

RESUMEN EJECUTIVO

INFORME ANUAL DE ACCESO 2025

A LOS MEDICAMENTOS
HUÉRFANOS EN ESPAÑA



aelmhu

Situación del acceso de los medicamentos huérfanos (MM.HH.) con designación huérfana vigente y nombre comercial a 31 de diciembre de 2025.

1	Introducción	3
	1.1 Justificación del Informe	4
	1.2 Alcance y objetivos del Informe	5-6
	1.3 Contexto actual	6-10
2	Metodología del Informe	11-12
3	Acceso a medicamentos huérfanos en España 2025	13
	3.1 Medicamentos huérfanos en la Unión Europea y en España	14-21
	3.2 Medicamentos huérfanos en España	22-23
	3.2.1 Medicamentos huérfanos financiados en 2025	23-26
	3.2.2 Medicamentos huérfanos no financiados	27-28
	3.3 Medicamentos de terapia avanzada para enfermedades raras	29-31
	3.4 Medicamentos indicados para enfermedades raras que han perdido la designación huérfana	32
4	Valoraciones y recomendaciones	33
	4.1 Valoraciones	34-35
	4.2 Recomendaciones	36-37
5	Fuentes de información	38-39
6	Acrónimos	40-41

1

Introducción

> 1.1

JUSTIFICACIÓN DEL INFORME

El acceso a los medicamentos huérfanos constituye un ámbito estratégico para el sistema sanitario español, tanto por su impacto en la equidad como por su relevancia para la atención y la calidad de vida de las personas con enfermedades raras. La complejidad de los procesos regulatorios y la constante evolución del marco normativo nacional y europeo hacen necesario disponer de un análisis anual que ofrezca una visión precisa del estado del acceso en España y permita anticipar tendencias.

El **Informe Anual de Acceso 2025 a los Medicamentos Huérfanos en España** se establece como una herramienta técnica que aporta información objetiva y actualizada sobre la situación del acceso, contribuyendo a la planificación, la transparencia y la mejora continua del sistema sanitario. Su elaboración responde a la necesidad de contar con datos rigurosos que apoyen el desarrollo de políticas públicas orientadas a un acceso más eficiente, equitativo y sostenible de los medicamentos huérfanos.

Desde 2018, este **Informe** ha servido como referencia para el seguimiento de los avances en el acceso a medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos, consolidándose como la **principal fuente de información en España en este ámbito**. Para nuestra Asociación, representa un compromiso sostenido con la generación de conocimiento que facilita la toma de decisiones y la cooperación entre los distintos agentes implicados.

En este marco, AELMHU continúa trabajando para **mejorar la calidad y disponibilidad de la información**, garantizando que pacientes, profesionales sanitarios, industria, decisores públicos y sociedad dispongan de datos fiables **sobre la innovación terapéutica**, en un campo tan complejo y, al mismo tiempo, tan esperanzador, como son los tratamientos para el abordaje de las enfermedades raras.

El **Informe** se configura, por tanto, como un **instrumento clave para orientar la evolución normativa y estratégica** hacia un modelo de acceso más coherente, predecible y sostenible, contribuyendo al fortalecimiento de la equidad y a la mejora continua del sistema sanitario.

> 1.2

ALCANCE Y OBJETIVOS DEL INFORME

El Informe Anual de Acceso 2025 a los Medicamentos Huérfanos en España ofrece un **análisis riguroso y estructurado de los principales indicadores** que permiten comprender la situación del acceso a medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos en España. Su alcance abarca el conjunto de fases del proceso que va desde la designación de estos medicamentos en la Unión Europea hasta su disponibilidad efectiva para los pacientes en el Sistema Nacional de Salud, mediante el análisis de datos comparables y fuentes oficiales.

Los objetivos específicos del Informe son:

- **Analizar con metodología transparente la situación del acceso** en cada una de las fases clave: autorización comunitaria, asignación de Código Nacional y decisión de financiación y precio en el Sistema Nacional de Salud.
- **Ofrecer indicadores fiables, homogéneos y comparables** que permitan describir y analizar la evolución anual de los procesos de acceso a los medicamentos huérfanos, facilitando la identificación de tendencias, avances y áreas susceptibles de mejora.
- **Facilitar la comparación interanual de resultados**, permitiendo evaluar la evolución de los principales parámetros de acceso y detectar variaciones relevantes en el funcionamiento del sistema.
- **Proporcionar información estratégica y basada en datos** para apoyar la toma de decisiones, dirigida a administraciones públicas, profesionales sanitarios, el sector industrial, la comunidad científica, la sociedad civil y los pacientes.
- **Contribuir al diálogo entre los distintos agentes implicados** mediante la disponibilidad de información actualizada y objetiva, que sirva de base para el análisis compartido y el desarrollo de iniciativas regulatorias o de política sanitaria orientadas a mejorar la disponibilidad de medicamentos innovadores.

El Informe Ejecutivo 2025 **incorpora mejoras y ampliaciones metodológicas respecto a ediciones anteriores**, orientadas a profundizar en el análisis del acceso a los medicamentos huérfanos. Se refuerza el estudio de los tiempos de acceso mediante una mayor desagregación de los meses transcurridos desde la asignación de Código Nacional hasta la decisión de financiación, la incorporación del número de evaluaciones en la Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos (CIPM), el cálculo de medianas y el análisis de su evolución temporal desde 2020. Asimismo, se amplían las comparativas por áreas terapéuticas y el soporte gráfico, y se profundiza en el análisis de los tipos de aprobación, las condiciones de financiación y los motivos de no financiación.

En conjunto, el Informe se concibe como un **instrumento institucional de referencia para orientar la planificación estratégica y fomentar un modelo de acceso más eficiente, equitativo, predecible y sostenible**, contribuyendo con ello a una mejora continua del sistema sanitario en beneficio de las personas con enfermedades raras.

> 1.3 CONTEXTO ACTUAL

El **acceso a los medicamentos huérfanos en España** se desarrolla en un **entorno sanitario y regulatorio complejo**, en constante transformación y marcado por un incremento sostenido de la innovación terapéutica. En los últimos años, la disponibilidad de nuevas terapias para enfermedades raras ha aumentado de forma significativa, reflejando el avance científico y el compromiso del ecosistema sanitario con estas patologías. Sin embargo, este **progreso convive con desafíos persistentes** en los procesos de evaluación, financiación y acceso, que continúan condicionando la llegada efectiva de la innovación a los pacientes.

Desde AELMHU, entendemos que estos **avances son fruto del esfuerzo conjunto** de la comunidad científica, la industria farmacéutica, las asociaciones de pacientes y las administraciones públicas. La colaboración intersectorial ha permitido acelerar el desarrollo de nuevas terapias y mejorar la visibilidad de las necesidades de los pacientes con enfermedades raras. No obstante, **persisten retos estructurales que requieren atención prioritaria**, como el refuerzo de la inversión en investigación y desarrollo, la optimización de los procesos de evaluación y financiación, la mejora de los circuitos de acceso temprano y la

consolidación de modelos de financiación innovadora que aporten sostenibilidad y predictibilidad.

En este sentido, **AELMHU** ha intensificado su labor de análisis, diálogo institucional y generación de evidencia, consolidándose como un **actor clave en la monitorización del acceso y en impulso** de un modelo más ágil, equitativo y sostenible **de los tratamientos para el abordaje de las enfermedades raras**.

El año **2025** se enmarca en una **etapa de especial relevancia para la política farmacéutica en España**, con el desarrollo simultáneo de varias iniciativas estratégicas y normativas que afectan de manera directa al acceso a los medicamentos huérfanos. Entre ellas destaca la **implementación de la Estrategia de la Industria Farmacéutica**, orientada a reforzar la autonomía estratégica, la capacidad productiva y la competitividad del sector, así como a mejorar los procesos de incorporación de la innovación al Sistema Nacional de Salud. En este marco, el Comité Mixto se ha consolidado como un espacio de diálogo estructurado entre la Administración y las diferentes patronales del sector, en el que AELMHU participa aportando análisis, datos y propuestas sobre el acceso a tratamientos para enfermedades raras.

Paralelamente, la **Estrategia Nacional de Enfermedades Raras en España** se encuentra en un proceso avanzado de actualización, con el objetivo de adaptar sus líneas de actuación a la realidad actual del conocimiento científico, la innovación terapéutica y la organización asistencial. A ello se suma la **ampliación progresiva de la cartera común de servicios de cribado neonatal**, que refuerza el diagnóstico precoz como elemento clave del abordaje integral de estas patologías.

Desde el punto de vista normativo, 2025 ha estado marcado por el avance de reformas estructurales relevantes como el **Anteproyecto de Ley de Medicamentos y Productos Sanitarios**, aún pendiente de publicación tras las alegaciones del sector; el **Real Decreto de Evaluación de Tecnologías Sanitarias**; el **Real Decreto sobre los Procedimientos de Financiación y Precio de los Medicamentos**; o la actualización del **Real Decreto de Medicamentos en Situaciones Especiales**, todavía pendiente de concretarse.

Estas normativas representan una **oportunidad estratégica** para reforzar la equidad, la eficiencia y la predictibilidad del acceso, así como para **consolidar el papel de las enfermedades raras dentro de las prioridades del sistema sanitario, en línea con la Estrategia de la Industria Farmacéutica**. Como país y como sector, debemos asegurar que los futuros textos legislativos reflejen de manera rigurosa y alineada con la realidad las necesidades del sistema sanitario y de las personas con enfermedades raras.

