



MEMORIA

ANUAL

2025

de **Lmhu**

ÍNDICE

01. CARTA DE LA PRESIDENTA

02. LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS Y ULTRAHUÉRFANOS EN ESPAÑA

03. QUIÉNES SOMOS

- 3.1 Qué es AELMHU
- 3.2 Órgano de Gobierno
- 3.3 Órgano de Representación
- 3.4 Equipo técnico

04. QUÉ HACEMOS

- 4.1 Informes
- 4.2 Encuentros AELMHU
- 4.3 Formaciones a asociados
- 4.4 Eventos propios
- 4.5 Grupos de trabajo

05. AELMHU, INTERLOCUTOR CLAVE EN ENFERMEDADES RARAS

- 5.1 Participación en consultas y audiencias públicas
- 5.2 Reuniones institucionales
- 5.3 Organismos de representación sectorial
- 5.4 Alianzas
- 5.5 Relación con FEDER y las asociaciones de pacientes
- 5.6 Eventos del sector

06. COMUNICACIÓN

- 6.1 AELMHU en los medios
- 6.2 AELMHU en el entorno digital
- 6.3 Comunicación con los asociados

07. AGRADECIMIENTOS

01. CARTA *de la* PRESIDENTA

El 2025 ha sido **un punto de inflexión en el ámbito de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos**. No ha sido un año únicamente de avances, sino también un momento de redefinición de marcos y prioridades.

La Unión Europea y España están avanzando en **un proceso de profunda revisión de su arquitectura normativa y legislativa en materia farmacéutica**. La Estrategia Farmacéutica Europea, el Plan de Acción Europeo sobre Enfermedades Raras, así como las iniciativas legislativas y normativas que se están impulsando en nuestro país, como el Anteproyecto de Ley de Medicamentos y Productos Sanitarios o la actualización de la Estrategia de Enfermedades Raras, configuran una oportunidad única para construir un sistema más ágil, predecible y equitativo.

Sin embargo, **este proceso de transformación no está exento de complejidad**. Las singularidades propias de las enfermedades raras —su baja prevalencia, la heterogeneidad clínica o la frecuente ausencia de alternativas terapéuticas— requieren respuestas específicas.





Por ello, como país y como sector, debemos asegurar que los futuros textos legislativos reflejen de manera rigurosa y alineada con la realidad de las necesidades del sistema sanitario y de las personas con enfermedades raras.

Los datos siguen recordándonos la magnitud del reto. A día de hoy, solo una pequeña parte de las enfermedades raras cuenta con tratamientos, y los tiempos de acceso a los medicamentos huérfanos en España continúan siendo un área de mejora. Reducir estas brechas no es únicamente una cuestión de eficiencia, sino de equidad.

En este contexto, **desde AELMHU hemos reforzado nuestro papel como agente activo en el ecosistema sanitario.** A lo largo de este año, hemos intensificado nuestra labor como generadores de conocimiento, impulsando informes sobre acceso a medicamentos huérfanos y ensayos clínicos en enfermedades raras. Hemos fortalecido, además, el diálogo institucional, contribuyendo con propuestas y evidencia a los procesos de consulta y toma de decisiones, y participando activamente en el Comité Mixto de la Estrategia de la Industria Farmacéutica, el PERTE para la Salud de Vanguardia o la Alianza Europea para la Investigación sobre Enfermedades Raras (ERDERA).

Todo ello responde a una convicción firme: **solo desde el conocimiento compartido y la colaboración es posible avanzar**. Administraciones, profesionales sanitarios, investigadores, asociaciones de pacientes e industria farmacéutica estamos llamados a construir, de forma conjunta, respuestas a la altura de los retos a los que nos enfrentamos.

Nada de lo que hacemos sería posible **sin el compromiso y trabajo de nuestros asociados**. Ellos son el motor que ha permitido a AELMHU consolidarse como el interlocutor de referencia en el ámbito de las enfermedades raras en España.

Mi agradecimiento se extiende también a las asociaciones de pacientes, cuya voz y experiencia resultan imprescindibles para orientar nuestro trabajo. Ellos representan el propósito último de cada propuesta e iniciativa que ponemos en marcha.

Quiero reconocer igualmente **la labor de nuestro equipo técnico, grupos de trabajo, alianzas estratégicas y colaboradores**, cuyo rigor y dedicación permiten que nuestra Asociación siga aportando valor en un entorno cada vez más exigente y dinámico.

En AELMHU tenemos ilusión por el futuro. Un futuro en el que los avances normativos y científicos se traduzcan en mejoras reales para los pacientes; en el que la innovación llegue de forma más ágil y equitativa; y en el que el sistema sanitario sea capaz de dar respuesta, con anticipación y sensibilidad, a las particularidades de las enfermedades raras.

Seguiremos trabajando con determinación, desde el diálogo y la colaboración, para contribuir a construir ese futuro y para que cada paso que demos se acerque un poco más a nuestro objetivo común: mejorar la vida de las personas que conviven con una enfermedad rara.

Beatriz Perales
Presidenta de AELMHU

The background of the entire image features two large, vibrant orange flowers, possibly poppies, set against a deep, dark blue background. The flowers are in various stages of bloom, with some petals fully open and others still budding. The lighting is dramatic, highlighting the texture of the petals and the dark centers of the flowers. The overall mood is somber yet vibrant, reflecting the serious nature of the text overlaid on the image.

02

**LOS MEDICAMENTOS
HUÉRFANOS Y
ULTRAHUÉRFANOS
EN ESPAÑA**

Informe Anual de Acceso 2025

Los datos de acceso a los medicamentos huérfanos en 2025 mantienen la **tendencia positiva observada en los dos últimos años**, según nuestro último [Informe de Acceso](#), con datos a 31 de diciembre de 2025.

Los **20 tratamientos financiados en España el año pasado** constituyen la segunda cifra más alta desde 2020, solo superada por el máximo histórico, que se registró en 2023 (21). Así, a cierre de 2025, el Sistema Nacional de Salud financia 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 Unión Europea, **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 (CN) 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.

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, 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.

Por último, el informe 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.

Informe Anual de Acceso 2025

DATOS 2025

Cifras clave: medicamentos huérfanos en la UE y España

Medicamentos huérfanos en la UE y en España

156

Con AC en la UE

134

Con CN en España

103

Financiados por el SNS

Novedades en 2025

18 Nuevas autorizaciones de comercialización

9 Nuevos códigos nacionales

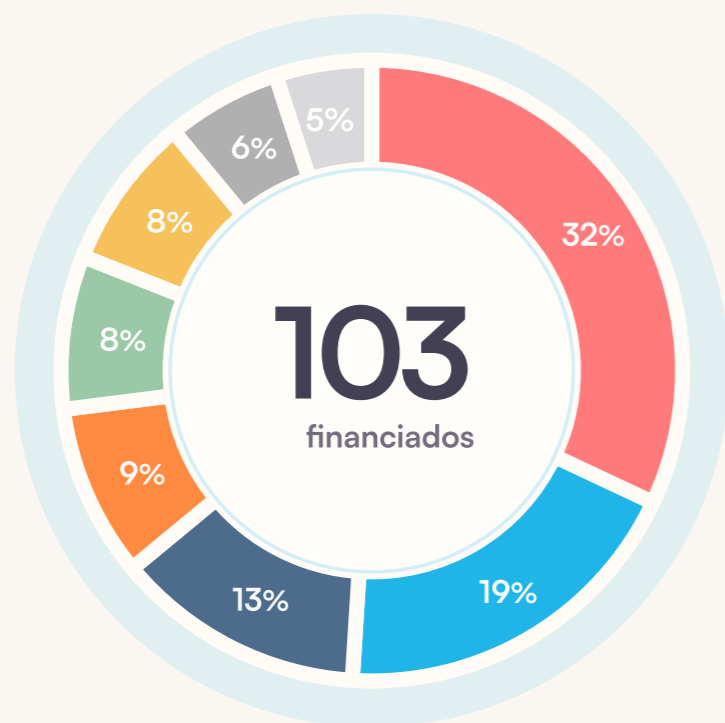
20 Nuevos medicamentos huérfanos financiados

Informe Anual de Acceso 2025

ÁREAS TERAPÉUTICAS

Medicamentos huérfanos financiados por área terapéutica

103 medicamentos huérfanos financiados por el SNS por área terapéutica hasta 31 de diciembre de 2025.



Oncológicos 32 % del total	33
Sistema nervioso 19 % del total	20
Otros 13 % del total	13
Metabólicos 9 % del total	9
Hematológicos 8 % del total	8
Inmunomoduladores 8 % del total	8
Antiinfecciosos 6 % del total	6
Músculo esquelético 5 % del total	5

Fuente: Informe Anual de Acceso a los Medicamentos Huérfanos – AELMHU. Datos a 31/12/2025.

