

## **ANIS y AELMHU impulsan la formación en medicamentos huérfanos y enfermedades raras para informadores de salud**

- ***II Jornada Enfermedades Raras en España: retos comunes y proyección de futuro***

**Madrid, 25 de junio de 2025.** La Asociación Nacional de Informadores de la Salud (ANIS) y la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) han organizado este miércoles la II Jornada Formativa sobre enfermedades raras, dirigida a periodistas especializados en salud.

El objetivo de la formación, impartida por profesionales de gran prestigio nacional en el ámbito sanitario, ha sido crear un espacio de encuentro en el que los informadores de salud han podido adquirir conocimientos, para lograr una mejor precisión y especialización sobre las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos.

La moderadora, Susana Fernández Olleros, vicepresidenta de ANIS, ha resaltado la importancia de la formación de los periodistas, quienes se enfrentan a temas sobre enfermedades raras, legislación, medicamentos huérfanos o ensayos clínicos. “La formación continua es vital para que los periodistas de salud realicen una información de calidad y rigurosa, sobre temas tan sensibles y complejos”, ha destacado.

Durante la inauguración, María José Sánchez, vicepresidenta de AELMHU, ha puesto en valor la necesidad de seguir invirtiendo “en investigación y en el desarrollo de medicamentos huérfanos, así como de continuar mejorando los procesos de evaluación, acceso y financiación para que los pacientes puedan beneficiarse de la innovación”.

### **El acceso a los Medicamentos Huérfanos en España**

En el evento, que ha tenido lugar en la Asociación de la Prensa de Madrid en formato híbrido, Sánchez ha presentado a los periodistas los datos del Informe Cuatrimestral de Acceso a los Medicamentos Huérfanos de 2025, que analiza la situación del acceso de los productos con nombre comercial que tienen vigente la designación huérfana a fecha de 30 de abril de 2025.

La publicación muestra que hay que seguir trabajando en los tiempos de espera que se producen desde que un medicamento obtiene el Código Nacional, es decir, cuando un producto solicita su llegada a España, hasta que se aprueba su financiación.

“En este momento, la media ha empeorado en relación con el informe anterior. Si tenemos en cuenta los medicamentos aprobados en este primer cuatrimestre de 2025, la media es de 33 meses. Es decir, 10 meses más respecto a la media de 2024. Por ello, desde AELMHU consideramos que debemos de aprovechar esta oportunidad de desarrollo y actualización de la política farmacéutica para introducir mejoras que favorezcan e incentiven la llegada a España de la innovación y permitan a los pacientes un acceso equitativo y ágil a los tratamientos disponibles en la Unión Europea”, ha señalado la vicepresidenta de AELMHU.

Durante el debate, Isabel Motero, directora de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), ha valorado “muy positivamente” iniciativas como esta jornada, que “permiten establecer puentes entre los profesionales de la información y el colectivo de personas con enfermedades raras y en búsqueda de diagnóstico”.

“La colaboración con los medios es fundamental para trasladar una visión rigurosa y comprometida sobre los desafíos que enfrentamos en el acceso al diagnóstico, tratamiento y atención integral. Hoy hemos podido acercar la voz de los pacientes y seguir trabajando por impulsar una sociedad más informada, sensible y comprometida. Una sociedad que avanza hacia un futuro más inclusivo y equitativo para todos”, ha explicado la directora de FEDER.

### **La investigación, clave para los pacientes**

Eva Bermejo, directora del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras (IIER) del Instituto de Salud Carlos III (ISCIII), ha expuesto durante su intervención que la investigación sobre enfermedades raras debe responder a necesidades reales de los pacientes.

“Para ser eficientes, es imprescindible la implicación de todos los actores en el ecosistema de las enfermedades raras, así como la colaboración y coordinación con el fin de optimizar la utilización de los recursos, que siempre son limitados. Se precisa una visión amplia e innovadora, en el corto, medio y largo plazo, buscando siempre la equidad e inclusión y considerando que las enfermedades raras son una prioridad en salud global. Para ello, la investigación es un nexo transversal que ha de usarse en favor de las personas con enfermedades raras y sus familias”, ha añadido al respecto.

Jorge Mestre, economista de la salud y profesor universitario, ha recordado que, en el ámbito europeo, las enfermedades raras y sus correspondientes tratamientos representan una prioridad. “En España, si bien se han adoptado ciertas medidas que han favorecido el acceso a los medicamentos huérfanos, persisten desafíos relevantes. Resulta imprescindible establecer nuevos

mecanismos que aseguren una disponibilidad más oportuna y eficiente de los medicamentos huérfanos y tratamientos destinados a las enfermedades raras”, ha afirmado.

El economista de la salud ha asegurado que estos mecanismos deberían “estar en consonancia con los procedimientos y condiciones previstos para las autorizaciones de financiación acelerada, condicional y provisional contempladas en el Borrador de la Ley del Medicamento”. “Asimismo, los modelos de evaluación económica han de incorporar una perspectiva social, trascendiendo el análisis tradicional basado exclusivamente en la relación coste-efectividad”, ha agregado.

Por su parte, Lluís Alcover, abogado especialista en derecho farmacéutico en Faus & Moliner, ha analizado el marco regulatorio actual de los medicamentos huérfanos y los importantes cambios normativos que se avecinan a nivel europeo y nacional. Así, ha subrayado la necesidad de seguir muy de cerca estos desarrollos, dado el profundo impacto que tendrán en el acceso a estos tratamientos.

Entre sus mensajes clave, ha destacado la importancia de reforzar el acceso al ‘early advice’ de la EMA y a las consultas científicas conjuntas en el marco del Reglamento de Evaluación de Tecnologías Sanitarias (HTA). Para Alcover, este tipo de apoyo temprano es “especialmente crítico” para los medicamentos huérfanos, dadas sus particularidades clínicas y regulatorias. En este sentido, ha respaldado un marco de incentivos europeo más sólido y previsible, y ha insistido en que, a nivel nacional, estos medicamentos requieren un tratamiento específico en cuestiones como el sistema de precios de referencia, la disposición adicional sexta y el procedimiento de financiación.

Puedes ver la jornada completa aquí:

<https://www.youtube.com/watch?v=VGoSBG2Uzbg>

#### **Sobre ANIS**

La Asociación Nacional de Informadores de la Salud (ANIS) cuenta con unos 700 asociados: periodistas especializados en salud de todo el país, con representantes de todos los soportes existentes (prensa, radio, televisión e internet) y pertenecientes tanto a la prensa generalista y especializada como de difusión nacional y local. También aglutina a los representantes de la comunicación de servicios y centros sanitarios, instituciones, entidades y empresas sanitarias, así como agencias de comunicación. La Asociación defiende la información sanitaria rigurosa y la especialización.

#### **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.