están financiadas sin ninguna restricción, tal y como se detalla en la imagen siguiente:



Medicamentos financiados en 2024

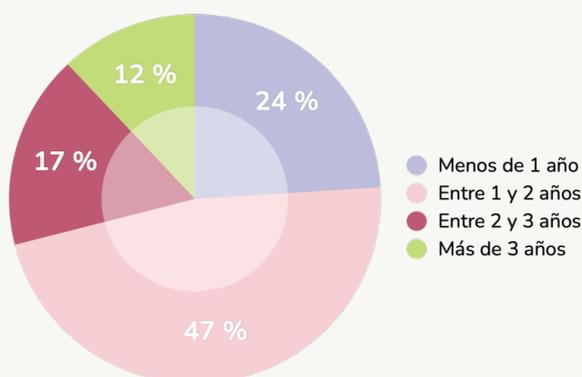
En el ejercicio 2024 se financiaron en España **17 nuevos medicamentos huérfanos**: 9 durante el primer cuatrimestre, 3 en el segundo cuatrimestre y 5 en el tercero. La cifra del 2024 es la segunda más alta de los últimos 5 años, solo por debajo del máximo histórico de 2023.



El tiempo medio transcurrido entre la autorización de comercialización comunitaria de los 17 nuevos productos financiados y la obtención de Código Nacional fue de 6 meses, mientras que **el plazo de espera desde el CN a su incorporación en el SNS fue de 23 meses**, ambos igual que en 2023. Es importante seguir trabajando en reducir estos tiempos.

De los 17 nuevos productos financiados durante todo 2024, casi la mitad de ellos ha esperado una media de entre 1 y 2 años para conseguir la financiación, y el 30 % más de 2 años.

% productos financiados durante 2024 por años de espera



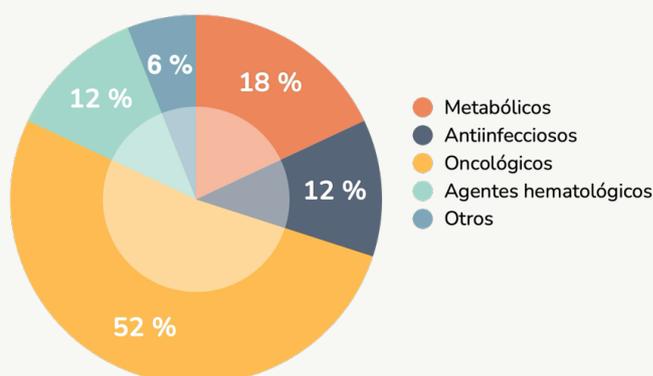
Por otro lado, **el 41 % de los 17 productos nuevos financiados durante 2024 tienen restringida su financiación** (en base a las indicaciones aprobadas por EMA) y **el 100 % de ellos tienen condicionada su financiación.**

Además, 15 de los 17 medicamentos tienen condiciones de seguimiento y **16 están sometidos a 2 ó más condiciones de financiación.**

Por otra parte, observamos que 16 de los 17 MM.HH. han pasado al menos 2 veces a la Comisión Interministerial de Precios (CIPM), y de éstos, 8 fueron 3 veces. De hecho, todos los tratamientos fueron financiados por los criterios (a) y (c) recogidos en la legislación vigente para la financiación de nuevos medicamentos, que recordemos versan sobre la gravedad, duración y secuelas de la patología, y valor terapéutico y social del medicamento, respectivamente.