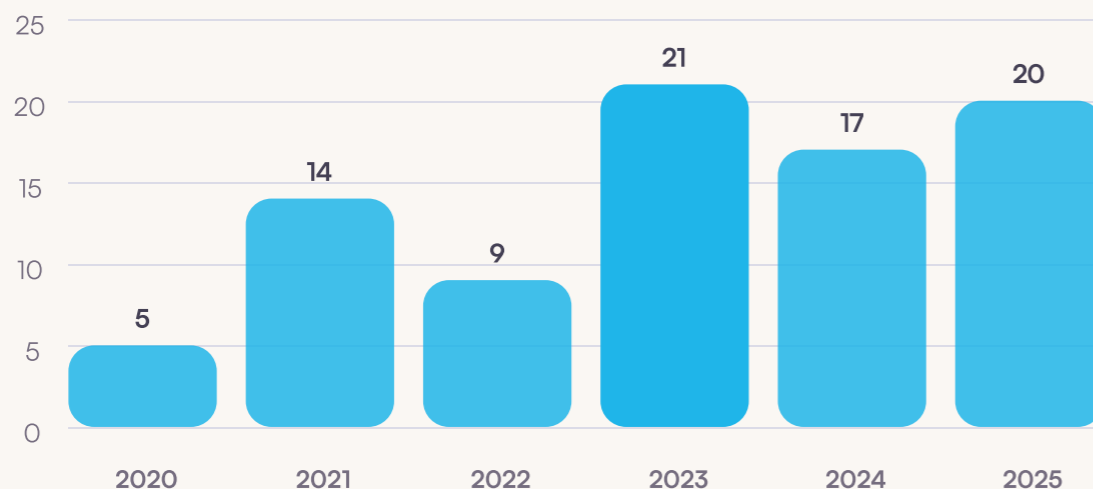
Informe Anual de Acceso 2025

EVOLUCIÓN · 2020-2025

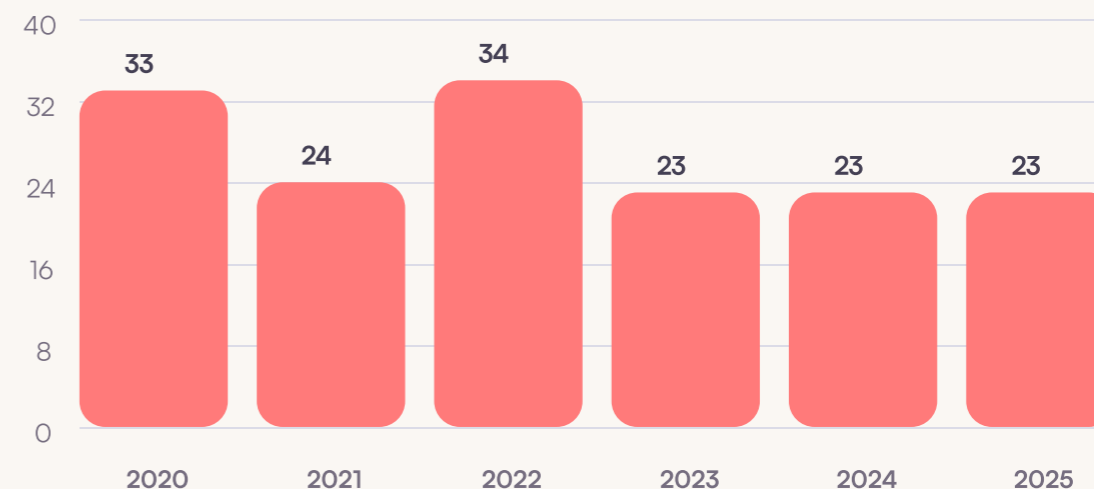
Financiación y tiempos de acceso a lo largo de los últimos seis años

Nº de medicamentos huérfanos financiados por año y media de meses transcurridos entre el CN y la financiación pública.

Nº de MM.HH. financiados en España



Tiempo medio CN → SNS (meses)



Fuente: Informe Anual de Acceso a los Medicamentos Huérfanos – AELMHU. Datos a 31/12/2025.

Informe Anual de Acceso 2025

MEDICAMENTOS HUÉRFANOS SIN FINANCIACIÓN APROBADA

Medicamentos huérfanos sin financiar y pendientes de llegar a España

31 Medicamentos huérfanos con CN pero sin financiar

22 Medicamentos huérfanos con AC pero sin CN

20
No financiados por resolución

11
En estudio o sin petición de financiación

Por años de espera

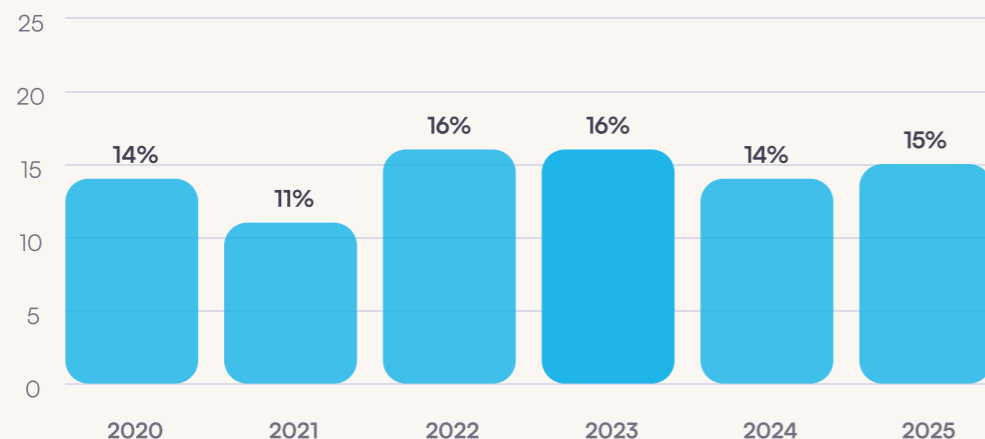
50 %
Menos de 1 año

9 %
Entre 1 y 2 años

4,5 %
Entre 2 y 3 años

36,5 %
Más de 3 años

% MM.HH. con AC sin CN • 2020-2025



Fuente: Informe Anual de Acceso a los Medicamentos Huérfanos – AELMHU. Datos a 31/12/2025.

Informe Anual de Acceso 2025

TERAPIAS AVANZADAS

Terapias avanzadas para enfermedades raras

46 Terapias avanzadas sin AC

39 Incluidas en el programa PRIME de la EMA

5 Académicas

2 En evaluación por el CHMP

15 Terapias avanzadas con designación huérfana y AC

14 Con CN

1 Sin CN

DE LAS 14 CON CN

9
Financiadas por el SNS

5
No financiadas por el SNS

2 Nuevas terapias avanzadas financiadas en 2025 — consolidando el cambio de tendencia tras los años 2022 y 2023, en los que no se financió ninguna.



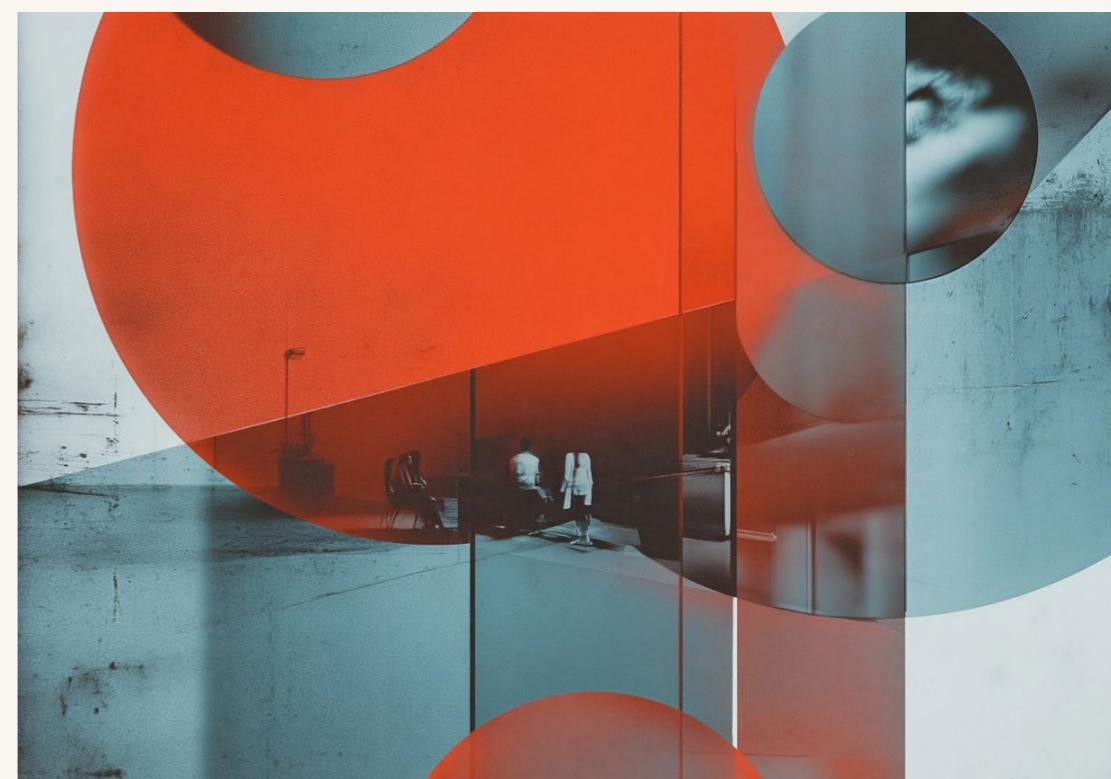
03
/ **QUIÉNES
SOMOS**

3.1 *QUÉ es* *AELMHU*

AELMHU es **una asociación sin ánimo de lucro** constituida en el año 2011 por un grupo de compañías farmacéuticas y biotecnológicas, con un decidido compromiso por investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras para mejorar la calidad de vida de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultrarraras.