En paralelo, las **comunidades autónomas han continuado desarrollando y actualizando sus Planes y Estrategias Autonómicas de Enfermedades Raras**, reforzando la coordinación asistencial y la planificación estratégica. Entre los avances más relevantes se encuentran la ampliación de recursos para la atención multidisciplinar, la mejora de los circuitos de derivación a centros de referencia y la incorporación progresiva de indicadores de seguimiento y evaluación. Estos desarrollos contribuyen a reducir desigualdades territoriales y a fortalecer la cohesión del Sistema Nacional de Salud, un aspecto especialmente relevante en un contexto donde la equidad sigue siendo un desafío persistente.

Asimismo, el **papel de las comunidades autónomas resulta determinante en el acceso efectivo a los medicamentos huérfanos**, dado que su participación es clave tanto en los procesos de financiación como en la aprobación y puesta en marcha de su utilización en la práctica clínica. Más allá de la decisión de financiación a nivel nacional, la **evaluación autonómica, la definición de criterios de uso, la dotación presupuestaria y la organización de los circuitos asistenciales condicionan de manera directa los tiempos de acceso y la homogeneidad en la disponibilidad de estos tratamientos**. Las diferencias en capacidad de gestión, prioridades presupuestarias y procedimientos internos pueden generar variabilidad territorial, lo que refuerza la necesidad de avanzar hacia modelos de coordinación y gobernanza compartida que garanticen una implementación ágil, equitativa y alineada con los principios del Sistema Nacional de Salud.

A **nivel europeo**, el acceso a los medicamentos huérfanos se sitúa también en un **momento clave desde el punto de vista político y regulatorio, un proceso clave que definirá el marco regulatorio de los próximos años**. Durante 2025, se ha dado lugar al desarrollo de iniciativas estratégicas destinadas a adaptar el marco normativo a la evolución de la innovación biomédica y a reforzar la competitividad y resiliencia del sistema económico y sanitario europeo.

Entre los elementos más relevantes se encuentra el **Paquete Farmacéutico Europeo**, actualmente en fase de negociación institucional, que plantea modificaciones en los incentivos para medicamentos huérfanos, los procedimientos regulatorios y las obligaciones de disponibilidad en los Estados miembros. Asimismo, se ha iniciado la implementación del **Plan de Acción Europeo para Enfermedades Raras**, que busca mejorar la coordinación, el acceso al diagnóstico y la equidad en la atención en toda la Unión Europea.

En este contexto, también se produce la **aplicación progresiva desde de enero de 2025** del Reglamento (UE) 2021/2282 relativo a la **Evaluación de las Tecnologías Sanitarias (HTA)**, en vigor desde enero de 2022, el cual establece un marco común para la realización de evaluaciones clínicas conjuntas y

consultas científicas a nivel europeo, con un impacto relevante para las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos. Este nuevo sistema tiene como objetivo reducir duplicidades entre los Estados miembros, aumentar la previsibilidad regulatoria y facilitar un acceso más rápido y equitativo de los pacientes a las innovaciones terapéuticas, respetando al mismo tiempo las competencias nacionales en materia de financiación y fijación de precios.

A ello se suman otras iniciativas, como el desarrollo de la futura **Ley Europea de Biotecnología**, orientada a impulsar, coordinar y acelerar la llegada de los tratamientos innovadores como las terapias avanzadas, así como la **Ley de Medicamentos Críticos**, que establecerá criterios comunes para identificar estos productos y reforzar la seguridad de su suministro. En este sentido, **las instituciones europeas y las autoridades reguladoras han puesto el acento en la necesidad de equilibrar innovación, acceso, sostenibilidad y equidad**, principios que resultan especialmente relevantes para el ámbito de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos.

Estas **iniciativas persiguen armonizar procesos, fomentar la innovación y garantizar que los pacientes europeos dispongan de tratamientos esenciales** en condiciones de equidad y seguridad.

En el ámbito global, **la Organización Mundial de la Salud (OMS) y las Naciones Unidas (ONU)** han subrayado de manera reiterada que el **acceso equitativo a los medicamentos esenciales constituye un pilar fundamental del derecho a la salud y una obligación de los Estados en el marco de los derechos humanos**. Ambas instituciones reconocen que las enfermedades raras requieren políticas específicas que garanticen la disponibilidad, asequibilidad y continuidad de los tratamientos, **incluidos los medicamentos huérfanos**. Estas orientaciones internacionales destacan la necesidad de asegurar que las personas con enfermedades raras reciban una atención farmacoterapéutica adecuada, oportuna y conforme a los estándares globales de equidad y justicia sanitaria.

En conjunto, el **análisis del contexto nacional, autonómico, europeo y global** muestra que el acceso a la innovación terapéutica en enfermedades raras sigue estando condicionado por factores regulatorios, organizativos y de coordinación, en un entorno de cambio normativo y estratégico. En este escenario, el Informe Anual de Acceso de AELMHU se consolida como una herramienta técnica de referencia para el seguimiento del acceso a los medicamentos huérfanos en España, permitiendo identificar tendencias, analizar la evolución de los tiempos y condiciones de acceso y aportar una visión objetiva y basada en datos al debate sanitario.

AELMHU, a través de este Informe, **reafirma su compromiso con la mejora continua del conocimiento sobre el acceso a los medicamentos huérfanos y**

con la contribución a un sistema sanitario que incorpore la innovación de manera coherente, predecible, equitativa y sostenible, siempre en beneficio de los pacientes con enfermedades raras.

Por su parte, la Asociación **agrupa a empresas farmacéuticas y biotecnológicas comprometidas con la investigación, el desarrollo y la comercialización de terapias innovadoras** destinadas a mejorar la calidad de vida de las personas afectadas por enfermedades raras y ultrarraras.

Su **misión es contribuir al bienestar y la salud de estas personas**, dando visibilidad a las patologías poco frecuentes y promoviendo el valor de la investigación y los tratamientos desarrollados para ellas.

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, InmunoCore, Insmed, Ipsen, Grupo Italfarmaco, Kyowa Kirin, Lundbeck, Novartis, Pharma&, PTC Therapeutics, Sanofi, Sobi, Takeda, UCB, Ultragenyx Pharmaceutical y Vertex.

2

Metodología del
informe

De los más de 3.000 principios activos con designación huérfana (OD, por sus siglas en inglés) 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 tienen vigente la designación huérfana** a fecha 31 de diciembre de 2025 (más de 2.000).

La OD se otorga durante las primeras etapas de la investigación de un medicamento, por lo que dentro de los principios activos que cuentan con OD vigente se identifican, en cada informe, aquellos que tienen nombre comercial (más de 250) y, de éstos, se eliminan los duplicados por tener varias indicaciones. Eliminando esas duplicidades, **se obtienen 221 medicamentos huérfanos (MM.HH.) con OD vigente** a fecha de 31 de diciembre de 2025 y con nombre comercial.

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 Unión Europea (n=65). Como resultado, se obtiene **el número de MM.HH. con autorización de comercialización (AC)** a 31 de diciembre de 2025 en la Unión Europea (**n=156**).

El tercer paso ha sido identificar cuáles de esos MM.HH. con nombre comercial que están aprobados para su comercialización en la Unión Europea tienen **Código Nacional (CN)** por parte de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) para su comercialización en España (**n=134**).

Por último, se han identificado cuáles y desde cuándo están **financiados por el Sistema Nacional de Salud (SNS)** los MM.HH. según la información recogida en BIFIMED del Ministerio de Sanidad (**n=103**). Como fecha de financiación se ha tomado la primera fecha de alta.

Notas:

- Debido a que los datos no se pueden obtener de ninguna fuente pública, en este documento no se reflejan aquellos medicamentos que se encuentran disponibles en nuestro país bajo situaciones específicas y autorizaciones especiales enmarcadas dentro del Real Decreto 1015/2009 (uso compasivo, uso en condiciones distintas a las autorizadas o acceso a medicamentos extranjeros).
- La compañía indicada para cada MM.HH. a lo largo de este informe corresponde, con carácter general, a la compañía titular; no obstante, en el caso de los medicamentos financiados, se identifica la compañía ofertante al Sistema Nacional de Salud, siempre que no se trate de una compañía distribuidora de medicamentos.
- Asimismo, los valores representados en los gráficos se muestran habitualmente redondeados a números enteros para facilitar su comprensión. De manera excepcional, se han incorporado decimales cuando ha sido necesario para mantener la coherencia y la veracidad de los datos analizados.
- Los datos recogidos en este resumen ejecutivo provienen del informe elaborado por Bioinnova Consulting para AELMHU.