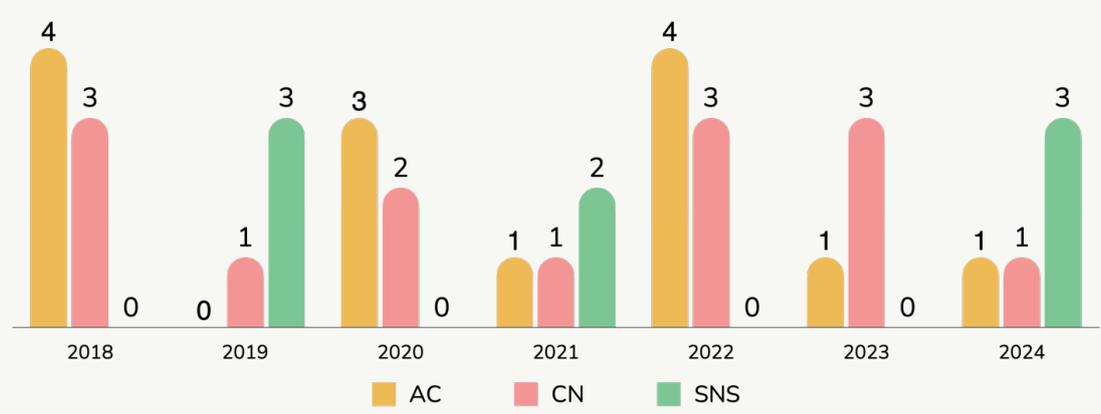
Por último, de los 17 nuevos medicamentos huérfanos financiados durante este año, más del 50 % (9) son para enfermedades oncológicas, y el 18 % (3) para enfermedades metabólicas.

% productos financiados durante 2024
por área terapéutica



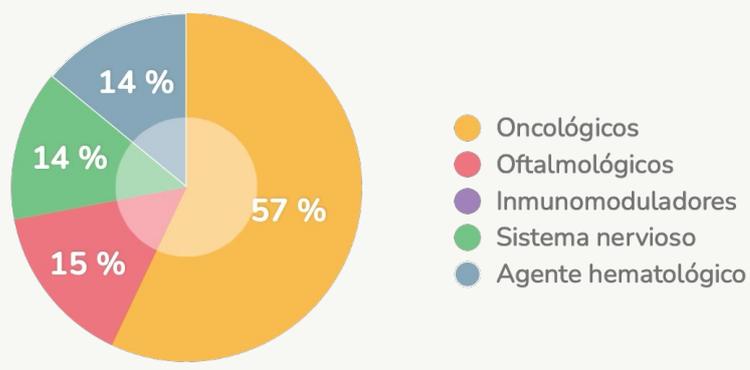
07 TERAPIAS AVANZADAS CON DESIGNACIÓN HUÉRFANA

A fecha de 31 diciembre 2024, hay 15 terapias avanzadas con designación huérfana y autorización de comercialización. De éstas, 14 tienen Código Nacional, aunque solo la mitad están financiadas por el SNS (7). De las 7 terapias restantes con CN, pero no financiadas, 5 tienen una resolución desfavorable, y 2 están en estudio o sin petición de financiación.



Es importante remarcar que en 2024 España ha incorporado al SNS 3 terapias con designación huérfana; esto es un hito teniendo en cuenta que la última terapia avanzada con designación huérfana financiada en nuestro país fue en 2021.

Cuatro de estas terapias son oncológicas y el resto son: 1 oftalmológica, 1 inmunomoduladora y 1 para el sistema nervioso, respectivamente. Además, las 7 terapias están incluidas en Seguidmed y Valtermid, y seis tienen al menos 2 condiciones de financiación adicionales, incluyendo pago por resultados (6) y revisión de precios (3).



Por último, **33 terapias avanzadas con OD** están incluidas en el **programa PRIME** de la EMA, que está destinado a apoyar el desarrollo de medicamentos dirigidos a necesidades médicas no cubiertas, y otras **5 están en evaluación por el CHMP**.