Nuestra misión es **contribuir a mejorar la salud y la calidad de vida de las personas afectadas por enfermedades raras**, incrementando la visibilidad y el conocimiento de las patologías, poniendo en valor la investigación y sus tratamientos, representando a las compañías asociadas y defendiendo sus intereses comunes.

Colaboramos con **asociaciones de pacientes, administraciones públicas y otros agentes del sector**, con el ánimo de aportar nuestro conocimiento y experiencia en el tratamiento de las enfermedades raras.



A cierre de 2025, AELMHU está formada por 27 compañías asociadas:



3.1.1 *Nuevos asociados*

Durante 2025, la Asociación ha incorporado a **tres nuevas compañías asociadas**, alcanzando la cifra de 27.

avanzanite[®]
BIOSCIENCE

AVANZANITE BIOSCIENCE

Fundada en 2022 y con sede en Ámsterdam (Países Bajos), la empresa se asocia con compañías biotecnológicas innovadoras de todo el mundo para impulsar el lanzamiento de medicamentos para enfermedades raras en Europa.

ESTEVE

ESTEVE

Empresa farmacéutica global fundada en 1929 y con sede en Barcelona. Enfocada en soluciones innovadoras y altamente especializadas para necesidades terapéuticas no cubiertas.

pharma &

PHARMA &

Empresa privada global con sede en Viena (Austria) creada en 2017, que tiene como objetivo preservar el acceso y fomentar el desarrollo de medicamentos esenciales en todo el mundo, con un enfoque creciente en hematología y oncología.

3.3 ÓRGANO de REPRESENTACIÓN

El Órgano de Representación de la Asociación es la **Junta Directiva**, encargada de su administración y representación. Su renovación se produce cada dos años mediante voto libre de los asociados.

Este órgano está formado por:



Beatriz Perales

PRESIDENTA

Directora de Acceso al Mercado y Relaciones Institucionales de Sobi Iberia.



María José Sánchez

VICEPRESIDENTA

Directora general de CSL Behring en España y Portugal.*



José Luis Moreno

SECRETARIO

Director general en Italia, España y Portugal de Ultragenyx.



Sergio Bullón

TESORERO

Director general en España de Alnylam Pharmaceuticals.



Iván Silva

VOCAL

Value & Access Director Southern Cluster & Country Manager en Kyowa Kirin en España.

* María José Sánchez dejó de ser miembro de la Junta Directiva el 31 de diciembre de 2025, tras su salida de CSL Behring.

04

QUÉ

HACEMOS



4.1 INFORMES



AELMHU tiene como propósito **contribuir a mejorar la salud y la calidad de vida de las personas que conviven con enfermedades raras**, fomentando su visibilidad social y poniendo en valor la importancia de la investigación y del acceso equitativo y ágil a tratamientos innovadores.

Para alcanzar este objetivo, **la Asociación impulsa la generación y difusión de información rigor, fiable y objetiva**, que permita realizar un seguimiento continuo de los avances en la investigación de nuevas alternativas terapéuticas y evaluar las condiciones de acceso de los pacientes a los medicamentos huérfanos.

A lo largo de 2025, AELMHU desarrolló una intensa y relevante actividad en este ámbito, concretada en **la elaboración de cuatro informes especializados**. Tres de ellos estuvieron centrados en el acceso a los medicamentos huérfanos (dos informes cuatrimestrales y un informe anual), que permiten analizar de forma continuada la evolución del acceso de los pacientes a estos tratamientos en España. El cuarto informe se dedicó al seguimiento de los ensayos clínicos en enfermedades raras, aportando una visión actualizada del estado de la investigación y del desarrollo de nuevas opciones terapéuticas.

4.1.1 Informes de Acceso

AELMHU publica, de forma anual y cuatrimestral, **informes de Acceso a los Medicamentos Huérfanos en España**, un análisis que se ha consolidado como un documento clave tanto en el sector farmacéutico como en el ámbito de las enfermedades raras.

Los informes analizan, entre otros aspectos, el número de tratamientos disponibles, los tiempos de aprobación y el estado de su financiación en España, a partir de datos obtenidos de fuentes públicas de la Unión Europea y del [Ministerio de Sanidad](#) del Gobierno de España.

Así, **ofrecen una visión completa del recorrido que siguen los medicamentos** desde su designación como huérfanos y su autorización de comercialización en la Unión Europea, hasta su incorporación al mercado español mediante la asignación de Código Nacional y su financiación por el Sistema Nacional de Salud (SNS). El informe examina la evolución entre estos hitos, los tiempos de espera entre cada fase o las condiciones regulatorias y económicas aplicadas.

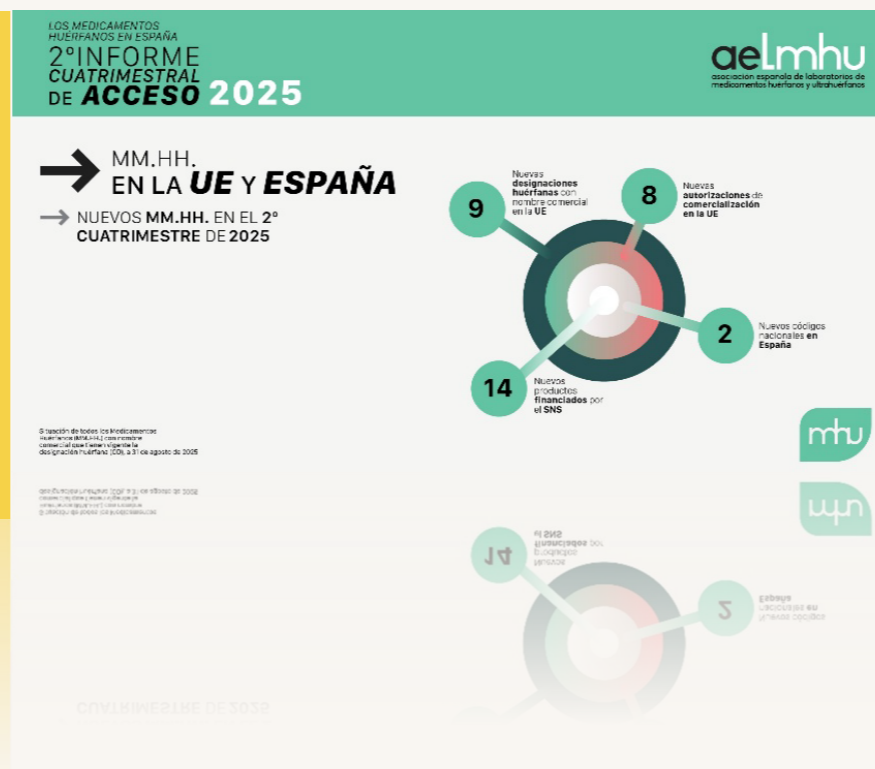
Igualmente, **el informe recoge información sobre medicamentos indicados para enfermedades raras** que han perdido la designación huérfana, pero continúan financiados, así como de aquellos que han recibido resoluciones desfavorables de financiación. Otro de los apartados más relevantes se centra en las terapias avanzadas para enfermedades raras, analizando su inclusión en programas europeos como PRIME, su situación regulatoria o el grado de acceso en nuestro país.



→ [Leer +](#)

En definitiva, un exhaustivo informe sobre el acceso a los medicamentos huérfanos en España que se comparte de forma íntegra con los asociados de AELMHU, y en un formato más ejecutivo, a modo de resumen, con el resto de los grupos de interés. La publicación de **estos informes despierta gran interés entre expertos, líderes de opinión, la comunidad científica, asociaciones e instituciones**, y alcanza una amplia repercusión en medios de comunicación, reforzando y consolidando el papel de AELMHU como la asociación de referencia de la industria farmacéutica en el ámbito de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos.

→ [Leer +](#)



4.1.2 Informe de Ensayos Clínicos

El Informe de Ensayos Clínicos sobre Enfermedades Raras en España, publicado por AELMHU de forma anual con motivo del **Día Internacional del Ensayo Clínico**, que se celebra el 20 de mayo, subraya la importancia de continuar fomentando e impulsando la innovación en España en el ámbito de los ensayos clínicos y reafirma el compromiso de las compañías asociadas con el desarrollo de nuevas terapias para las enfermedades raras.

Igualmente, el informe refleja el compromiso firme y sostenido de la industria farmacéutica con la investigación en enfermedades raras, demostrando un impulso decidido hacia la innovación, la generación de conocimiento y el desarrollo de soluciones terapéuticas que respondan a las necesidades no cubiertas de los pacientes.

Este documento, publicado por AELMHU desde 2020, se ha convertido en **una herramienta fundamental para impulsar el debate y la toma de decisiones**, orientadas a garantizar que los pacientes con enfermedades raras tengan acceso a más y mejores tratamientos innovadores en el menor tiempo posible.

El informe sobre los datos de 2024 reveló que, durante el año pasado, se autorizaron en España **9.294 ensayos clínicos, de los cuales 207 correspondieron a enfermedades raras**, lo que supone un incremento del 10% respecto a los datos de 2023.

Además, se observó **un aumento del 15 % en el número de personas participantes de los ensayos clínicos para enfermedades raras** con respecto al año 2023. En total, en 2024, 3.659 personas participaron en este tipo de ensayos, de las cuales 602 estaban en edad pediátrica, lo que representa un 16 % del total.