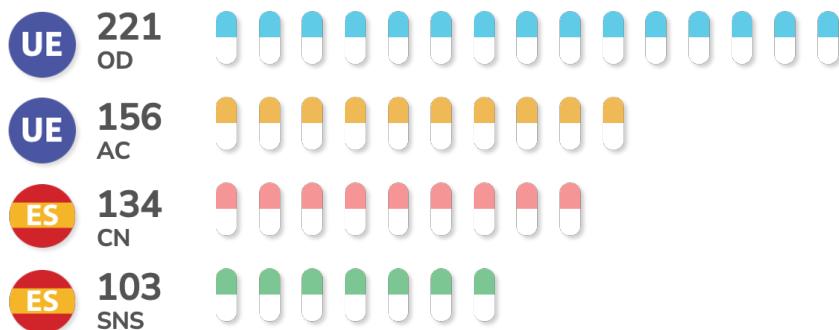
3

Acceso a
medicamentos
huérfanos en
España 2025

> 3.1

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA UNIÓN EUROPEA Y ESPAÑA

> Principales indicadores 2025

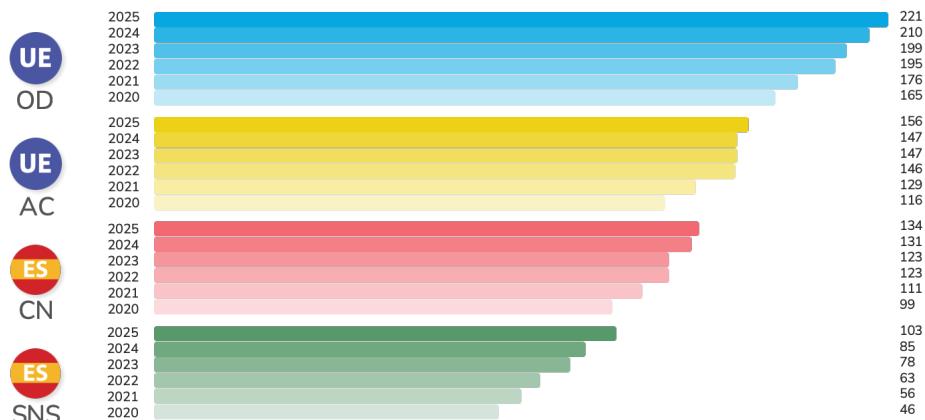


A fecha de 31 diciembre 2025, hay un total de 221 medicamentos con designación huérfana vigente y nombre comercial en la UE, de los cuales 156 disponen de autorización de comercialización comunitaria, 134 adquirieron Código Nacional en España y **103 están financiados por el Sistema Nacional de Salud**.

> Evolución de los indicadores UE y España 2020-2025

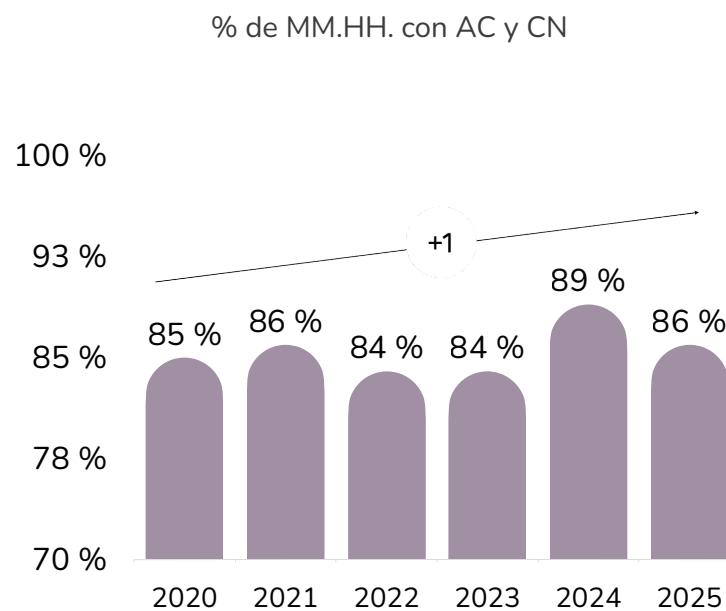
Durante el 2025, **todos los indicadores sobre medicamentos huérfanos en la UE y en España mejoran**, aunque es importante resaltar que en diferente proporción. El mayor incremento se registra en los medicamentos financiados, seguido de los tratamientos que obtienen la designación huérfana, la Autorización de Comercialización y, por último, el Código Nacional

Evolución de los indicadores UE y España (2020-2025)



> Comparativa entre indicadores

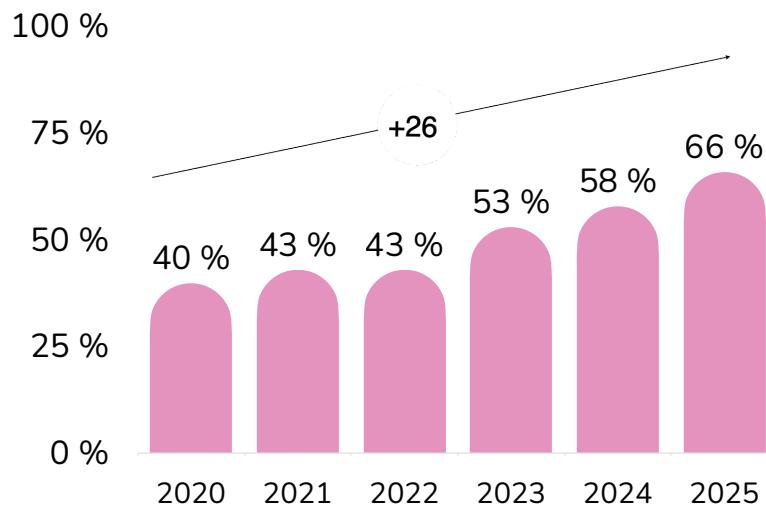
A continuación, se muestra la evolución de la comparativa de tres indicadores clave.



Por una parte, se observa que la **proporción de solicitudes de Código Nacional en España para aquellos medicamentos huérfanos con AC en 2025 se reduce al 86 %**. Con respecto a años anteriores, el porcentaje es 3 puntos porcentuales inferior al 2024, si bien es más alto que en 2022 y 2023.

Sin embargo, si se compara el año 2025 con el 2020, **se aprecia un ligero incremento de un 1 punto porcentual**, ya que en 2020 el porcentaje de medicamentos huérfanos autorizados con Código Nacional era del 85 %.

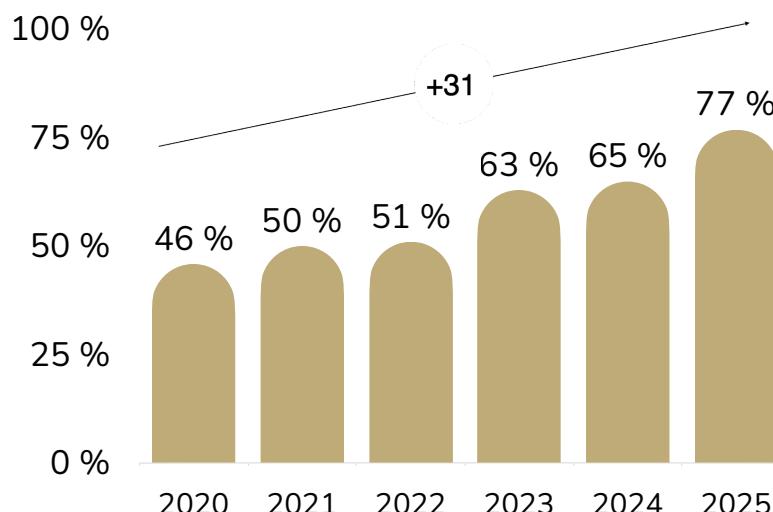
% de MM.HH. con AC financiados por el SNS



Los resultados de los otros dos indicadores incluidos en el gráfico, que muestran el **número de medicamentos huérfanos financiados en España, experimentan una mejora significativa**, coherente con el incremento observado en 2025.

En primer lugar, los MM.HH. financiados representan el **66 % con autorización de comercialización**, y en clara línea ascendente desde 2020: el incremento ha sido de 26 puntos porcentuales desde 2020 y de 8 con respecto al 2024.

% de MM.HH. con CN financiados por el SNS

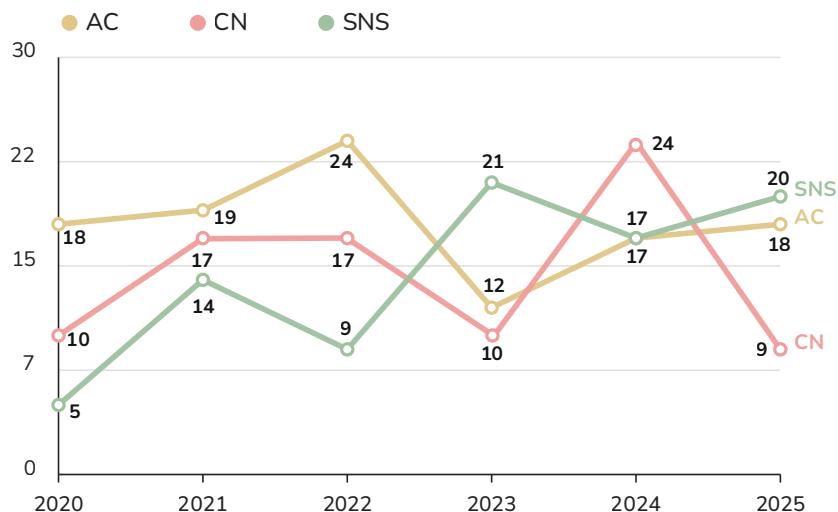


Si tomamos como referencia los medicamentos huérfanos con Código Nacional, el incremento en el porcentaje de los medicamentos financiados también tiene una línea ascendente: en el 2025, representaban el 77 %. **El incremento ha sido de 31 puntos porcentuales desde 2020, y de 8 con respecto al 2024.**

> **Resumen de la evolución de los principales indicadores por año**

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

Evolución de los principales indicadores (2020-2025)



En el 2025, **dos de los indicadores mejoran con respecto al año anterior**: medicamentos huérfanos con autorización de comercialización y financiados por el Sistema Nacional de Salud. Sin embargo, el número de estos tratamientos con Código Nacional (9) empeora respecto al 2024 (25).