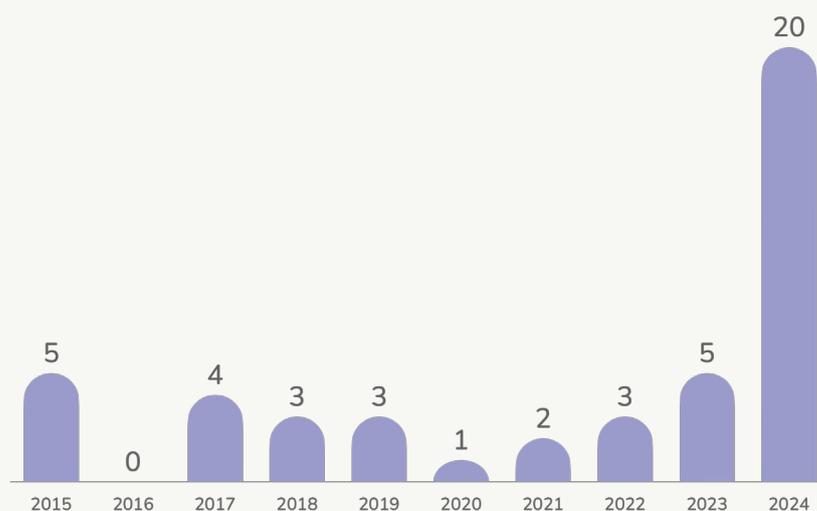
Por otra parte, se incluye como novedad en este Resumen Ejecutivo información sobre las terapias avanzadas académicas, ya que se ha dado autorización de uso a 2 de estas terapias en el 2024; en total, y a fecha 31 diciembre 2024, se ha dado autorización de uso a 5 de estas terapias académicas.



08

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS NO FINANCIADOS

Actualmente en España hay **46 medicamentos huérfanos sin financiar**, 1 más que en 2023. De éstos, la mitad (23) ha recibido una resolución negativa de financiación mientras que la otra mitad (23) o se encuentra en estudio o su financiación no ha sido solicitada todavía.

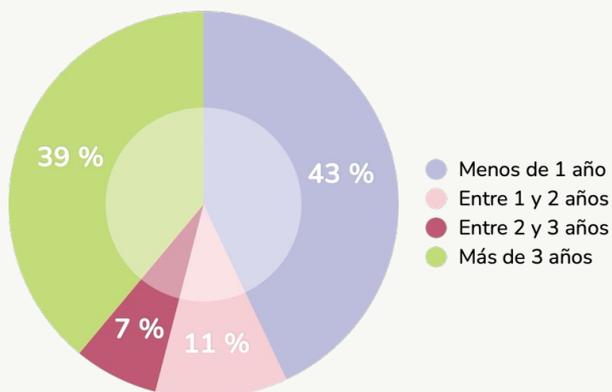


Tal y como refleja el gráfico adjunto, de estos 46 medicamentos huérfanos:

- El 35 % (16) llevan esperando financiación pública desde el periodo 2015-2020.
- El 22 % (10) con CN en el periodo 2021-2023 continúan sin financiación por el SNS.
- El 43 % restante (20) recibió CN en 2024.

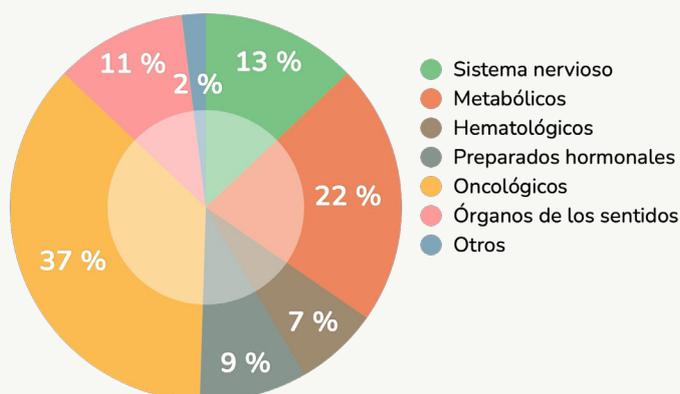
Además, casi el 40 % de los MM.HH. con CN sin financiación **llevan esperando más de 3 años para su incorporación al SNS**, si bien es cierto que más del 40 % (20) lleva menos de un año en esta situación.

MM.HH. sin financiar con CN
por años de espera



De los medicamentos huérfanos no financiados, un 37 % son para enfermedades oncológicas y un 22 % metabólicas, entre otras.

