

Cataluña, Madrid y Andalucía lideran la investigación en enfermedades raras en España

- Los ensayos clínicos para enfermedades raras aumentaron un 4 % en 2025 con respecto al año anterior, con un total de 216 estudios
- La industria farmacéutica impulsó el 98 % de los ensayos clínicos para enfermedades raras

Madrid, 19 de mayo de 2026. La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos ([AELMHU](#)) ha publicado el '**Informe sobre Ensayos Clínicos para Enfermedades Raras en España 2025**', que analiza los datos más relevantes sobre los ensayos clínicos autorizados para estas patologías en 2025, así como su evolución en los últimos seis años en nuestro país.

Según el informe, publicado con motivo del **Día Internacional de los Ensayos Clínicos**, que se celebra este miércoles 20 de mayo, **Cataluña, Comunidad de Madrid y Andalucía** fueron las comunidades autónomas con mayor actividad investigadora en enfermedades raras, concentrando más del 50 % de los estudios en 2025.

En concreto, **Cataluña participó en 171 ensayos para enfermedades raras**; seguida de **Comunidad de Madrid**, con 151; **Andalucía, con 100 ensayos**, y **Comunidad Valenciana, con 79**. Sin embargo, al ajustar los datos por la población de cada territorio, también destacan otras CCAA como Navarra, Galicia o País Vasco, que superan la tasa de ensayos clínicos por millón de habitantes de Cataluña y Andalucía.

A nivel nacional, según los datos del [Registro Español de Estudios Clínicos \(REec\)](#) de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS), durante 2025 se autorizaron en España un total de 962 ensayos clínicos. De ellos, **216 estaban dirigidos a enfermedades raras**, lo que supone un aumento del 4 % frente al año anterior. Esto supone que los estudios sobre estas patologías representan el 22 % del total, una proporción similar a la del año pasado. Por otra parte, también se produjo **un incremento del 11 % en el número de participantes** en estudios para estas patologías, hasta alcanzar los 4.088 el año pasado.

Otro dato relevante del informe es que los ensayos clínicos para enfermedades raras promovidos por compañías farmacéuticas se incrementaron un 8 % en 2025, hasta alcanzar los 212 estudios, frente a los 196 contabilizados el año anterior. Así, **la industria farmacéutica impulsó el 98 % del total de investigaciones autorizadas en estas patologías**.

"Estos datos confirman que **la investigación en enfermedades raras continúa avanzando y consolidándose en España**, una noticia especialmente positiva para las personas con enfermedades raras que siguen esperando nuevas alternativas terapéuticas. Además, también demuestran que la industria farmacéutica mantiene su firme compromiso con la innovación en estas patologías. Sin embargo, creemos que sigue siendo necesario contar con procesos administrativos más ágiles y mayores incentivos a la I+D para acelerar la puesta en marcha de los ensayos y

mejorar la competitividad de España en este ámbito”, ha señalado **Beatriz Perales**, presidenta de AELMHU.

Fases y áreas terapéuticas de los ensayos clínicos para enfermedades raras

Los ensayos clínicos para enfermedades raras en España durante 2025 se concentraron mayoritariamente en las **fases II y III**, representando el 72 % del total. Respecto al 2024, destaca especialmente el aumento del 22 % en ensayos en la fase III frente al año anterior (de 77 a 94 estudios).

En relación a las áreas terapéuticas, el informe observa una tendencia hacia una mayor diversificación. **Oncología** sigue siendo el área predominante, con 47 ensayos clínicos para enfermedades raras en 2025, pero su peso relativo ha bajado a 22 %, cuatro puntos porcentuales menos que en 2024.

Por detrás, se sitúa **sistema inmunitario**, que se consolida como la segunda área terapéutica con mayor número de ensayos, al experimentar un crecimiento del 38 %: de 32 ensayos en 2024 a 44 en 2025. Le siguen **sistema nervioso**, con 33 ensayos autorizados, por delante de **anormalidades congénitas, hereditarias y neonatología**, con 27. También destaca el incremento de ensayos autorizados para **enfermedades cardiovasculares raras**, con 16 ensayos clínicos, duplicando la cifra del año anterior.

Terapias avanzadas para enfermedades raras

El informe también recoge la autorización de **ensayos clínicos con medicamentos de terapias avanzadas**. En 2025, el número total de estudios autorizados descendió un 25 %, hasta situarse en 40, frente a los 53 registrados en 2024. Esta tendencia fue aún más acusada en el ámbito de las enfermedades raras, donde el número de ensayos se redujo de 28 a 10, lo que supone un descenso del 64 %.

En esta línea, también disminuyó el número de participantes en este tipo de investigaciones, con un total de 870 personas incluidas en ensayos de terapias avanzadas, de las cuales **138 correspondían a pacientes con enfermedades raras**. Pese al descenso registrado respecto al año anterior, la investigación en terapias avanzadas continúa siendo clave para facilitar el acceso a tratamientos innovadores dirigidos a pacientes con enfermedades raras.

Evolución de los ensayos clínicos en España desde 2020

Por último, el informe analiza la **evolución de los ensayos clínicos en España desde 2020**. En los últimos seis años, se han autorizado en España 5.678 ensayos clínicos, de los cuales 1.284 (23 % del total) se han dirigido a enfermedades raras.

En este periodo, **los ensayos clínicos dirigidos a enfermedades raras han mostrado una evolución positiva**, con una media de alrededor de 200 estudios al año. Esto se debe principalmente al **impulso de la industria farmacéutica a la investigación en enfermedades raras**. De hecho, desde el 2020, 48 ensayos han sido promovidos por promotores no comerciales y 1.236 ensayos por compañías farmacéuticas, el 96 % del total.



aelmhu

Sobre AELMHU

AELMHU es una asociación sin ánimo de lucro que agrupa a compañías 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, Esteve, Grupo Italfarmaco, Immunocore, Insmmed, Ipsen, Kyowa Kirin, Lundbeck, Merck, Novartis, Pharma&, PTC Therapeutics, Sanofi, Sobi, Takeda, UCB, Ultragenyx Pharmaceutical y Vertex.



mhu



comunicacion@aelmhu.es



aelmhu.es



[Twitter](#)



[LinkedIn](#)



[Instagram](#)

© 2026