Si comparamos lo que ha sucedido desde 2020, **los indicadores de 2025 no son los más altos de la serie**. El año con mayor número de autorizaciones de comercialización fue 2022, con 24. En cuanto a los Códigos Nacionales, 2024 fue el más destacado de la serie (25), y 2023 marcó el récord en el número de medicamentos huérfanos financiados en España (21).

El número de medicamentos autorizados en la Unión Europea sigue creciendo progresivamente desde 2023, año en el que se observó el

número más bajo de la serie (12). A pesar de este incremento, aún no se ha conseguido igualar las 24 autorizaciones que se registraron en 2022.

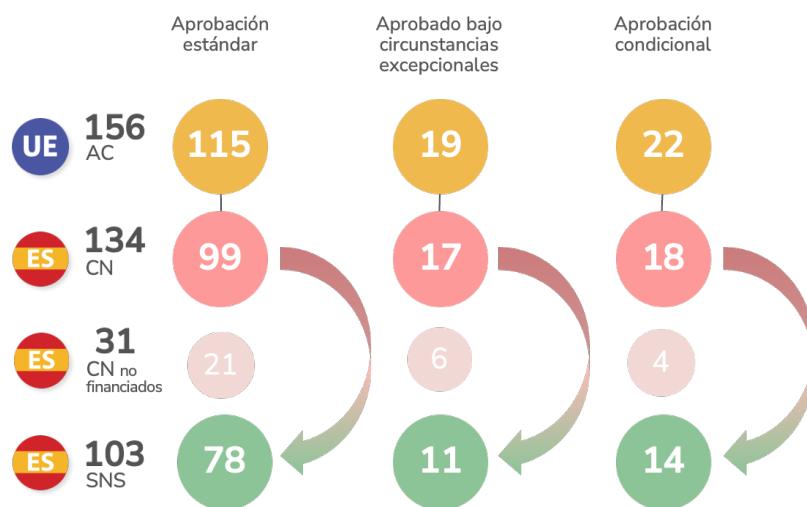
En 2025, se registró **la cifra de tratamientos con Código Nacional más baja desde 2020**, con una reducción del 64 % frente a 2024. Por otra parte, el número de medicamentos huérfanos financiados en el 2025 (20) es el segundo más alto de la serie, después de 2023 (21).

En los últimos tres años, se han financiado 58 tratamientos para enfermedades raras en España, casi un 50 % más que entre 2020 y 2022 (28).

> **Tipos de aprobación de los medicamentos huérfanos**

En el informe de este año, también se incluye información sobre los tipos de aprobación que han recibido los MM.HH., así como las condiciones especiales asociadas a esta.

Tipos de aprobación de los medicamentos huérfanos



En primer lugar, y como queda reflejado en el gráfico de arriba, de los **156 medicamentos huérfanos con autorización** hasta el 31 de diciembre de 2025, el 74 % (115) han obtenido una aprobación estándar, el 12 % (19) una autorización bajo circunstancias excepcionales y el 14 % una autorización condicional (22).

Para aquellos con AC y CN (134), los porcentajes son parecidos: **74 % (99) tiene aprobación estándar**, 13 % (17) bajo circunstancias excepcionales y 13 % (17) condicional.

Sin embargo, en los medicamentos financiados por el SNS, el porcentaje con condiciones especiales es algo inferior (11 %), el porcentaje con autorización tradicional es superior (76 %) y el de los autorizados de manera condicional similar (14%). Si nos centramos en el porcentaje de los MM.HH. autorizados bajo condiciones especiales que no han sido financiados, es más alto, representando casi el 20 % (6 de 31).

Por último, de los 18 medicamentos huérfanos con aprobación condicional y CN, 14 se han financiado (78 %), porcentaje similar a aquellos medicamentos con AC tradicional y CN (79 %; 78 de 99). Sin embargo, de los 17 MM.HH. aprobados bajo circunstancias excepcionales y CN, solo están financiados el 65 % (11).

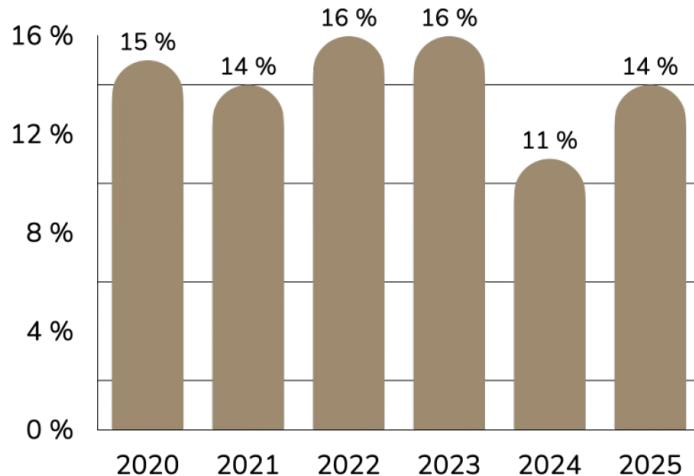
Condiciones especiales asociadas a la aprobación de MM.HH.



En cuanto a las condiciones especiales de aprobación, **más de la mitad de los medicamentos huérfanos autorizados en Europa y/o España están sujetos a seguimiento adicional**: un 65 % (102) en el caso de los que tienen AC, un 63 % (85) de los que cuentan con CN y un 61 % (63) de los financiados en España. Sin embargo, de los no financiados por el SNS, la proporción con seguimiento adicional es más alto (71 %).

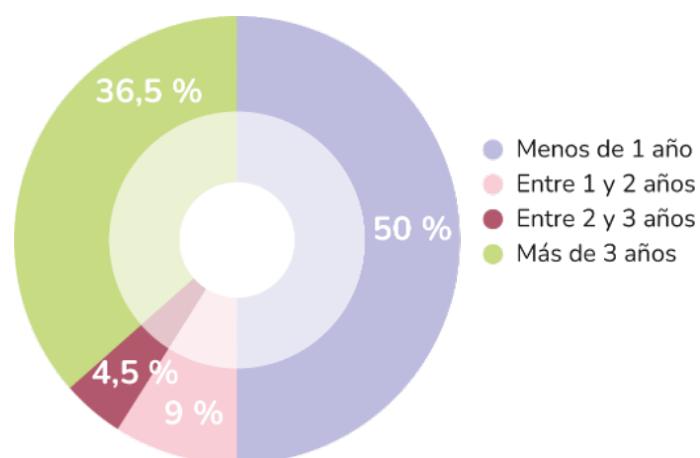
Por otra parte, **el 8 % de medicamentos huérfanos con AC fueron autorizados con evaluación acelerada**. Este porcentaje sube al 10 % de los medicamentos con Código Nacional y de los medicamentos financiados, respectivamente.

> Medicamentos huérfanos con autorización de comercialización sin Código Nacional



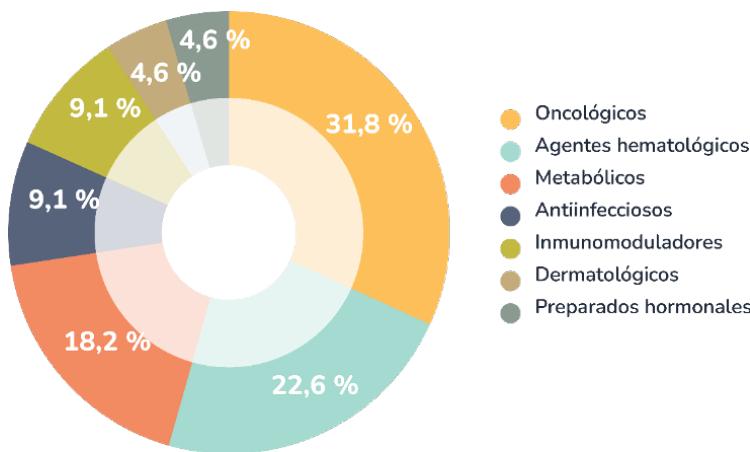
A 31 de diciembre de 2025, había **22 medicamentos huérfanos con autorización comercial que todavía no habían llegado a España (sin CN)**, lo que representa un 14 % de los autorizados a nivel comunitario. En el 2025 se vuelve a incrementar este porcentaje en comparación a 2024 en 3 puntos porcentuales. Este resultado refleja en parte el reducido número de MM.HH. que han solicitado CN durante el 2025, como se muestra con anterioridad.

MM.HH. con AC sin Código Nacional por años de espera



Si nos fijamos en el tiempo transcurrido desde que estos tratamientos han obtenido la autorización de comercialización, podemos observar que **el 50 % la ha obtenido hace menos de 1 año**, el 9 % entre 1 y 2 años, y el 41 % restante, hace más de 2 años. Es importante remarcar las diferencias con respecto al 2024, ya que, en ese año, solo el 13 % de medicamentos huérfanos había obtenido la AC hacía menos de un año, mientras que para el 81 % hacía más de 2 años desde esa fecha.