MM.HH. con CN sin financiar
por área terapéutica



En el Informe Anual también se recoge la información sobre reuniones de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos y Productos Sanitarios (CIPM) que han considerado estos medicamentos, y los criterios acordados para denegar su financiación (información reflejada en las actas publicadas a 31 de diciembre de 2024 disponible en la página web del Ministerio de Sanidad).

De estos 46 medicamentos huérfanos, 17 han pasado por la CIPM durante el periodo 2018-2024. Para 16 de ellos, se recogen los **criterios acordados para denegar su financiación, y en todos estos se incluye el criterio d** – racionalización del gasto – para la no financiación. Por otra parte, el **criterio c** – valor terapéutico y social – ha sido incluido en decisiones para 6 medicamentos y, por último, el **criterio e** – existencia de otras alternativas a menor precio – para 3.

Sobre los 20 medicamentos no financiados con **CN del año 2024**, solo 1 ha pasado por la CIPM, y tiene el **criterio d** para el acuerdo denegatorio.

09 PRINCIPALES RESULTADOS DEL INFORME

- 01** Para AELMHU, los datos de acceso a los medicamentos huérfanos en 2024 continúan reflejando que el futuro de los tratamientos huérfanos en la UE sigue siendo positivo, lo que representa una **extraordinaria noticia para todos aquellos pacientes y familias** que todavía no han encontrado un diagnóstico o tratamiento para sus patologías y miran a la innovación farmacéutica con gran esperanza. Sin embargo, y como comentamos en la Introducción, no hay que olvidar que solo el 6 % de las enfermedades raras dispone de tratamiento, por lo que hay que seguir manteniendo e incrementando, entre todos, el esfuerzo para que ese porcentaje crezca.
- 02** Las cifras a nivel de Europa son positivas, ya que en el último año **han mejorado todos los parámetros comunitarios, aunque con desigualdad**. Las 25 nuevas designaciones huérfanas es una cifra relativamente alta con respecto a otros años, si bien el número de autorizaciones de comercialización (17) está por debajo. Aun así, este resultado es importante, por ello, debemos monitorizar estos dos indicadores en el corto plazo, con el objetivo de mantener e incrementar estas cifras durante los próximos años.
- 03** En España se ha conseguido un **incremento histórico en nuevos Códigos Nacionales (24)**, lo que ha reducido en 5 puntos porcentuales el porcentaje de medicamentos huérfanos con AC, pero sin CN. Además, **el incremento en el número de nuevos MM.HH. financiados por el SNS (17) ha sido considerable**, si bien todos menos uno de estos medicamentos tuvo que pasar al menos 2 veces a la CIPM para obtener su resolución positiva. Esta proporción es más alta que la de 2023.
- 04** El **tiempo de espera** entre CN y resolución positiva de precio y financiación, sin embargo, **se ha mantenido en 23 meses**, por lo que no se ha podido continuar la tendencia descendente observada en 2023. En este sentido, debemos trabajar entre todos en reducir los tiempos de acceso, para que sea uno de los objetivos fundamentales que se persiga con el esperado desarrollo normativo, tanto en Europa como en España, dado que en la actualidad se sigue estando lejos de satisfacer los tiempos incluidos en la legislación vigente.
- 05** En términos de financiación, el porcentaje de medicamentos huérfanos financiados por el SNS con respecto al total de autorizaciones europeas sigue en tendencia ascendente, llegando al 58 % (desde el 53 % de 2023), por lo que ahora **España financia (casi) 6 de cada 10 MM.HH. aprobados por la UE**. Además, merece especial mención que 3 de los tratamientos financiados en el 2024 obtuvieron su CN ese mismo año, por lo que los tiempos de espera para éstos ha sido relativamente corto. Valga recordar que ninguno de los 10 tratamientos que obtuvieron CN durante 2023 fueron financiados durante ese mismo año.
- 06** Todos los productos nuevos financiados durante 2024 siguen con **financiación condicionada y con condiciones de seguimiento**, y, además, una proporción ligeramente más alta que el año anterior tiene financiación restringida (en base a las indicaciones aprobadas por EMA). **También ha aumentado la proporción de MM.HH. (todos menos uno) sometidos a 2 o más condiciones de financiación**.
- 07** Por otro lado, a fecha 31 de diciembre de 2024, **había 16 MM.HH. aprobados a nivel europeo que no disponían de CN en España**, representando el 11 % del total de los autorizados. En este indicador observamos una reducción considerable, por lo que creemos que es importante seguir en esta senda. Sin embargo, de ellos, el 87 % lleva más de un año autorizado sin que haya accedido todavía a nuestro mercado, lo supone una menor disponibilidad de innovaciones relevantes para los pacientes españoles.
- 08** A fecha de 31 diciembre 2024, hay 15 terapias avanzadas con designación huérfana y autorización de comercialización. Si bien 14 de estas tienen Código Nacional, solo la mitad están financiadas por el SNS - y **3 de estas 7 se han financiado en 2024**, hito que no ocurría desde 2021. De las 7 terapias restantes con CN, pero no financiadas, 5 tienen una resolución desfavorable, y 2 están en estudio o sin petición de financiación.
- 09** En este momento, **46 medicamentos huérfanos se encuentran sin financiar en nuestro país**, 1 más que en 2023, y casi el 40 % lleva esperando más de 3 años para su incorporación al SNS. Las razones principales de no financiación han sido la racionalización del gasto público y el valor terapéutico y social del medicamento.