La industria farmacéutica se consolidó como principal impulsora de los ensayos clínicos para enfermedades raras en España, **al representar el 95% de los estudios autorizados**.



4.2 ENCUENTROS AELMHU

En 2025 la Asociación siguió llevando a cabo **encuentros exclusivos para sus asociados**, concebidos como espacios de debate y reflexión con actores relevantes del sector sanitario y político.

Estos foros tuvieron como objetivo **fomentar el intercambio de conocimiento, promover el debate constructivo y compartir experiencias**, opiniones e ideas en torno a cuestiones estratégicas de interés para el sector.

8 ENCUENTROS

+250 ASISTENTES



FEBRERO

- ➔ **EUPATI España:** Roberto Saldaña, director de Innovación, y Mercedes Maderuelo, responsable de Relaciones Institucionales.

MARZO

- ➔ **Carlos Martín Saborido**, director de la Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias del Instituto de Salud Carlos III (ISCIII).

JUNIO

- ➔ **Javier Padilla**, secretario de Estado de Sanidad, celebrado en la sede del Ministerio de Sanidad.
- ➔ **Ana Rossignoli**, coordinadora del grupo de Evaluación de Tecnologías Sanitarias e IPTs de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS).

SEPTIEMBRE

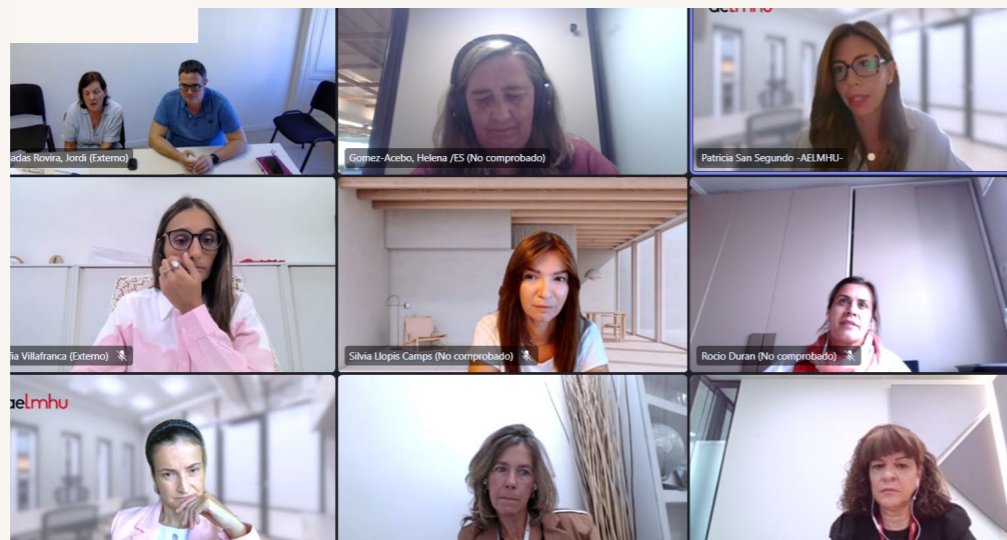
- ➔ **Miguel Gómez-Pavón López**, subdirector general de Estrategia y Ecosistemas Industriales del Ministerio de Industria y Turismo.
- ➔ **Cristina Calatayud i Bassols y Jordi Pujadas**, miembros de la Unitat de Coordinació i Estratègia del Medicament del Instituto Catalán de la Salud (ICS).
- ➔ **Carina Escobar**, presidenta de la Plataforma de Organizaciones de Pacientes (POP).

OCTUBRE

- ➔ **Lluís Alcover y Joan Carles Bailach**, abogados especialistas en derecho farmacéutico del despacho de abogados Faus Moliner.

NOVIEMBRE

- ➔ **César Hernández**, director general de Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia.





4.3 FORMACIONES a ASOCIADOS

En 2025, AELMHU ha puesto en marcha un nuevo **proyecto de formación dirigido a sus compañías asociadas**, con el objetivo de reforzar el conocimiento y la actualización en áreas estratégicas para el sector. Así, estas iniciativas responden al compromiso de la Asociación por ofrecer a sus socios herramientas que faciliten la toma de decisiones y la adaptación a un entorno regulatorio en constante evolución.

La primera jornada, celebrada el 27 de octubre en Madrid, abordó los retos y oportunidades de **la compra pública en el ámbito de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos**, un aspecto clave para garantizar el acceso a la innovación dentro del Sistema Nacional de Salud. La sesión permitió analizar cómo aplicar la normativa vigente y explorar nuevas fórmulas que impulsen modelos de compra más sostenibles y orientados al valor.

Expertos de referencia en Derecho administrativo, como **Carmen de Guerrero Manso y Gerardo García Álvarez**, ambos de la Universidad de Zaragoza, ofrecieron una visión completa sobre cuestiones como la evolución hacia la compra estratégica, la incorporación de cláusulas ambientales y las perspectivas europeas que marcarán el futuro en este ámbito.



4.4 EVENTOS PROPIOS

4.1.1 III Jornada Nacional de Terapias Avanzadas para enfermedades raras

El 25 de marzo, AELMHU celebró su III Jornada Nacional de Terapias Avanzadas para enfermedades raras, gracias al patrocinio de **Amgen**, **CSL Behring**, **PTC Therapeutics**, **Ultragenyx** y **Vertex Pharmaceuticals**. La jornada reunió a expertos del sector sanitario, como asociaciones de pacientes, clínicos, gestores, economistas de la salud y representantes de la Administración Pública, con el objetivo de fomentar un diálogo abierto y constructivo sobre los avances en este tipo de tratamientos en España.

Beatriz Perales, presidenta de AELMHU, fue la encargada de dar la bienvenida al evento, cuya inauguración institucional corrió a cargo de **María Jesús Lamas**, directora de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS).



A continuación, **Alejandro G. Solís**, representante del Área de Evaluación de Tecnologías Sanitarias e Informes de Posicionamiento Terapéutico de la AEMPS, impartió la ponencia ‘Evaluaciones clínicas conjuntas: Claves para la Innovación y el Acceso a Terapias Avanzadas’.

La jornada continuó con dos mesas de debate que contaron con la participación de ponentes de alto nivel que compartieron sus experiencias y perspectivas sobre el futuro de las terapias avanzadas.

En la primera, bajo el nombre de ‘**Diagnóstico de las Enfermedades Raras: Cribado Neonatal, Medicina de Precisión y Gestión de Datos**’, moderada por Rubén Moreno, ex secretario general de Sanidad y Consumo, participaron: **Domingo González-Lamuño**, expresidente de la Asociación Española para el Estudio de los Errores Innatos del Metabolismo (AECOM); **Daniel de Vicente**, vocal de la junta directiva de FEDER y de EURORDIS y presidente de la asociación de pacientes ASMD España; y **María Luz Couce**, jefa del Servicio de Neonatología y directora de la Unidad de Diagnóstico y Tratamiento de Enfermedades Metabólicas Congénitas del Hospital Clínico Universitario de Santiago de Compostela.

En la segunda mesa, titulada ‘**Avances y desafíos legislativos en el abordaje y financiación de las Terapias Avanzadas para Enfermedades Raras**’, moderada por **Jorge Mestre**, economista de la salud,





los ponentes fueron **Carlos Martín Saborido**, director de la Agencia de Evaluación de Tecnologías Sanitarias del ISCIII; **Nekane Murga**, coordinadora de Terapias Avanzadas de Osakidetza; **José Luis Poveda**, coordinador del Grupo de Trabajo Medicamentos de Terapia Avanzada de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH); **Gerardo García-Álvarez**, investigador principal del proyecto 'Innovación para una Salud de Vanguardia: Compra Pública, Tecnología, Sostenibilidad Ambiental y Factores Socioeconómicos'; y **Josep María Guiu**, director del Área de Farmacia de Medicamento del Consorci de Salut i Social de Catalunya (CSC).



A modo de clausura, **Marian Corral**, directora ejecutiva de AELMHU, destacó la importancia de actualizar el Plan de Abordaje para Terapias Avanzadas, incorporando en este proceso a las comunidades autónomas, clínicos, investigadores y la industria farmacéutica.

El evento fue posible gracias al apoyo de **Amgen, CSL Behring, PTC Therapeutics, Ultragenyx y Vertex Pharmaceuticals**, compañías asociadas de AELMHU.

→ [Leer +](#)











4.4.2 *Jornada de formación para periodistas sobre enfermedades raras*

39 IMPACTOS EN PRENSA

29 PERIODISTAS ASISTENTES

En el marco de la alianza firmada con la Asociación Nacional de Informadores de la Salud (ANIS), AELMHU impulsó la organización de una nueva **jornada formativa sobre enfermedades raras**, dirigida a periodistas especializados en salud, con el objetivo de mejorar sus conocimientos y especialización sobre estas patologías y los medicamentos huérfanos.

Moderada por **Susana Fernández**, vicepresidenta de ANIS, la jornada fue inaugurada por la vicepresidenta de AELMHU, **María José Sánchez**, quien realizó un estado de la situación de las enfermedades raras y sus tratamientos en España a través de la presentación de los principales datos del Informe de Acceso a los Medicamentos Huérfanos del primer cuatrimestre de 2025.