MM.HH. con AC sin Código Nacional por área terapéutica



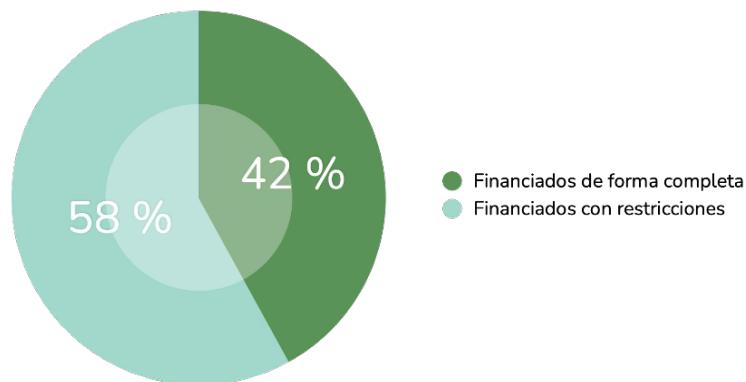
Por área terapéutica, **Oncología y Agentes hematológicos siguen siendo las áreas predominantes (31,8 % y 22,6 %, respectivamente)**, seguido por Metabólicos, Antiinfecciosos e Inmunomoduladores.

> 3.2

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN ESPAÑA

A fecha de 31 de diciembre de 2025, **están financiados 103 medicamentos huérfanos en España**, lo que representa un 77 % del total de los 134 medicamentos con Código Nacional. Este porcentaje es 12 puntos más alto que en 2024.

MM.HH. con AC sin Código Nacional por área terapéutica

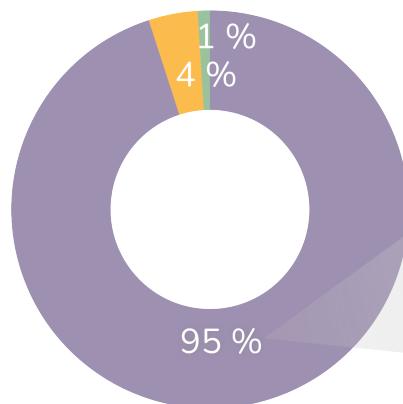


De estos 103 medicamentos con resolución positiva de precio y financiados por el SNS, y como indica el gráfico anterior, **el 58 % (60) están financiados con restricciones**, ya sea debido a restricciones en la/s indicación/es autorizada/s, o debido a que tienen alguna indicación no financiada.

> Situación de indicaciones autorizadas de MM.HH. financiados

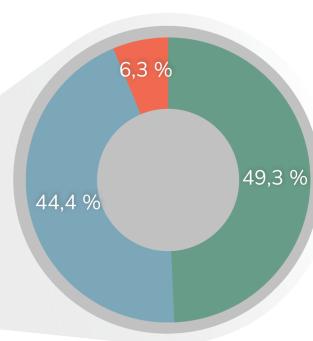
Estos 103 medicamentos cuentan con **un total de 151 indicaciones autorizadas por la Comisión Europea**, y, de ellas, 135 están financiadas por el SNS. De estas 135, y tal y como se detalla en la imagen siguiente, casi el 50% están financiadas según la indicación autorizada, mientras que el 44% tienen la indicación restringida. El resto de las indicaciones no están financiadas.

Situación del expediente por indicación



- Resueltas
- En estudio
- Sin petición de financiación

Resolución del expediente de financiación por indicación



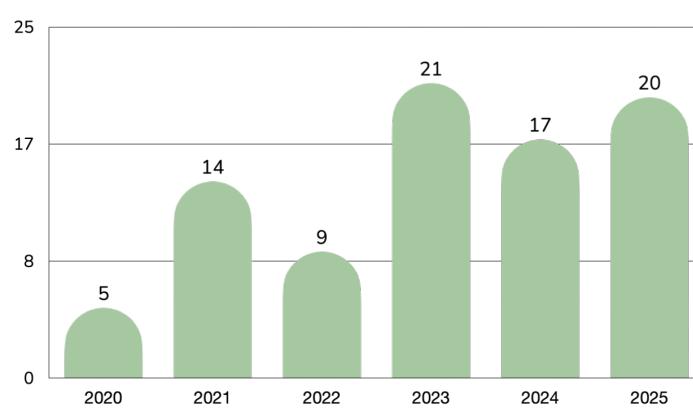
- Financiada indicación autorizada
- Financiada indicación restringida
- No financiada

> 3.2.1

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS FINANCIADOS EN 2025

Durante el año 2025 se financiaron en España 20 nuevos medicamentos huérfanos: cinco durante el primer cuatrimestre, 14 en el segundo cuatrimestre y uno en el tercero. **La cifra del 2025 es la segunda más alta desde 2020**, solo por debajo del máximo histórico de 2023 (21).

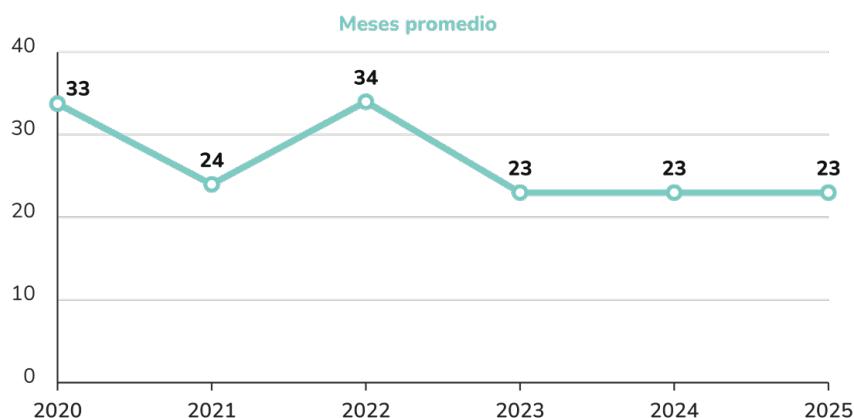
Nº de MM.HH. financiados en España (2020-2025)



El tiempo medio transcurrido entre la autorización de comercialización de los 20 nuevos productos financiados y la obtención de Código Nacional fue de 4 meses (dos meses menos que en 2024), con una mediana de menos de 1 mes.

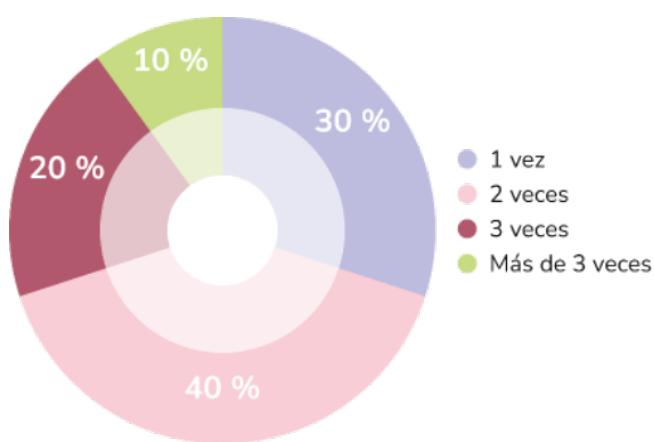
El plazo medio de espera desde la obtención del CN a su incorporación en el SNS fue de 23 meses (mediana de 12 meses), siendo el promedio igual que en 2023 y 2024.

Tiempo medio de espera desde CN hasta financiación (2020–2025)



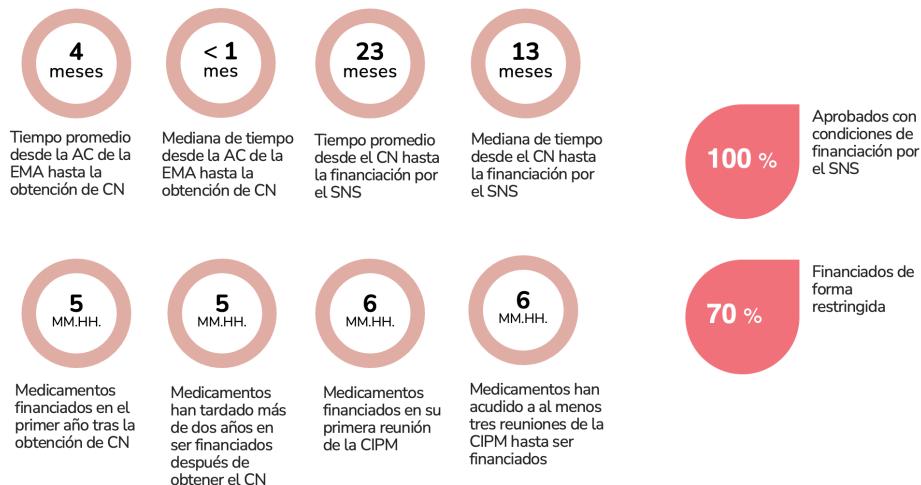
De los 20 nuevos productos financiados durante 2025, el 25 % ha esperado menos de un año para conseguir la financiación, el 50 % entre 1 y 2 años, mientras que el 25 % más de 2 años. **El porcentaje que ha esperado más de 2 años se ha reducido ligeramente respecto a 2024**, en 4 puntos porcentuales.

Número de reuniones CIPM hasta obtención de financiación



De estos 20 medicamentos huérfanos, **6 fueron financiados en su primera reunión de la Comisión Interministerial de Precios de Medicamentos (CIPM)**, pero otros 6 han acudido a al menos a tres reuniones de la Comisión hasta ser financiados (4 acudieron 3 veces, y 2 más de 3 veces). El resto de los medicamentos huérfanos (8) fueron 2 veces.