10 VALORACIÓN Y RECOMENDACIONES

01

Esta nueva edición del Informe Anual de Acceso de Medicamentos Huérfanos en España pretende seguir aportando información sobre el estado actual e histórico del acceso a estos tratamientos en España, con el objetivo de **continuar el diálogo con todos los agentes del sector, en aras de mejorar el acceso por parte de los pacientes a los tratamientos** que, desafortunadamente, tanto necesitan.

02

Los datos de acceso del año 2024 arrojan resultados positivos y esperanzadores, sobre todo en términos de medicamentos huérfanos con Código Nacional. Hay que seguir reduciendo ese porcentaje de medicamentos autorizados en Europa, pero que no llegan a España, y no volver a las cifras de años anteriores. En el 2019 el porcentaje era de 9 %, y una aspiración para 2025 sería reducirlo por debajo de esta cifra. El número de medicamentos financiados por el SNS también ha visto un incremento importante, y **España financia casi 6 de cada 10 MM.HH. con Autorización de Comercialización (AC) europea.**

03

Los **tiempos de espera** entre el Código Nacional (CN) y su inclusión en el SNS, sin embargo, se ha mantenido igual que el año anterior. Como buena noticia, 3 de los medicamentos financiados en 2024 obtuvieron su CN ese mismo año (ningún medicamento con CN en 2023 fue financiado ese mismo año). Para poder proporcionar el tratamiento a los pacientes a su debido tiempo, incluido a los de reciente autorización, se requiere un esfuerzo de todos y es imperativo seguir trabajando en acortar estos plazos. Para ello, AELMHU manifiesta el **compromiso** de todos sus miembros para trabajar de manera colaborativa entre todos los agentes, en un entorno de confianza.

04

Este contexto nos lleva a demandar, una vez más, que España debería ser capaz de **mejorar y agilizar los procesos de aprobación de MM.HH.**, sobre todo porque su eficacia y seguridad ya han sido acreditadas por la Agencia Europea del Medicamento (EMA).

05

Los medicamentos huérfanos proporcionan un gran valor sanitario para los pacientes con enfermedades raras, pero también económico y social para España, como así lleva muchos años defendiendo AELMHU, desde la convicción de que la **innovación es un activo tangible para toda la sociedad y un proyecto de país.**

06

En términos de materia legislativa relacionada con el acceso, se espera que el 2025 sea un año importante. A nivel europeo, ya tenemos en marcha la Regulación europea de Evaluación de Tecnologías Sanitarias, que será de especial importancia para los medicamentos huérfanos. Este nuevo proceso **evaluará los medicamentos que sean elegibles para ello desde una perspectiva clínica** (a través de la evaluación clínica conjunta), y los cuatro ámbitos que se incluyen son: la identificación de un problema de salud y la tecnología sanitaria actual, el análisis de las características técnicas de la nueva tecnología sanitaria, su seguridad relativa y su eficacia clínica relativa. Lo importante a nivel nacional es que el resultado de la evaluación deberá tenerse en cuenta a la hora de la evaluación de los aspectos no-clínicos que se haga en España, y donde se incluye la evaluación económica, y aspectos éticos, organizativos, sociales y jurídicos.

