

AELMHU presenta su Informe sobre Ensayos Clínicos para Enfermedades Raras en España en 2024

España autoriza un 10 % más de ensayos clínicos para enfermedades raras

- De los 929 ensayos clínicos autorizados en España, 207 fueron dirigidos a enfermedades raras.
- La participación en los ensayos clínicos para enfermedades raras aumenta un 15 % con respecto a 2023.
- La industria farmacéutica impulsó el 94 % de los ensayos clínicos para enfermedades raras.

Madrid, 20 de mayo de 2025.- La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos ([AELMHU](#)) ha publicado un nuevo informe que analiza los datos más relevantes sobre los ensayos clínicos autorizados para las patologías poco frecuentes y su evolución en los últimos cinco años en nuestro país. El lanzamiento se enmarca en el contexto del Día internacional del ensayo clínico que se celebra hoy.

Según los datos, en 2024 se autorizaron en España un total de **929 ensayos clínicos**. De ellos, **207 ensayos** estaban dirigidos a **enfermedades raras**. Si se compara el número de ensayos clínicos para enfermedades raras autorizados en 2024 con el del 2023, se observa un **incremento del 10 %** en este último año. Este aumento es una buena noticia para el país, y, especialmente, para los pacientes que están esperando la llegada de un tratamiento, en muchos casos, el primero para tratar su enfermedad.

Participación en los ensayos clínicos

Según datos del informe de AELMHU basados en el Registro Español de Estudios Clínicos (REec), dependiente de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), se observa un **incremento de un 15 % en el número de personas** participantes de los ensayos clínicos para enfermedades raras con respecto al año 2023.

En 2024, 3.659 personas participaron en este tipo de ensayos, de ellas, 602 estaban **en edad pediátrica**, un 16 % del total. Esta cifra es clave, dado que muchas de estas enfermedades tienen un origen genético y la investigación en estas edades ayuda a comprender mejor su evolución y encontrar estrategias de intervención temprana.

Otro dato que se detalla en el documento es el tipo de promotor de los ensayos para estas patologías. Durante el 2024, **la industria farmacéutica impulsó el 95 % de los ensayos clínicos para enfermedades raras** que se autorizaron en España ese año. Este dato evidencia el interés y compromiso de la industria con la investigación y desarrollo de nuevos tratamientos para los pacientes con patologías poco frecuentes.

En cuanto a la participación de las comunidades autónomas, **Cataluña, la Comunidad de Madrid, Andalucía y la Comunidad Valenciana** fueron las comunidades que más ensayos concentraron, registrando más del **60 % de los ensayos clínicos** para enfermedades raras en España en 2024.

Fases y áreas terapéuticas de los ensayos clínicos

Así, los ensayos clínicos sobre enfermedades raras en España se concentraron mayoritariamente en las fases iniciales (I, II y III).

Respecto a **las áreas terapéuticas**, el informe destaca una tendencia hacia una mayor diversificación entre ellas. Oncología sigue siendo un área predominante, pero su peso relativo ha bajado ligeramente, a un 26 %, cuatro puntos porcentuales menos que en 2023. En esa línea, también está el aumento de ensayos clínicos en áreas relacionadas con enfermedades sobre el sistema nervioso, y los fenómenos genéticos.

“Estos resultados confirman que la investigación en enfermedades raras no solo se mantiene, sino que crece de forma sostenida. La industria farmacéutica sigue reforzando su compromiso con la investigación de las enfermedades raras, con la búsqueda de nuevos tratamientos para los pacientes y con su disposición para alcanzar soluciones con las administraciones que permitan agilizar la llegada de nuevos tratamientos a España. Desde AELMHU creemos firmemente que el trabajo conjunto se traducirá en más oportunidades terapéuticas y en un acceso más rápido a los tratamientos para los pacientes”, ha expresado Beatriz Perales, presidenta de AELMHU.

Terapias avanzadas para enfermedades raras

Como novedad en este informe, se incorpora un análisis pormenorizado de la autorización de ensayos clínicos con medicamentos de terapias avanzadas para enfermedades raras.

En 2024, se autorizaron 52 ensayos clínicos con terapias avanzadas y, de ellos, **27 estuvieron dirigidos a enfermedades raras**, una tendencia que se mantiene estable respecto a años anteriores. Las terapias avanzadas se consolidan como una línea terapéutica clave en la investigación para las enfermedades raras aportando soluciones innovadoras para los pacientes.

Los ensayos clínicos 2020-2024

En el último lustro se han autorizado en España 4.715 ensayos clínicos, un 23 % para enfermedades raras. Desde 2020, **los ensayos clínicos dedicados a enfermedades raras han aumentado un 7 %**, pasando de 194 a 207 en 2024, lo que indica un aumento sostenido del interés en la investigación de patologías minoritarias.

En los últimos cinco años se han autorizado **199 ensayos clínicos con terapias avanzadas** de los cuales, **101** han estado dirigidos a enfermedades raras.

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, Biocryst, Biogen, BioMarin, Chiesi, CSL Behring, Esteve, Immunocore, Insmad, Ipsen, Italfarmaco, Kyowa Kirin, Novartis, Pharma&, PTC Therapeutics, Sanofi, Sobi, Takeda, UCB, Ultragenyx Pharmaceutical y Vertex.

Para más información: comunicacion@aelmhu.es