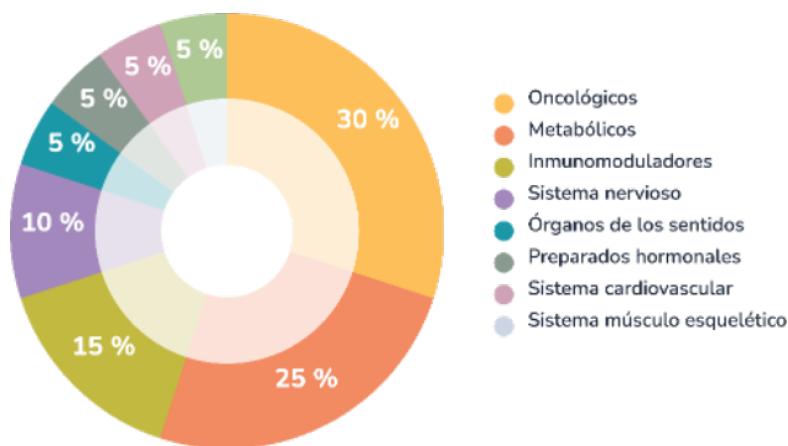
Por otro lado, **el 70 % (14) de los 20 productos nuevos financiados durante 2025 tienen restringida su financiación** (en base a las indicaciones aprobadas en la Unión Europea) y el 100 % de ellos tienen condicionada su financiación.



Así, **todos los 20 medicamentos tienen condiciones de seguimiento** (se incluyen en SEGUIMED), y 14 están sujetos a 2 o más condiciones de financiación. De los 6 MM.HH. restantes con una sola condición de financiación, 5 están sujetos a un umbral de ventas, y otro a un acuerdo precio-volumen.

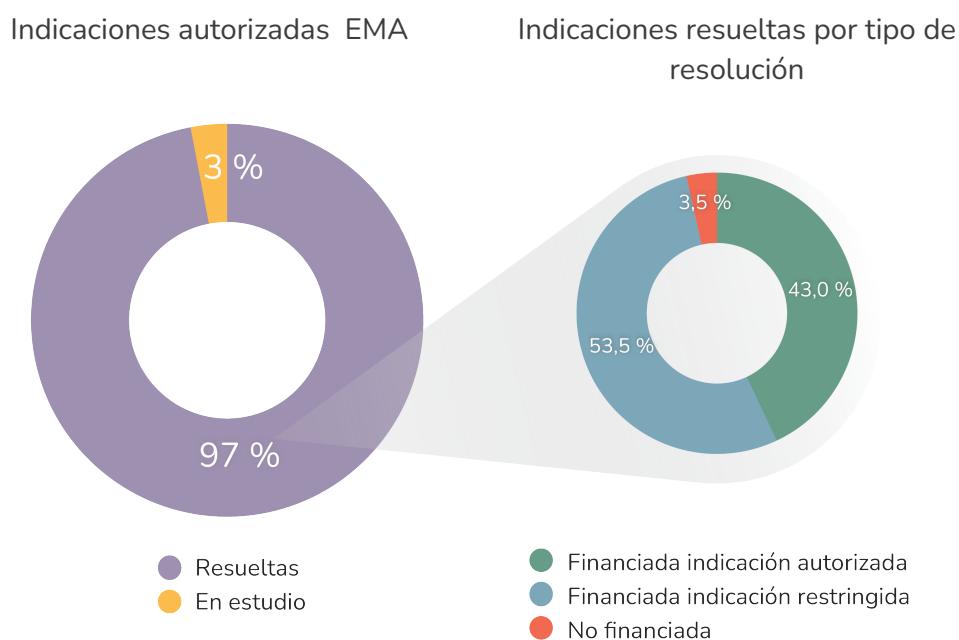
Todos los tratamientos fueron financiados por los criterios a) y c) recogidos en la legislación vigente para la financiación de nuevos medicamentos, que recordemos versan sobre la gravedad, duración y secuelas de la patología, y valor terapéutico y social del medicamento, respectivamente. Además, para 2 medicamentos se incluye el criterio b), que se refiere a necesidades específicas de ciertos colectivos.

MM.HH. financiados en 2025 por área terapéutica



Por área terapéutica, de los 20 nuevos medicamentos huérfanos financiados durante este año, **el 30 % son para enfermedades oncológicas y el 25 % para enfermedades metabólicas**.

Por último, los 20 medicamentos huérfanos financiados en el 2025 cuentan con **29 indicaciones de tratamiento autorizadas**. De estas, el 97 % (28 de las 29) están resueltas, con el resultado que el 43 % (15 de 28) están financiadas según la indicación autorizada, el 53,5 % (12) de indicaciones están restringidas, y 1 no está financiada.

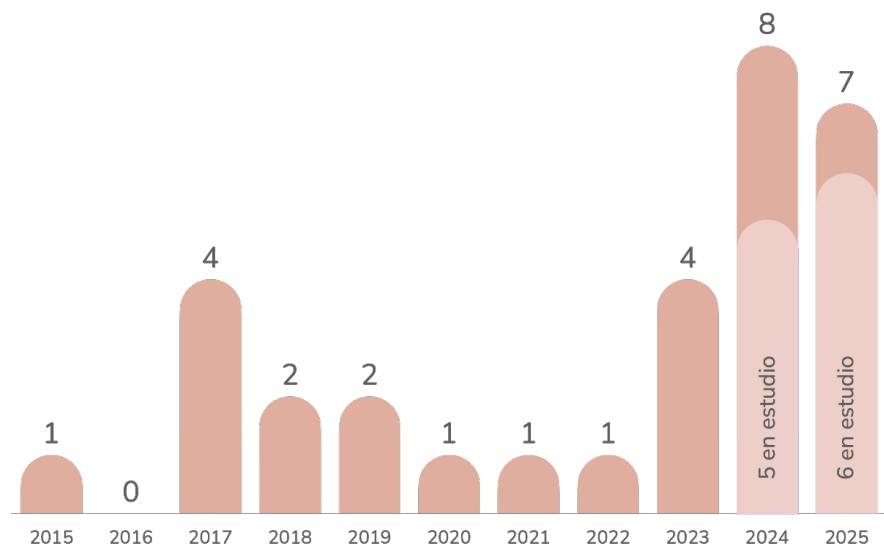


> 3.2.2

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS NO FINANCIADOS

Actualmente en España **hay 31 medicamentos huérfanos con Código Nacional sin financiar**. De estos, 20 han recibido una resolución negativa de financiación (1 de ellos con CN de 2025) mientras que 11 se encuentran en estudio o su financiación no ha sido solicitada todavía (5 de 2024 y 6 de 2025).

MM.HH. no financiados por año de CN

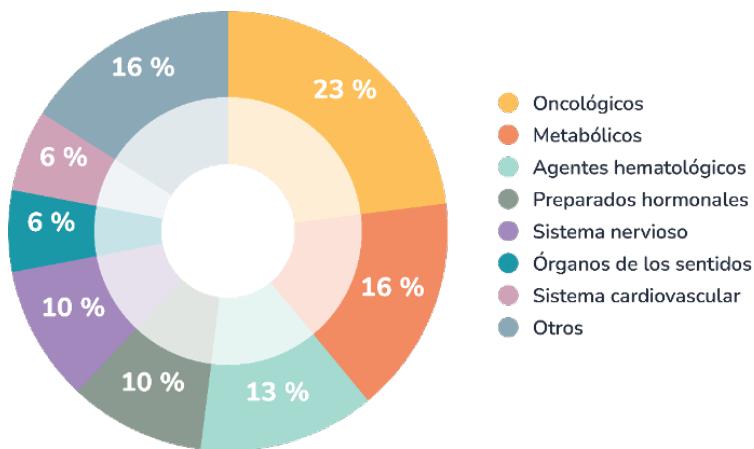


Tal y como refleja el gráfico de arriba, de estos 31 medicamentos huérfanos:

- > **El 32 % (10) llevan esperando financiación pública desde el periodo 2015-2020.**
- > **El 45 % (14) en el periodo 2021-2024 continúan sin financiación por el SNS.**
- > **El 23 % restante (7) recibió Código Nacional en 2025.**

Por lo tanto, estas cifras muestran que **más del 40 % (13) de los medicamentos huérfanos con CN sin financiación llevan esperando más de 3 años para su incorporación al SNS**, si bien es cierto que casi el 20 % (6) lleva menos de un año en esta situación.

MM.HH. sin financiar con CN por área terapéutica



De los medicamentos huérfanos con CN no financiados, **un 23 % (7) son para enfermedades oncológicas y un 16 % (5) metabólicas**, entre otras.

En el informe **también se recoge la información sobre reuniones de la 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 2025 disponible en la página web del Ministerio de Sanidad).

De estos 31 medicamentos huérfanos, **20 (65 %) han pasado por la CIPM durante el periodo 2015-2025**. En 17 de ellos (85 % de los que han pasado la CIPM), se incluye el criterio d (racionalización del gasto) para no obtener la financiación, mientras que los criterios c (valor terapéutico y social) y e (existencia de otras alternativas a menor precio) han sido incluidos en decisiones para 7 (35 %) y 6 (30 %) tratamientos, respectivamente.