Tras su intervención, se dio paso a la mesa de debate ‘Retos de las enfermedades raras y su tratamiento desde el punto de vista regulatorio, económico, de la investigación y de los pacientes’, que contó con la participación de **Isabel Motero**, directora de Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER); **Eva Bermejo**, directora del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras del Instituto de Salud Carlos III (ISCIII); **Jorge Mestre**, economista de la salud; y **Lluís Alcover**, abogado especialista en derecho farmacéutico en Faus & Moliner.

→ [Leer +](#)



4.4.3 Premios AELMHU 2025

Los Premios AELMHU, que se convocan anualmente, se han consolidado como **un referente en el sector de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos**.

En 2025, durante **su séptima edición**, la Asociación reconoció un año más la labor de profesionales, organizaciones, asociaciones e instituciones que contribuyen a mejorar la atención sanitaria y la calidad de vida de las personas con enfermedades raras.

La participación estuvo abierta a **personas físicas y jurídicas dedicadas a la investigación, divulgación o sensibilización** sobre este tipo de enfermedades con residencia o actividad en España, y se distinguieron las categorías que se pueden observar a la derecha de esta página.

La reunión para el fallo de jurado tuvo lugar el 15 de septiembre de forma online y se hicieron públicos los ganadores el 18 de septiembre. Tras conocerse los premiados, desde la Asociación se comenzó a trabajar en la organización de **la ceremonia de entrega, que se celebró el 5 de noviembre en Madrid**.

▶ **PREMIO AL MEJOR PROYECTO ASISTENCIAL SOBRE ENFERMEDADES RARAS:**

«Programa integral de atención asistencial y rehabilitadora para personas con hemofilia y coagulopatías congénitas en Andalucía (PIAH)» de la Asociación Andaluza de Hemofilia

▶ **PREMIO A LA MEJOR TRAYECTORIA PROFESIONAL INVESTIGADORA EN EL CAMPO DE LAS ENFERMEDADES RARAS:**

Dr. Pascual Sanz Bigorra

▶ **PREMIO AL MEJOR PROYECTO DE DIFUSIÓN Y/O SENSIBILIZACIÓN SOBRE ENFERMEDADES RARAS:**

«Los Bufones de Velázquez» de la Asociación de Personas con Acondroplasia y Otras Displasias Esqueléticas.

▶ **PREMIO A LA MEJOR LABOR DE COMUNICACIÓN, DIVULGACIÓN Y/O CONCIENCIACIÓN SOBRE ENFERMEDADES RARAS:**

Dra. Patricia Smeyers Durá

▶ **PREMIO HONORÍFICO AELMHU 2025:**

Dra. M^a Luz Couce Pico – premio otorgado por los asociados de AELMHU.

La edición de 2025 contó, como en anteriores ediciones, con un **jurado externo e independiente**, formado por los siguientes profesionales de reconocido prestigio en la investigación de las enfermedades raras, en el ámbito de la salud y de la comunicación:

D. JESÚS AGUILAR

Presidente del Consejo General de Colegios Oficiales de Farmacéuticos.

D. DIEGO AYUSO

Secretario general del Consejo General de Enfermería (CGE).

DÑA. EVA BERMEJO

Directora del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras del Instituto de Salud Carlos III (ISCIII).

DÑA. SUSANA FERNÁNDEZ

Vicepresidenta de la Asociación Nacional de Informadores de la Salud (ANIS).

D. JORGE FRANCISCO GÓMEZ

Coordinador del Grupo de Enfermedades Minoritarias de la Sociedad Española de Medicina Interna (SEMI).

D. DOMINGO GONZÁLEZ-LAMUÑO

Expresidente de la Asociación Española para el Estudio de los Errores Congénitos del Metabolismo (AECOM).

D. VICENTE MARTÍN

Miembro de la Junta Directiva de la Sociedad Española de Médicos de Atención Primaria (SEMERGEN).

D. JORGE MESTRE

Economista de la salud.

D. JOSÉ MARÍA MILLÁN

Director científico del Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras (CIBERER).

D. FRANCESC PALAU

Pediatra y genetista médico. Investigador Distinguido, Hospital Sant Joan de Déu e Institut de Recerca SJD. Jefe de Grupo CIBERER.

DÑA. BELÉN PÉREZ

Catedrática de Bioquímica y Biología Molecular del Departamento de Biología Molecular de la Universidad Autónoma de Madrid (UAM).

DÑA. RAQUEL SÁNCHEZ

Abogada especialista en Derecho Sanitario.

DÑA. NÉBOA ZOZAYA

Vicepresidenta primera de la Asociación de Economía de la Salud (AES).

DÑA. MARIAN CORRAL

Directora de AELMHU (con voz, pero sin voto).



CEREMONIA DE ENTREGA

El periodista **José Ribagorda** fue el encargado de conducir la ceremonia de entrega de premios, celebrada en el Espacio Bertelsmann de Madrid.



Beatriz Perales, presidenta de AELMHU, dio la bienvenida al evento agradeciendo a los premiados y al resto de candidaturas sus “años de trabajo, esfuerzo y compromiso con la ciencia y con los pacientes con enfermedades raras”.

Beatriz Perales, presidenta de AELMHU, dio la bienvenida al evento agradeciendo a los premiados y al resto de candidaturas sus “años de trabajo, esfuerzo y compromiso con la ciencia y con los pacientes con enfermedades raras”.

Además, hizo **un llamamiento al diálogo entre todos los agentes del sector** para que estas patologías sean un “área prioritaria” en las políticas sanitarias, tal y como se recoge en la Estrategia de la Industria Farmacéutica, con el objetivo de situar a España como “un referente europeo en los tratamientos para enfermedades raras, algo que no solo beneficiará a los pacientes, sino que impulsará el progreso científico, la generación de empleo de calidad y el crecimiento sostenible de todo el país”.



Posteriormente, **Raquel Yotti**, comisionada del PERTE para la Salud de Vanguardia del Ministerio de Ciencia, Innovación y Universidades, realizó la inauguración institucional del evento, recordando la importancia de abordar las necesidades no cubiertas de las personas con enfermedades raras, ya que “los retrasos en el diagnóstico tienen implicaciones muy profundas en cada uno de estos pacientes”. También agradeció a AELMHU su implicación con el PERTE y con cada una de sus prioridades estratégicas.

El proceso de valoración y selección de los premiados fue presentado por **Susana Fernández**, vicepresidenta de ANIS, en representación del jurado, quien puso en valor la gran calidad de las 70 candidaturas presentadas en esta edición de los Premios AELMHU, y animó cualquier organización, asociación o persona involucrada en el sector de las enfermedades raras que envíe su propuesta para participar en próximas ediciones.



Los galardonados de la edición de 2025 fueron:

PREMIO AL MEJOR
 PROYECTO
 ASISTENCIAL SOBRE
 ENFERMEDADES
 RARAS

Recayó en la **Asociación Andaluza de Hemofilia (ASANHEMO)** por su “Programa integral de atención asistencial y rehabilitadora para personas con hemofilia y coagulopatías congénitas en Andalucía (PIAH)”, que ofrece fisioterapia especializada, atención psicosocial, educación terapéutica y apoyo a la autonomía de los pacientes, con especial foco en la infancia, juventud y personas en entornos rurales.

El galardón fue recogido por **Moisés González**, vicepresidente de ASANHEMO, y **Matilde Mora**, trabajadora social de la asociación, y fue entregado por **Eva Bermejo**, directora del Instituto de Investigación de Enfermedades Raras del ISCIII. Los premiados destacaron que este reconocimiento era “una validación a una forma de entender la atención sanitaria que no espera a que el paciente vaya al hospital, sino que sale a su encuentro”. “Este premio nos va a impulsar a llegar a quienes aún nos necesitan. Y es una demostración de que la atención sanitaria con alma funciona”, señaló Matilde Mora.



PREMIO A LA
MEJOR
TRAYECTORIA
PROFESIONAL
INVESTIGADORA EN
EL CAMPO DE LAS
ENFERMEDADES
RARAS

Fue para el Dr. **Pascual Sanz Bigorra**, profesor de Investigación del Consejo Superior de Investigaciones Científicas (CSIC) en la Unidad de Señalización por Nutrientes del Instituto de Biomedicina de Valencia (IBV), por su importante contribución en este ámbito, sobre todo en el estudio de patologías minoritarias como la enfermedad de Lafora, una forma ultrarrara de epilepsia mioclónica progresiva.

Tras recibir el galardón de la mano de **Jorge Mestre**, economista de la salud, y **Néboa Zozaya**, vicepresidenta primera de la AES, el Dr. Sanz Bigorra reivindicó la importancia de seguir poniendo el foco en la investigación de patologías raras y ultrarraras como la enfermedad de Lafora, una forma ultrarrara de epilepsia mioclónica progresiva en la que está especializado su grupo de investigación.



PREMIO AL MEJOR
PROYECTO DE
DIFUSIÓN Y/O
SENSIBILIZACIÓN
SOBRE
ENFERMEDADES
RARAS

El ganador fue “**Los Bufones de Velázquez**”, de la Asociación de Personas con Acondroplasia y otras Displasias Esqueléticas en España (ADEE). Se trata de una campaña audiovisual que busca combatir los estigmas y prejuicios que aún persisten en la sociedad hacia las personas con acondroplasia, a través de la reinterpretación de los retratos de bufones pintados por Diego Velázquez en el siglo XVII.

