

España financió 20 medicamentos huérfanos para enfermedades raras en 2025, tres más que el año anterior

- Esta es la segunda cifra más alta de fármacos financiados desde 2020, solo por debajo del máximo histórico de 2023, cuando se financiaron 21.
- El Informe señala que la mejora de los tiempos de acceso a los tratamientos continúa siendo una asignatura pendiente, con una media de 23 meses que se mantiene igual que en los dos años anteriores.

Madrid, 26 de enero de 2026. España financió un total de 20 medicamentos huérfanos (MM.HH.) para enfermedades raras durante 2025, lo que supone tres más que el año anterior, según los resultados del **Informe Anual de Acceso a los Medicamentos Huérfanos en España 2025**, publicado este lunes por la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (**AELMHU**).

El Informe, que **analiza la situación de estos tratamientos en Europa y su disponibilidad para los pacientes en España** a través de datos de diversas fuentes públicas europeas y españolas a fecha de 31 de diciembre de 2025, recoge la evolución de indicadores como las autorizaciones de comercialización en la Unión Europea, así como la obtención del Código Nacional (CN) y la financiación por parte del Sistema Nacional de Salud (SNS) en nuestro país.

“Los datos del Informe muestran una evolución positiva en la financiación de medicamentos huérfanos en España, lo que refleja el compromiso de la industria farmacéutica y de todos los agentes del sector con las personas que conviven con una enfermedad rara. Sin embargo, aún persisten retos importantes en términos de financiación, tiempos de espera y llegada de la innovación a España, por lo que consideramos necesario seguir avanzando hacia un sistema que garantice un acceso a estos fármacos más ágil, predecible y homogéneo para todos los pacientes, especialmente para aquellos que no cuentan con otra alternativa terapéutica”, señala Beatriz Perales, presidenta de AELMHU.

España financia el 66 % de los MM.HH. autorizados en la UE

El Informe revela que **el número de medicamentos huérfanos financiados en España el año pasado constituye la segunda cifra más alta desde 2020**, solo superada por el máximo histórico, que se registró en 2023 (21). Además, en los últimos tres años se han financiado 58 tratamientos para enfermedades raras, frente a los 28 que obtuvieron financiación entre 2020 y 2022.

Así, a cierre de 2025, el Sistema Nacional de Salud financia ya un total de **103 fármacos con designación huérfana, el 66 % de los 156 que tienen autorización de comercialización en la Unión Europea (UE)**, lo que supone ocho puntos porcentuales más que el año anterior (58 %).

A nivel de la UE, **18 medicamentos obtuvieron la autorización de comercialización por parte de la Comisión Europea en 2025**, mejorando los 17 tratamientos autorizados el año anterior.

Sin embargo, este aumento no se ha visto reflejado en los nuevos medicamentos que obtienen Código Nacional en España, paso previo necesario para solicitar su inclusión en la financiación pública. El año pasado, **únicamente 9 fármacos obtuvieron el CN**, un 64 % menos que los 25 registrados en 2024.

Por otro lado, el Informe indica que en España aún hay **31 medicamentos huérfanos con Código Nacional sin financiar**, 15 menos que en 2024 (46), y que un 42% de ellos lleva más de tres años esperando una resolución de financiación favorable, frente al 39 % que se registraba a finales de 2024.

Los MM.HH. esperan 23 meses de media para ser financiados

En 2025, la media de espera desde que un medicamento huérfano obtiene el Código Nacional hasta la aprobación de su financiación se mantuvo en **23 meses**, la misma que en los dos últimos años.

Por otra parte, de los 20 nuevos medicamentos huérfanos incluidos en el Sistema Nacional de Salud durante el último año, el 25 % ha esperado menos de un año para conseguir la financiación, el 50 % entre 1 y 2 años y el 25 % más de 2. Un dato positivo es que **el porcentaje que ha esperado más de 2 años se ha reducido ligeramente respecto a 2024**, en 4 puntos porcentuales.

En cuanto al proceso de evaluación, **6 de estos medicamentos fueron financiados en su primera reunión de la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos (CIPM)**. Sin embargo, otros 6 necesitaron pasar por al menos tres reuniones de la Comisión antes de obtener la financiación, lo que pone de manifiesto la necesidad de avanzar hacia un modelo más ágil y eficiente que contribuya a reducir los tiempos de acceso a la innovación terapéutica para los pacientes con enfermedades raras.

España financia 2 nuevas terapias avanzadas para enfermedades raras

El Informe de AELMHU recoge también la evolución de las terapias avanzadas destinadas al tratamiento de enfermedades raras. En este contexto, destaca especialmente **la financiación de 2 de estas terapias durante 2025**, un hito que reafirma el cambio de tendencia que se inició en 2024, tras no financiarse ninguna en los años 2022 y 2023. Actualmente, **15 terapias avanzadas cuentan con autorización de comercialización en Europa**, de las cuales **9 están financiadas por el SNS y 14 disponen ya de código nacional en España**.

Sobre AELMHU

AELMHU es una asociación sin ánimo de lucro que agrupa a empresas farmacéuticas y biotecnológicas con un claro compromiso por investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras para 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, ultrahuérfanos y otros tratamientos para enfermedades raras.

Actualmente, los asociados de AELMHU son Alexion AstraZeneca Rare Diseases, Alnylam Pharmaceuticals, Amgen, AOP Health, Argenx, Ascendis Pharma, Avanzanite Bioscience, Biocryst, Biogen, BioMarin, Chiesi, CSL Behring, Esteve, Grupo Italfarmaco, Immunocore, Insmad, Ipsen, Kyowa Kirin, Lundbeck, Novartis, Pharma&, PTC Therapeutics, Sanofi, Sobi, Takeda, UCB, Ultragenyx Pharmaceutical y Vertex.