> 3.3

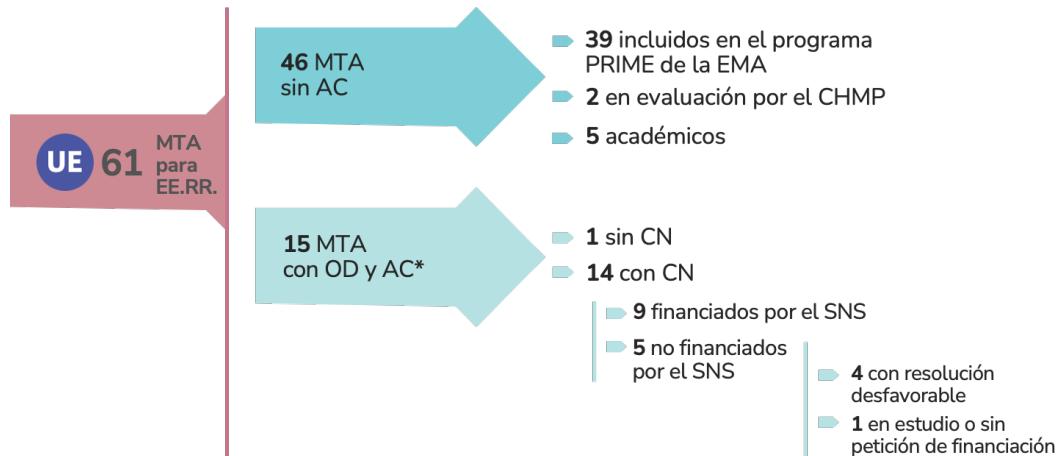
MEDICAMENTOS DE TERAPIA AVANZADA PARA ENFERMEDADES RARAS

Un medicamento de terapia avanzada (MTA) es un fármaco biológico de uso humano basado en:

- > **Genes**: terapia génica, que introduce, corrige o reemplaza genes dentro de las células del paciente para tratar una enfermedad.
- > **Células**: terapia celular, tratamiento que usa células vivas que pueden venir del propio paciente o de un donante y se administran para reparar o sustituir células dañadas o para actuar contra una enfermedad.
- > **Tejidos**: terapia tisular, tratamiento que utiliza células o tejidos creados o modificados en laboratorio para reparar, regenerar o reemplazar partes del cuerpo.

Muchas de las terapias avanzadas que se están desarrollando actualmente están dirigidas a enfermedades raras y, además, cuentan con designación de medicamento huérfano. Por este motivo, se incluyen en el presente Informe, ya que representan una de las áreas de mayor innovación y necesidad médica no cubierta.

Estas terapias **son especialmente relevantes porque ofrecen nuevas posibilidades de tratamiento para patologías que, en muchos casos, carecen de opciones terapéuticas eficaces o solo disponen de abordajes sintomáticos**. Para los pacientes, esto puede traducirse en una mejora significativa de la calidad de vida, en la modificación del curso natural de la enfermedad e incluso en oportunidades terapéuticas potencialmente curativas.



Hasta el 31 de diciembre de 2025, **existen 61 MTA para enfermedades raras**, pero solo el 25 % cuentan con autorización de comercialización (15).

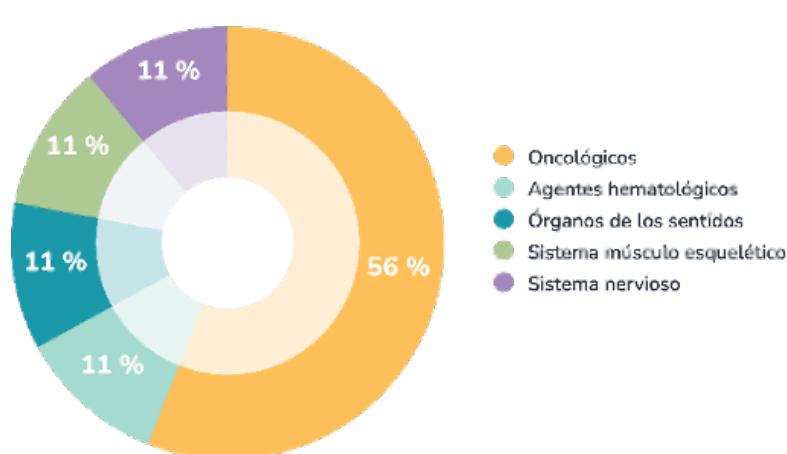
De estas 61, **2 se encuentran en proceso de evaluación por el CHMP, 5 son MTA académicos y 39 están incluidos en el programa PRIME de la EMA**.

PRIME está destinado a apoyar el desarrollo de medicamentos dirigidos a necesidades médicas no cubiertas con una mayor interacción y un diálogo temprano con las compañías de medicamentos innovadores para que estas terapias puedan llegar antes a los pacientes,

Las 15 terapias avanzadas que cuentan con autorización de comercialización están incluidas dentro de los 156 MM.HH. a los que se hace referencia en este informe. De estas, 14 tienen Código Nacional y 9 están financiadas por el SNS.

De las **5 terapias con Código Nacional pero no financiadas**, 4 tienen resolución desfavorable de financiación y 1 está en estudio o sin petición de financiación.

Terapias avanzadas con OD financiadas por el SNS por área terapéutica

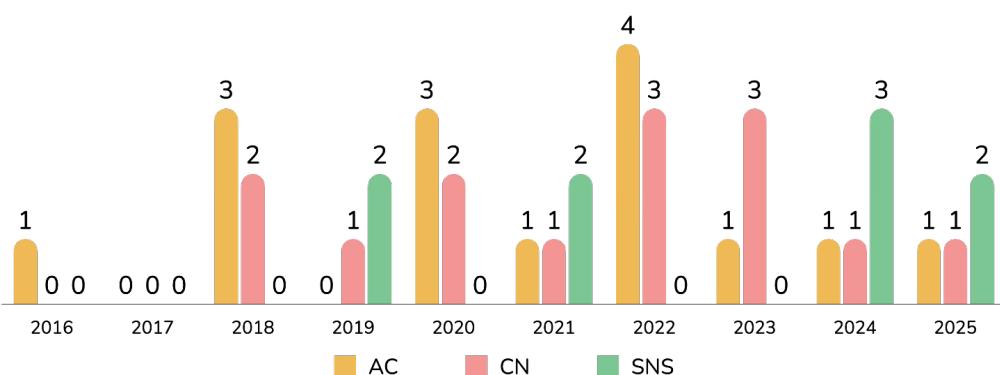


Cinco de estas terapias son oncológicas, y el resto son: 1 hematológico, 1 para los órganos de los sentidos, 1 para el sistema músculo-esquelético y 1 para el sistema nervioso, respectivamente.

Además, las 9 terapias están sometidas a seguimiento a través del procedimiento informático SEGUIMED, y 8 a cumplimentar el protocolo farmacoclínico a través de VALTERMED. Las 9 terapias tienen al menos 2 condiciones de financiación adicionales, incluyendo pago por resultados en 8 de ellas.

El tiempo promedio desde la autorización de comercialización europea hasta la obtención del Código Nacional en España es de 3 meses, y desde el CN hasta la financiación por el SNS, 24 meses. Tres de las 9 terapias han sido financiadas después de su primera reunión con la CIPM, 2 en la segunda reunión, 3 en la tercera y 1 ha necesitado de 4 reuniones con la Comisión.

Evolución MTA por indicador (2016-2020)



El gráfico anterior muestra la evolución de los MTA, desde 2016 hasta 2025. España ha incorporado 2 terapias avanzadas con designación huérfana al Sistema Nacional de Salud en el último año, una menos que en 2024. Aun así, en los últimos dos años se han financiado más terapias avanzadas que en los seis años anteriores.

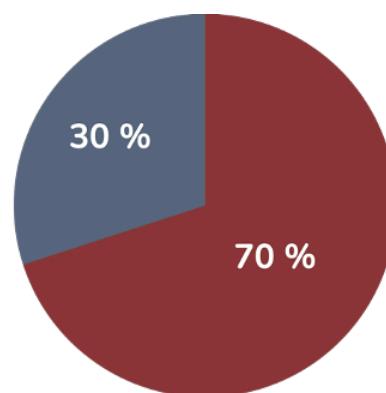
> 3.4

MEDICAMENTOS INDICADOS PARA ENFERMEDADES RARAS QUE HAN PERDIDO LA DESIGNACIÓN HUÉRFANA

El informe también analiza aquellos medicamentos que, aun habiendo perdido la designación huérfana entre 2008 y 2025, continúan financiados por el Sistema Nacional de Salud. A 31 de diciembre de 2025, **se han identificado 90 fármacos en esta situación**. De estos:

- > 30 % han perdido la designación huérfana a petición de la compañía titular o a una decisión de la Comisión Europea.
- > 70 % fue debido a la finalización del periodo establecido de exclusividad comercial.

Motivo de pérdida de OD



- Finalización del periodo de exclusividad comercial
- Petición compañía titular/Comisión Europea

4

Valoraciones y recomendaciones

> 4.1

VALORACIONES

Para AELMHU, **los datos de acceso a los medicamentos huérfanos en 2025 mantienen la tendencia positiva observada en los informes de los dos últimos años**. Esto representa una buena noticia para los pacientes y sus familias, especialmente para quienes aún no disponen de un tratamiento para sus patologías y depositan su esperanza en la innovación farmacéutica.

Podemos destacar cuatro resultados especialmente positivos. En primer lugar, un indicador clave del acceso a medicamentos huérfanos en España es la proporción de medicamentos que, habiendo recibido autorización de comercialización a nivel europeo, cuentan con financiación en nuestro país. En 2024, España financiaba el 58 % de los fármacos autorizados en Europa, mientras que **en 2025 este porcentaje se ha incrementado hasta el 66 %**.