De la mano de **José María Millán**, director científico del CIBERER, y **Belén Pérez**, Catedrática de Bioquímica y Biología Molecular del Departamento de Biología Molecular de la UAM, recogieron el galardón **Carolina Puente**, presidenta de ADEE, y su tesorera, **Sonia Sestelo**. “Nuestra campaña quería mostrar cómo, aunque hayan pasado muchos siglos, las personas con acondroplasia y otras displasias esqueléticas todavía seguimos cargando con ciertos prejuicios y una losa social que no es nada justa”, explicó la presidenta de ADEE tras recoger el galardón.



PREMIO A LA
MEJOR LABOR DE
COMUNICACIÓN,
DIVULGACIÓN Y/O
CONCIENCIACIÓN
SOBRE
ENFERMEDADES
RARAS

Fue otorgado a la **Dra. Patricia Smeyers Durá**, especialista en Neurología y Neurofisiología Clínica del Hospital Universitario y Politécnico La Fe de Valencia, por su proyecto de cuentos infantiles sobre la epilepsia, en los que con un lenguaje cercano y divulgativo ayuda a desestigmatizar la visión sobre esta enfermedad entre la sociedad.

La doctora recogió el premio de manos de **Vicente Martín**, miembro de la Junta Directiva de SEMERGEN, y **Susana Fernández**, vicepresidenta de ANIS, y dedicó su discurso de agradecimiento a poner en valor la importancia de incorporar la mirada de los niños en las enfermedades raras: “Solo desde la inocencia infantil podemos crear y crecer”.



PREMIO
 HONORÍFICO
 AELMHU 2025

Elegido por todos los Asociados de AELMHU, se otorgó a la **Dra. María Luz Couce Pico**, directora científica del Instituto de Investigación Sanitaria de Santiago de Compostela (IDIS), por su liderazgo y dilatada carrera profesional en el abordaje, el diagnóstico, la investigación y la formación sobre las enfermedades raras, especialmente en las áreas del cribado neonatal y el diagnóstico genético.

La Dra. Couce recibió el galardón por parte de los **miembros de la Junta Directiva de la asociación** y del presidente de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), Juan Carrión. A continuación, realizó un inspirador discurso en el que dedicó unas palabras a los jóvenes médicos e investigadores: “Creed en la ciencia, soñad con transformar la historia natural de las enfermedades raras y no olvidéis nunca que vocación y cooperación son el verdadero motor del progreso”.

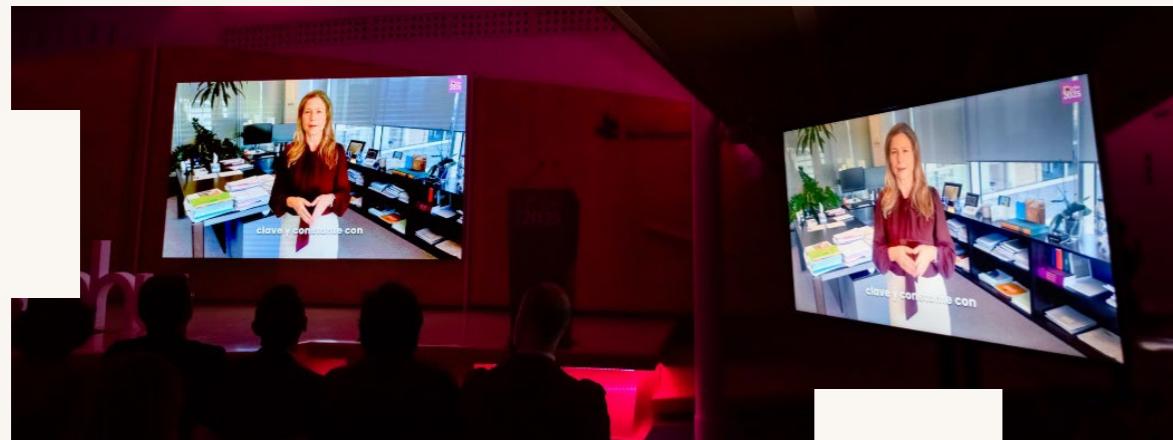


La gala fue clausurada por **Contrabandeando**, un grupo musical que mezcla registros típicos del folclore latinoamericano con sonidos actuales, y que cuenta con varios miembros con familiares afectados por enfermedades raras. En su actuación interpretaron ‘Amor’, una canción dedicada a las familias que, como ellos, conviven con estas patologías, y ‘Que nada borre tu risa’.

→ [Leer +](#)











4.5 *GRUPOS de TRABAJO*

Los grupos de trabajo constituyen uno de los **pilares estratégicos de actuación de AELMHU** y el principal motor sobre el que se articula una parte esencial de la actividad de la Asociación.

Su labor resulta clave para **consolidar el posicionamiento de AELMHU** como agente de referencia en el ámbito de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos y de las enfermedades raras, mediante la generación de conocimiento, la promoción del diálogo multisectorial y el desarrollo de iniciativas y propuestas de valor orientadas a afrontar los principales desafíos del ecosistema. Asimismo, contribuyen activamente al seguimiento y análisis de las iniciativas institucionales y regulatorias con impacto en el sector.

A través de un enfoque transversal y colaborativo, los grupos de trabajo **abordan las áreas prioritarias para la Asociación**, fomentando la participación activa de las compañías asociadas y fortaleciendo la interlocución con los principales agentes institucionales vinculados al ámbito de las enfermedades raras.

Durante 2025, la Asociación mantuvo su estructura de trabajo articulada en **cuatro grupos estratégicos**:

70 MIEMBROS

+30 REUNIONES

01

ACCESO, PRECIO Y FINANCIACIÓN

02

TERAPIAS AVANZADAS PARA ENFERMEDADES RARAS

03

ASUNTOS POLÍTICOS Y AGENDA LEGISLATIVA

04

COCREACIÓN CON ASOCIACIONES DE PACIENTES.

Integrados por representantes de las compañías asociadas y **coordinados expertos técnicos con el apoyo de dos portavoces**, los grupos se reúnen mensualmente para **compartir información, analizar el contexto y debatir asuntos de interés común**. Su actividad se centra en la identificación de áreas estratégicas de actuación, la promoción de proyectos relevantes, la elaboración de documentos de posicionamiento y el diseño e implementación de iniciativas alineadas con los objetivos marcados por el Plan Estratégico aprobado por la Asamblea General.

Además, se organizaron **grupos específicos** y puntuales, así como **grupos mixtos de trabajo**, que permiten ampliar la participación de la Asociación y abordar de manera focalizada temas concretos o proyectos estratégicos, integrando a diferentes actores según la naturaleza de cada iniciativa.

El modelo de grupos de trabajo de AELMHU constituye un **elemento diferencial**, al abordar de manera **360º** todas las dimensiones críticas relacionadas con las enfermedades raras: aspectos regulatorios, clínicos, de investigación, acceso, financiación, políticas públicas y relación con los pacientes.

A lo largo de 2025, se reafirmó el elevado compromiso de las compañías asociadas con estos grupos, superándose los **70 miembros activos** y celebrándose más de **30 reuniones**, lo que evidencia su papel central en la estrategia y operación diaria de la Asociación.



Desde los grupos se promovieron **nueve documentos estratégicos**, abordando temas clave como: estrategias autonómicas de enfermedades raras, implantación del cribado neonatal a nivel nacional, transición de pacientes de edad pediátrica a adulta, Plan Profarma o impacto de las políticas comerciales de Estados Unidos en el sector farmacéutico.

Estos documentos sirvieron como base para la **interlocución con decisores clave**, permitiendo trasladar de manera fundamentada el posicionamiento de la Asociación sobre asuntos específicos, analizar situaciones puntuales y proponer alternativas frente a los retos actuales.



Además, varios grupos trabajaron de manera transversal para elaborar y consensuar documentos con **recomendaciones estratégicas**, que facilitarían la participación activa de AELMHU en **consultas y audiencias públicas a nivel autonómico, nacional y europeo**, como los posicionamientos sobre el Anteproyecto de Ley de Medicamentos y Productos Sanitarios o sobre el Plan de Abordaje de Terapias Avanzadas.