07

En España también ha habido novedades. En primer lugar, se publicó en agosto 2024 **el Borrador de proyecto de Real Decreto por el que se regula evaluación de las tecnologías sanitarias. En diciembre 2024, se publicaba la consulta pública previa al proyecto de Real Decreto por el que se regulan los procedimientos de financiación y precio de los medicamentos.** Desde AELMHU enviamos nuestras aportaciones a ambas consultas. Lo que aún no se ha publicado ha sido el Anteproyecto de la Ley de Medicamentos y Productos Sanitarios.

08

Como ya incluimos en nuestras aportaciones al Borrador de Real Decreto de evaluación, desde AELMHU queremos agradecer que se nos incluyese en la Memoria de Impacto Normativo de este Borrador, como parte del conjunto de organizaciones que deberían ser oídas en sus aportaciones en este proceso de audiencia, y valoramos positivamente estos avances en materia normativa. **Sin embargo, consideramos que este Real Decreto debería reconocer las especificidades de las características especiales de las enfermedades raras y ultrarraras**, en línea con el Reglamento (UE) 2021/2282, sobre evaluación de tecnologías sanitarias, y otras políticas comunitarias de referencia. Las características inherentes de las EE.RR. requieren un abordaje específico en evaluación de los medicamentos dirigidos a éstas. Este abordaje específico está bien establecido y consagrado en otros países, así como a nivel europeo. Por eso consideramos fundamental que el nuevo sistema de evaluación contemple un proceso específico para los medicamentos huérfanos y con unos criterios de evaluación acordes con las características de estos medicamentos. En el Resumen Ejecutivo del Informe de Acceso de 2023 ya comentábamos que desde AELMHU habíamos compartido con el Ministerio de Sanidad dos documentos, uno con recomendaciones sobre el proceso de acceso y la evaluación de MM.HH., y otro sobre un programa de "Acceso Temprano" para medicamentos con designación huérfana o medicamentos para enfermedades minoritarias. Estos dos documentos sirvieron de base para las aportaciones.

09

Con respecto a la consulta pública previa al proyecto de Real Decreto de precios, nuestra aportación resaltaba que **en AELMHU estamos comprometidos con alcanzar el mayor consenso posible**, entre todos los agentes involucrados, con la necesaria dotación de recursos al sistema, velando por una gobernanza holística y garantizando la perspectiva social de la normativa sanitaria española. También consideramos fundamental **implementar mecanismos e instrumentos de gobernanza** que faciliten el desarrollo conjunto y consensuado de modelos de evaluación de la innovación, adaptados a cada patología. En esta consulta pública se hace referencia a procedimientos y condiciones para autorizaciones de **financiación acelerada, condicional y provisional**, algo que actualmente no está contemplado en nuestro sistema. Desde AELMHU llevamos, desde hace años, trabajando en esta línea, quedando reflejada en el documento anteriormente mencionado con nuestras recomendaciones para un programa de "ACCESO TEMPRANO en España" para medicamentos con designación huérfana o medicamentos para Enfermedades minoritarias. Otras sugerencias que incluimos en nuestras aportaciones fueron:

- a. La evaluación de la eficiencia de los medicamentos debe regirse por un marco flexible que utilice metodologías de evaluación que pongan en valor la contribución social del medicamento, así como que contemple la idiosincrasia específica de los medicamentos huérfanos (baja prevalencia de las enfermedades, limitaciones en estudios epidemiológicos, y falta de comparador, entre otras).
- b. La necesidad de establecer y fortalecer un proceso de diálogo temprano y continuo entre la Administración y las empresas, que permita identificar terapias emergentes con antelación, generando la evidencia necesaria para facilitar el acceso, y alineando expectativas.
- c. Facilitar la recogida de datos de vida real y de efectividad de los medicamentos en la práctica clínica de los Centros, Servicios y Unidades de Referencia del SNS (CSURs), y poder utilizar la evidencia de datos de vida real generada en España a través de uso compasivo/situaciones especiales.
- d. No incluir a los medicamentos huérfanos en el sistema de precios de referencia.
- e. Incluir en las definiciones de transparencia y de confidencialidad, aquellos aspectos que, por la propia naturaleza del procedimiento en cuestión, deban permanecer confidenciales, con el fin de salvaguardar la competencia y el correcto funcionamiento del mercado, estando así en consonancia con la voluntad de la Estrategia de la Industria Farmacéutica.

10

Por otra parte, a finales de 2024 se presentó en nuestro país la **Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024-2028**, que tiene el acceso a los medicamentos como uno de los ejes principales, siendo el fomento de la investigación, la innovación y el desarrollo, y asegurar la competitividad, resiliencia y ecosostenibilidad del ecosistema industrial y sus cadenas de suministro, los otros dos. **AELMHU fue incluido como una de las principales patronales de la industria farmacéutica en España**, y ya hemos participado en la primera reunión del denominado Comité Mixto Ministerios-Industria, que tiene como funciones principales la coordinación interministerial y el seguimiento de la propia Estrategia en coordinación con el sector industrial farmacéutico. También es importante resaltar que **las enfermedades raras, las terapias avanzadas y la cronicidad han sido identificadas como tres áreas terapéuticas estratégicas**. Para 2025, será clave que el desarrollo normativo tenga en cuenta los objetivos de esta Estrategia.

11

Los factores que determinan finalmente si los pacientes que sufren una enfermedad rara tienen acceso a un medicamento huérfano son múltiples y complejos. La mejora en varios indicadores es innegable, pero **es preciso 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**. Esperamos que el tan importante, y esperado, desarrollo normativo durante 2025 tenga en cuenta todos estos aspectos.

12

Como último comentario, y más allá de las cifras incluidas en el Informe, es imperativo **asegurar la equidad en el acceso de los pacientes a los medicamentos huérfanos entre diferentes Comunidades Autónomas**.

AELMHU quiere reiterar su colaboración para que todos juntos -industria, pacientes, comunidad científica, profesionales y decisores públicos- **aunemos fuerzas con el fin de encontrar soluciones que mejoren la calidad de vida de todas aquellas personas que padecen una enfermedad minoritaria**.

Esperamos que en nuestros informes cuatrimestrales de 2025 sigamos anunciando buenas noticias.

11 FUENTES DE INFORMACIÓN

- 01 [Medicamentos con designación huérfana positiva de la Agencia Europea del Medicamento](#)
- 02 [Registro Comunitario de Medicamentos Huérfanos](#)
- 03 [Medicamentos Huérfanos autorizados por la AEMPS](#)
- 04 [Medicamentos Huérfanos financiados por el SNS \(Nomenclátor\)](#)
- 05 [Acuerdos Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos \(CIPM\)](#)

12 ACRÓNIMOS

- **AC:** Autorización de Comercialización.
- **AEMPS:** Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios.
- **CHMP:** Comité de Medicamentos de Uso Humano.
- **CN:** Código Nacional.
- **COMP:** Comité de Medicamentos y Productos Huérfanos.
- **CIPM:** Comisión Interministerial de Precios de Medicamentos.
- **EE.RR.:** Enfermedades Raras.
- **EMA:** Agencia Europea del Medicamento.
- **MM.HH.:** Medicamentos Huérfanos.
- **OD:** Orphan Designation.
- **REER:** Registro Estatal de Enfermedades Raras.
- **SNS:** Sistema Nacional de Salud.
- **TT.AA.:** Terapias Avanzadas.
- **UE:** Unión Europea.

aeLmhu

asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

comunicacion@aelmhu.es