En cuanto a los tiempos de espera en 2025, 5 medicamentos huérfanos han recibido financiación dentro del primer año tras obtener el Código Nacional, y 6 han logrado financiación en su primera reunión con la CIPM. **Reducir los plazos entre los principales hitos es esencial para mejorar el acceso a estos tratamientos en España**. Por este motivo, AELMHU y sus asociados mantienen el compromiso de trabajar de forma colaborativa con los distintos agentes en un entorno de confianza.

En tercer lugar, al analizar el número de medicamentos huérfanos que cuentan con Código Nacional, pero que aún no están financiados, observamos que una proporción relevante (uno de cada cinco) de ellos lleva menos de un año esperando una resolución favorable. Desde la Asociación **esperamos, teniendo en cuenta los datos anteriores, que estos medicamentos logren acceso en un plazo razonable** y sin necesidad de acudir a una nueva reunión de la CIPM.

En cuarto lugar, en relación con las terapias avanzadas, durante 2025 se han incorporado 2 nuevas al SNS, alcanzando un total de 9 financiadas. Parece que dejamos atrás la situación de 2022 y 2023, años en los que no se financió ninguna. **Es fundamental que estas terapias continúen incorporándose en España, dada su creciente relevancia futura**. No obstante, tras su financiación, suelen estar sujetas a controles estrictos, por lo que es necesario asegurar que las condiciones y restricciones aplicadas no limiten el acceso de los pacientes.

Estos resultados positivos reflejan el importante esfuerzo realizado por todos los agentes implicados en los últimos años. Sin embargo, desde AELMHU

consideramos que debemos seguir avanzando para que el sistema esté preparado ante la llegada a España de estos tratamientos innovadores para enfermedades raras en los próximos años, avanzando en el desarrollo de modelos de financiación flexible, evaluaciones ágiles, infraestructura adecuada y colaboración público-privada.

Sin embargo, **algunos indicadores no han experimentado esta tendencia positiva, siendo menos favorables**. Los tiempos de espera entre la asignación del Código Nacional y la decisión de financiación se mantienen sin cambios en los últimos tres años, con un promedio de 23 meses.

Además, **una proporción significativa de los medicamentos huérfanos financiados en 2025 tardó más de dos años en obtener financiación tras recibir el Código Nacional**, y necesitó acudir al menos a tres reuniones de la CIPM. Por ello, consideramos necesario continuar trabajando conjuntamente para reducir estos plazos y convertir la mejora de los tiempos de acceso en uno de los objetivos centrales del esperado desarrollo normativo, tanto en Europa como en España, ya que actualmente aún estamos lejos de cumplir los tiempos establecidos en la legislación vigente.

También **resulta preocupante la situación de algunos medicamentos huérfanos con Código Nacional que aún no cuentan con financiación**, ya que más de 4 de cada 10 llevan esperando más de tres años su incorporación a la financiación pública.

Por otra parte, **el 14 % (22) de los medicamentos con autorización de comercialización europea aún no han llegado a España**. De ellos, la mitad obtuvo dicha autorización hace más de un año, mientras que la otra mitad lo hizo en el último año. Si se mantiene y mejora el acceso, cabe esperar que en 2026 aumente el número de medicamentos huérfanos que soliciten Código Nacional. Esto es clave para que la innovación llegue al mercado español, ya que representa un requisito fundamental en el acceso a tratamientos en nuestro país. Por ello, **es necesario asegurar que, como país, se garantice un contexto atractivo que fomente la llegada de nuevos tratamientos para enfermedades raras**, que en muchos casos suponen la única alternativa terapéutica para los pacientes.

> 4.2

RECOMENDACIONES

A partir de los resultados del informe, se presentan a continuación una serie de recomendaciones orientadas a mejorar la situación del acceso a medicamentos huérfanos en España.

- > Las iniciativas europeas mencionadas en la introducción serán un elemento determinante para el acceso a estos medicamentos en nuestro país. Debemos aprovechar las estructuras europeas y alinearlas con nuestras necesidades. Para ello, **es fundamental seguir de cerca la evolución normativa en Europa y asegurar que España pueda influir positivamente en estos desarrollos regulatorios**, fomentando la competitividad del sector biofarmacéutico y los incentivos para la investigación, el desarrollo y el acceso a medicamentos huérfanos. No debemos olvidar que, aproximadamente, **el 94 % de las enfermedades raras reconocidas hasta la fecha siguen sin tratamiento**, por lo que reducir este porcentaje debe ser un objetivo estratégico a todos los niveles.
- > Una vez implementada la regulación europea de evaluación de tecnologías sanitarias, será necesario avanzar durante 2026 en el desarrollo normativo nacional a través de la futura Ley de Medicamentos y Productos Sanitarios y de los distintos Reales Decretos pendientes de publicación. En este proceso, **resulta clave incorporar el valor social de los medicamentos huérfanos en su evaluación para la fijación de precio y financiación por el SNS**, y superar una visión limitada basada únicamente en el análisis tradicional de coste-efectividad. Estos medicamentos aportan valor no solo a los pacientes que los reciben, sino al conjunto de la sociedad. De no hacerlo, **existe el riesgo de que los pacientes con enfermedades raras vean limitado su acceso a estos tratamientos**.
- > Es importante destacar también el papel de los distintos agentes involucrados en los procesos de evaluación, precio y financiación. Durante 2025 se ha puesto especial énfasis en la relevancia de los pacientes y los

profesionales sanitarios, particularmente en el ámbito de las enfermedades raras, donde existe gran incertidumbre y escasez de conocimiento. **Es fundamental integrar en el Sistema Nacional de Salud la idea de que el paciente no solo recibe tratamiento: también genera evidencia, define y evalúa valor, orienta políticas y contribuye a garantizar la equidad.** Un objetivo clave para 2026 debe ser reforzar las capacidades de los pacientes para que el sistema sanitario responda realmente a sus necesidades, y puedan aportar su experiencia y conocimiento en la toma de decisiones, favoreciendo un acceso más rápido y equitativo. Al mismo tiempo, **es necesario facilitar el trabajo de los profesionales sanitarios**, que actúan como puente entre la regulación, la evidencia científica y las necesidades reales de los pacientes, convirtiendo la innovación farmacéutica en beneficios tangibles para la sociedad.

- > Finalmente, más allá de las cifras del Informe, **es imprescindible garantizar la equidad en el acceso a medicamentos huérfanos entre las distintas comunidades autónomas.** Estas desempeñan un papel clave, ya que no solo ejecutan el acceso dentro del Sistema Nacional de Salud, sino que transforman la financiación nacional en acceso real para los pacientes. Una vez financiado un medicamento por el SNS, son las comunidades autónomas quienes determinan cuándo y cómo llega efectivamente al paciente. Desde AELMHU, queremos ser en 2026 un aliado de las comunidades autónomas, ofreciéndoles apoyo para mejorar el acceso a medicamentos huérfanos en España de forma eficiente, sostenible y equitativa.
- > Desde la Asociación confiamos en que todo este nuevo marco normativo y legislativo, si finalmente sale adelante, **impulse la investigación, el desarrollo y la llegada de la innovación a nuestro sistema sanitario** de forma más equitativa y rápida, fomentando la innovación en el sector farmacéutico, y de manera especial en el campo de los medicamentos huérfanos y otros tratamientos para enfermedades raras.

AELMHU reitera su voluntad de colaboración para que, entre todos —pacientes, comunidad científica, profesionales, industria y responsables públicos— aunemos esfuerzos **con el objetivo de encontrar soluciones que mejoren la calidad de vida de las personas que conviven con una enfermedad rara o ultrarrara.**

5

Fuentes de
información

- [Medicamentos con designación huérfana de la Agencia Europea del Medicamento](#)
- [Registro Comunitario de Medicamentos Huérfanos](#)
- [Centro de información online de medicamentos de la AEMPS](#)
- [Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos \(BIFIMED\)](#)
- [Acuerdos Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos \(CIPM\)](#)
- [Programa PRIME: Priority Medicines de la Agencia Europea del Medicamento](#)

6

Acrónimos

- **AC:** autorización de comercialización europea por procedimiento centralizado
- **AEMPS:** Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios
- **BIFIMED:** Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos
- **CHMP:** Comité de Medicamentos de Uso Humano
- **CIPM:** Comisión Interministerial de Precios de Medicamentos
- **CN:** Código Nacional
- **COMP:** Comité de Medicamentos y Productos Huérfanos de la EMA
- **EMA:** Agencia Europea del Medicamento
- **EE.RR.:** enfermedades raras
- **MM.HH.:** medicamentos huérfanos
- **MTA:** medicamentos de terapia avanzada
- **OD:** orphan designation (designación huérfana)
- **PRIME:** Priority Medicines
- **SEGUIMED:** Seguimiento para el abastecimiento de medicamentos en el mercado nacional
- **SNS:** Sistema Nacional de Salud
- **UE:** Unión Europea
- **VALTERMED:** Sistema de Información para determinar el Valor Terapéutico en la Práctica Clínica Real de los Medicamentos de Alto Impacto Sanitario y Económico en el SNS

aelmhu

asociación española de laboratorios de
medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos



aelmhues



x.com/aelmhhu



linkedin.com/company/aelmhhu



instagram.com/aelmhhu_/

Más información en: comunicacion@aelmhues