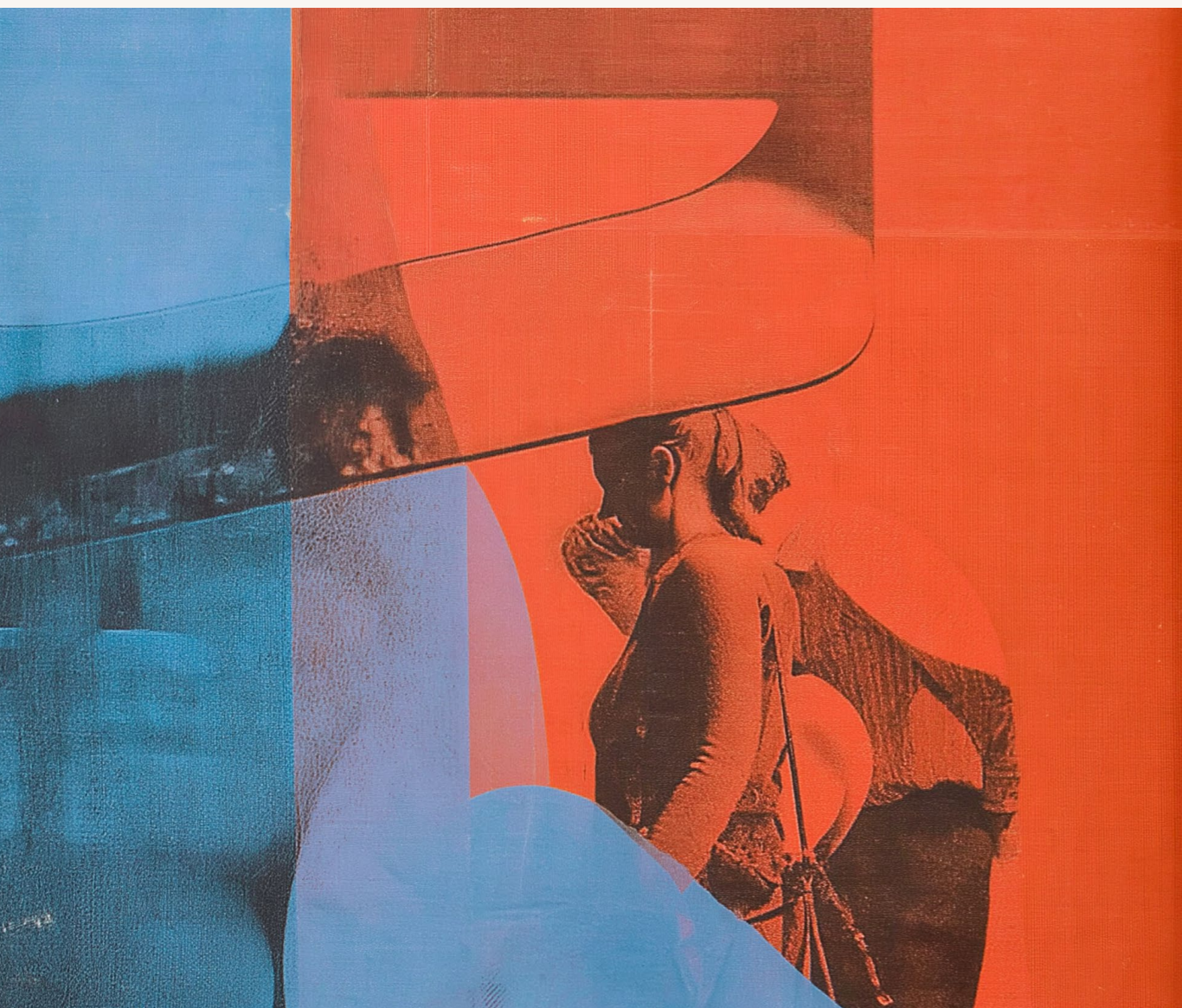
Los grupos de trabajo desempeñaron también un papel clave en la relación con la **Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER)** y con otras asociaciones de pacientes, colaborando en iniciativas conjuntas como entrevistas vinculadas a efemérides o reuniones cuatrimestrales impulsados por el grupo de trabajo de Cocreación, tal y como se detalla en el apartado 5.5 de esta memoria.

La actividad desarrollada en el marco de los grupos de trabajo durante 2025 ha permitido **reforzar la capacidad de AELMHU para anticipar desafíos, generar consenso y contribuir activamente al impulso de iniciativas clave para el ecosistema de las enfermedades raras**. Asimismo, estos espacios continuaron desempeñando un papel esencial en la canalización de conocimiento experto, la identificación de prioridades compartidas y la promoción de propuestas alineadas con la evolución y las necesidades del sector.

05

**AELMHU,
INTERLOCUTOR
CLAVE EN
ENFERMEDADES
RARAS**





A lo largo de 2025, AELMHU consolidó su posición como **la patronal de referencia de la industria farmacéutica especializada en medicamentos huérfanos y otros tratamientos para enfermedades raras**, fortaleciendo su relación con los principales actores clave del sector, tanto públicos como privados.

En línea con el Plan Estratégico, **la Asociación intensificó su agenda política e institucional, tanto a nivel nacional como autonómico**, orientada a identificar y fomentar nuevas oportunidades de colaboración. Este enfoque estratégico se tradujo en una participación activa en procesos regulatorios, consultas públicas y foros estratégicos, fortaleciendo su papel como interlocutor experto y de confianza ante administraciones, asociaciones de pacientes y entidades del sector.

Además, **AELMHU reforzó su presencia en iniciativas europeas y nacionales estratégicas para el sector**, contribuyendo con propuestas que ponen en valor la investigación, la innovación y el acceso a los tratamientos para enfermedades raras. Gracias a este enfoque, la Asociación se ha afianzado como un referente técnico y estratégico, capaz de generar diálogo constructivo y ofrecer soluciones eficaces en un entorno complejo y en constante evolución.

5.1 *PARTICIPACIÓN en CONSULTAS y AUDIENCIAS PÚBLICAS*

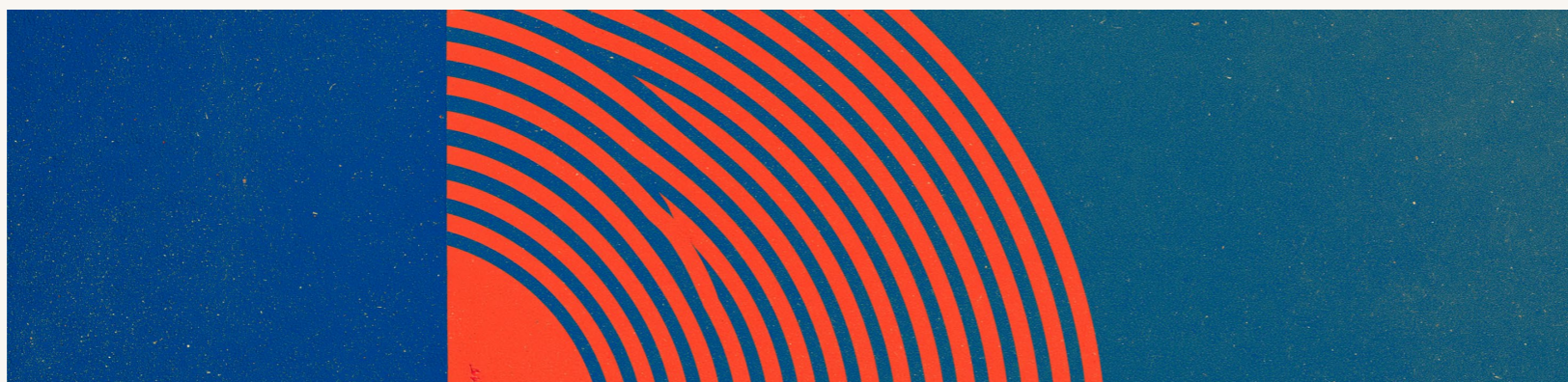
En este sentido, la Asociación, bajo el liderazgo del equipo técnico y en colaboración con los grupos de trabajo y los representantes de las compañías asociadas, **analizó 19 consultas y audiencias públicas** a nivel autonómico, nacional y europeo.

De ellas, **AELMHU participó en 12** y en las siete restantes se decidió no realizar aportaciones debido a que no era de aplicación directa para los objetivos de la Asociación o porque ya recogían nuestro posicionamiento.

A continuación, se recoge cada una de estas aportaciones con su referencia correspondiente y un acceso directo al contenido enlazado.

19 CONSULTAS Y AUDIENCIAS ANALIZADAS

12 APORTACIONES PRESENTADAS A CONSULTAS Y AUDIENCIAS





Proyecto de Real Decreto

por el que se regulan los procedimientos de financiación y precio de los medicamentos

→ [Leer +](#)



Proyecto de Real Decreto

por el que se regula la atención temprana en la Comunidad de Madrid

→ [Leer +](#)



Proyecto de Orden Ministerial

por la que se actualiza la Cartera Común de Servicios de Salud Pública relativa a información y vigilancia epidemiológica, programas poblacionales de cribado neonatal y cáncer colorrectal, y otros apartados de los anexos del Real Decreto 1030/2006

→ [Leer +](#)



Anteproyecto de Ley

de medicamentos y productos sanitarios

→ [Leer +](#)



Consulta Pública

sobre enfermedades raras de la Comisión de Salud Pública del Parlamento Europeo



Anteproyecto de Ley

de salud pública de la Comunidad de Madrid

→ [Leer +](#)



Real Decreto

por el que se crea el Comité Interministerial de seguimiento de la Estrategia de la Industria Farmacéutica

→ [Leer +](#)



Anteproyecto de Ley

de salud digital

→ [Leer +](#)



Proyecto de Orden
que actualiza la Cartera de cribado neonatal y el Comité Asesor en Genética

→ [Leer +](#)



Anteproyecto de ley
de organizaciones de pacientes

→ [Leer +](#)



Proyecto de Orden
por la que se actualizan los anexos I, II y III del Real Decreto 1207/2006, de 20 de octubre, por el que se regula la gestión del Fondo de Cohesión Sanitaria

→ [Leer +](#)



Anteproyecto de ley
de salud pública del Principado de Asturias

→ [Leer +](#)

5.2 REUNIONES INSTITUCIONALES

A lo largo de 2025, **AELMHU reforzó de manera sostenida sus relaciones institucionales** mediante una serie de reuniones con altos representantes del ámbito ejecutivo, tanto a nivel nacional como autonómico. Estas interacciones estratégicas fueron fundamentales para visibilizar la labor de la Asociación, trasladar sus prioridades y fortalecer su posicionamiento como interlocutor técnico y de referencia en el sector de los medicamentos huérfanos y las enfermedades raras.

