INFORME SOBRE ENSAYOS CLÍNICOS PARA ENFERMEDADES RARAS EN ESPAÑA 2025

Los ensayos clínicos **son mecanismos de investigación que se utilizan para determinar la seguridad y eficacia de los medicamentos**

Actualmente, el **94%** de las enfermedades raras **no tiene una herramienta diagnóstica o tratamiento**

ENSAYOS CLÍNICOS AUTORIZADOS (2024-2025)

Nº de **ensayos clínicos**

De los ensayos clínicos autorizados son para enfermedades raras

Participantes en los ensayos clínicos

Ensayos clínicos para EE.RR. por **promotor**

De los ensayos clínicos para enfermedades raras son de **promotores comerciales**

Fases de los ensayos clínicos para EE.RR.

Participación de las **comunidades autónomas** en los **ensayos clínicos** para **EE.RR.**

Cataluña, la Comunidad de Madrid, Andalucía y la Comunidad Valenciana son las comunidades con mayor participación en ensayos clínicos en enfermedades raras

119 centros estuvieron implicados en los 26 ensayos clínicos para enfermedades raras en 2025.

Hospitales líderes en investigación clínica para enfermedades raras

Centro	Ciudad	Nº EC EE.RR.
Hospital Universitario Vall d'Hebron	Cataluña	58
Hospital Universitario 12 de Octubre	Comunidad Valenciana	48
Hospital Universitario Virgen del Rocío	Andalucía	42
Hospital Universitario La Paz	Comunidad de Madrid	40
Hospital Clínic de Barcelona	Cataluña	32
Hospital Universitario 12 de Octubre	Comunidad de Madrid	27
Hospital Clínic	Cataluña	26
Hospital de la Santa Cruz i San Pau	Cataluña	25
Hospital de Sant Joan de Déu	Cataluña	22
Hospital Universitario Ramón y Cajal	Comunidad de Madrid	20
Hospital Universitario de Salamanca	Castilla y León	20
Hospital Universitario Fundación Jiménez Díaz	Madrid	17
Hospital Universitario de Bellvitge	Cataluña	17
Instituto Catalán de Oncología	Cataluña	16
Hospital Universitario Marqués de Valdecilla	Comunidad Foral de Navarra	16
Complejo Hospitalario Universitario de Santiago	Galicia	15
Hospital Universitario Regional de Málaga	Andalucía	13
Hospital Universitario Marqués de Valdecilla	Cantabria	13

La investigación de las **enfermedades raras** por **área terapéutica**

Ensayos clínicos con **terapias avanzadas** autorizados en España

De los ensayos clínicos con MTA autorizados son para enfermedades raras

De los participantes incluidos en EECC con MTA han sido para EE.RR.

ENSAYOS CLÍNICOS para **EE.RR.** (2020-2025)

Nº de **ensayos clínicos**

En los últimos 6 años se han autorizado en España 475 ensayos clínicos, **1.284 para enfermedades raras (27%)**

Durante los 6 últimos años, 340.377 personas participaron en algún ensayo clínico, **24.270 en ensayos para enfermedades raras (7%)**

Ensayos clínicos por promotor

De los ensayos clínicos para enfermedades raras son promotores comerciales

Participación de las **comunidades autónomas** en los **ensayos clínicos** para **EE.RR.**

Hospitales líderes en **investigación clínica** para **enfermedades raras**

Centro	Ciudad	Nº ensayos
Hospital Universitario Vall d'Hebron	Cataluña	1.147
Hospital Universitario 12 de Octubre	Comunidad Valenciana	1.036
Hospital Universitario La Paz	Andalucía	1.000
Hospital Universitario 12 de Octubre	Comunidad de Madrid	997
Hospital Clínic de Barcelona	Cataluña	968
Hospital Universitario Ramón y Cajal	Comunidad de Madrid	941
Hospital Universitario Virgen del Rocío	Andalucía	934
Hospital Universitario Marqués de Valdecilla	Cantabria	917
Instituto Catalán de Oncología	Cataluña	911
Hospital Universitario Puerta de Hierro	Comunidad de Madrid	899
Hospital de Sant Joan Despí Moi Foners	Cataluña	897
Hospital Universitario de Salamanca	Castilla y León	897
Clínica Universidad de Navarra	Comunidad Foral de Navarra	896
Hospital Sant Joan de Déu Barcelona	Cataluña	870

Ensayos clínicos por **área terapéutica**

Oncología se mantiene como el área más destacada en ensayos clínicos en enfermedades raras, pero **se ha producido una diversificación hacia otras áreas terapéuticas,** especialmente en Sistema inmunitario y Sistema Nervioso.

Ensayos clínicos con **terapias avanzadas** para **EE.RR.**

Los ensayos de terapias avanzadas para enfermedades raras han incluido a **1.636 participantes** entre 2020 y 2025, **el 30% de participantes en ensayos clínicos con medicamentos de terapias avanzadas**

1 Tuneta Nogueira Engelbrecht de Andrade Oliveira, MSc. - SOHPI, consultora en Mercado de Acceso. Análisis de datos elaborados para Monitoraxe Consulting.
2 Los ensayos clínicos están incluidos aquellos ensayos clínicos autorizados, aquellos que están activos y/o reclutando y aquellos que están finalizados y/o cerrados.
Información del Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social. Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social. Ensayos clínicos con medicamentos. Ensayos clínicos con medicamentos. Ensayos clínicos. Ensayos clínicos en enfermedades raras. Consulta de ensayos clínicos. Consulta de ensayos clínicos. Consulta de ensayos clínicos