Estas reuniones constituyeron **espacios estratégicos para comunicar de manera estructurada y fundamentada los mensajes de AELMHU**, avalando su voz como actor técnico y estratégico en el ecosistema sanitario. Los proyectos clave, incluidos los Informes de Acceso a los Medicamentos Huérfanos, el Informe de Ensayos Clínicos para Enfermedades Raras, los documentos de posicionamiento y las aportaciones a consultas públicas, sirvieron como herramientas decisivas para evidenciar el conocimiento técnico de la Asociación y fortalecer su capacidad de interlocución ante las instituciones.

Algunas de las reuniones fueron:

CÉSAR HERNÁNDEZ

Director general de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia

LAURA QUINTANILLA

Jefa de División de la Unidad de Terapias Avanzadas, Consejería de Sanidad de la Comunidad de Madrid

MARÍA FERNÁNDEZ

Subdirectora general de Calidad Asistencial, Dirección General de Salud Pública

CRISTINA CALATAYUD Y JORDI PUJADAS

Miembros de la Unitat de Coordinació i Estratègia del Medicament, Instituto Catalán de la Salud (ICS)

LOURDES GIL

Jefa de Área de Tecnologías Farmacéuticas, Ministerio de Industria y Turismo



Durante estas reuniones **se debatieron propuestas de mejora en los ámbitos político, regulatorio e institucional**, profundizando en un diálogo constructivo que facilitó la cooperación y la identificación de soluciones eficaces. Esta interacción fortaleció los vínculos con los distintos agentes del sistema sanitario y potenció la capacidad de AELMHU para influir en la definición de políticas, estrategias regulatorias y programas que promuevan la innovación y el acceso a tratamientos para pacientes con enfermedades raras.

Gracias a este enfoque, **la Asociación refuerza su capacidad para generar consensos y aportar soluciones concretas** que contribuyen directamente a la mejora de la calidad de vida de los pacientes. Su participación en estos espacios subraya su relevancia en un entorno sanitario complejo y en constante evolución, reflejando su compromiso con la excelencia, la innovación y el avance del sector.



5.3 ORGANISMOS DE REPRESENTACIÓN SECTORIAL

5.3.1 Estrategia de la Industria Farmacéutica

En el año 2024 se publicó la **Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024–2028**, una iniciativa del Gobierno de España orientada a reforzar el papel del sector farmacéutico como motor clave de salud pública, innovación y desarrollo económico.

AELMHU forma parte activa de la Estrategia, junto con otras asociaciones y patronales del sector, contribuyendo con su conocimiento en las particularidades de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos. Así, la participación de la Asociación supone **un reconocimiento institucional** a la labor que viene desempeñando desde su constitución en la mejora del acceso a tratamientos para pacientes con enfermedades raras.

Durante 2025, AELMHU ha participado en **cinco reuniones del Comité Mixto de la Estrategia** (3 del Comité y 2 del grupo de trabajo), colaborando en el desarrollo e implementación de las medidas recogidas en el texto, desde el diálogo técnico y el trabajo conjunto con las administraciones públicas, el sector privado y la sociedad.

La Estrategia se articula en torno a tres ejes fundamentales: el acceso y sostenibilidad; el fomento de la investigación y la innovación y la competitividad y la sostenibilidad industrial. Además, identifica como áreas terapéuticas estratégicas las enfermedades raras, la cronicidad, el reposicionamiento terapéutico, las resistencias a los antibióticos y enfermedades infecciosas emergentes, la medicina personalizada de precisión y las terapias avanzadas.



5.3.2 *PERTE para la Salud de Vanguardia*

Este año, AELMHU también se ha incorporado como miembro activo de la Alianza del **PERTE para la Salud de Vanguardia**, junto con representantes de las administraciones públicas, sociedades científicas, asociaciones empresariales y de pacientes,

Este PERTE es una iniciativa estratégica del Gobierno de España que **busca transformar el sistema sanitario mediante la ciencia, la innovación y la digitalización**. Su objetivo es mejorar la prevención, el diagnóstico, el tratamiento y la rehabilitación de los pacientes de manera personalizada, incorporando tecnologías como la medicina de precisión, las terapias avanzadas y la inteligencia artificial.

Incluye 54 actuaciones diferentes que se ejecutan desde cinco departamentos ministeriales, e incluye la financiación mediante programas específicos de proyectos de investigación clínica orientados al desarrollo de medicamentos en el ámbito académico, o **apoyo a proyectos de innovación industrial y sostenibilidad en el sector farmacéutico** y de productos sanitarios.

Desde nuestra incorporación en abril, la Asociación ha participado **en una sesión de trabajo y en una reunión de la Alianza**, en la que se presentaron las actuaciones ya realizadas y en ejecución, los hitos alcanzados, los objetivos estratégicos en curso y la coordinación interministerial. En la sesión de trabajo, bajo el título “El futuro de la I+D+I en salud como palanca de transformación sanitaria, económica e industrial en España”, se definió el estado de situación del ecosistema de I+D+I y digitalización en España, así como se recogieron propuestas de futuras prioridades de inversión.



5.3.3 ERDERA

AELMHU se incorporó en enero al grupo de trabajo nacional de la **Alianza Europea para la Investigación de las Enfermedades Raras (ERDERA)**, que tiene como objetivo avanzar en la investigación sobre prevención, diagnóstico y tratamiento de los millones de pacientes con enfermedades raras en Europa.

ERDERA integra a **más de 170 organizaciones** de 37 países de los sectores público y privado, entre las que se encuentran los principales institutos de investigación, asociaciones de pacientes, infraestructuras de investigación europeas, empresas farmacéuticas y tecnológicas, agencias de financiación públicas, fundaciones sin ánimo de lucro, instituciones reguladoras, autoridades sanitarias, hospitales, universidades y sociedades médicas.

Con un presupuesto total estimado de **380 millones de euros hasta 2031**, ERDERA pretende tener un impacto significativo en las enfermedades raras mediante el apoyo a la investigación para desarrollar nuevos tratamientos y vías diagnósticas, y aprovechando el potencial de los datos sanitarios y de investigación, la inteligencia artificial (IA) y las tecnologías digitales.

AELMHU participa en ERDERA a través del Grupo de Trabajo español, que se ha reunido cuatro veces a lo largo de 2025, en los que se ha avanzado en los objetivos, prioridades y actividades a realizar en el marco de este proyecto europeo.



5.3.4 *Plataforma intersectorial sobre aguas residuales urbanas*

Durante 2025, AELMHU participó activamente en la **plataforma intersectorial creada en respuesta a la Directiva Europea sobre el tratamiento de las aguas residuales urbanas**. Esta plataforma, creada e integrada por otras patronales del sector, tiene como objetivo fomentar la coordinación entre los distintos actores implicados y facilitar un enfoque común frente a los retos técnicos, ambientales y regulatorios que plantea la normativa.

El espacio de trabajo permite **un diálogo estructurado entre asociaciones empresariales, administraciones públicas y organismos competentes**, favoreciendo el intercambio de información y el análisis conjunto de las implicaciones de la directiva.

En este marco, **AELMHU ha aportado su visión específica sobre los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos**, subrayando la importancia de considerar sus particularidades en la gestión de aguas residuales.

La Asociación ha señalado los posibles costes directos e indirectos que la implementación y desarrollo de la directiva podría implicar en el ámbito nacional, tanto para la industria farmacéutica como para el sistema sanitario, incluyendo aspectos relacionados con la gestión de residuos, adaptación de procesos industriales y aseguramiento de la trazabilidad de los fármacos.

Gracias a esta participación, **AELMHU ha contribuido a garantizar que las políticas europeas y nacionales reflejen la realidad y los desafíos del sector**, promoviendo un enfoque equilibrado que permita la protección ambiental sin comprometer la innovación, la accesibilidad a tratamientos y la sostenibilidad del sistema sanitario.



5.4 ALIANZAS

Establecer alianzas y convenios de colaboración es fundamental para **fortalecer la capacidad de acción en el ámbito de las enfermedades raras**. La colaboración con otras instituciones y organizaciones, como fundaciones, universidades y entidades del ámbito sanitario y social, abre nuevas oportunidades para avanzar en la investigación, el desarrollo de tratamientos innovadores y la mejora de la calidad de vida de los pacientes.

Por ello, la Asociación continuó desarrollando actividades a través de los convenios de colaboración firmados en años anteriores, como es el caso del **Consejo General de Colegios Farmacéuticos (CGCOF)**.

Durante 2025, se lanzaron seis videoconsejos sobre "Medicamentos Huérfanos y Farmacia" en el canal de YouTube del CGCOF, y que posteriormente fueron difundidos en las redes sociales de ambas entidades, con el fin de ofrecer contenidos educativos y de sensibilización sobre estas patologías y los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos.

Además, **AELMHU firmó dos nuevos convenios de colaboración durante 2025**.

¿CÓMO ES EL ACCESO A LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS?

#TuFarmacéuticoInforma
#MedicamentosHuérfanosyFarmacia



¿SABES QUÉ SON LAS ENFERMEDADES RARAS? ¿Y LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS?

#TuFarmacéuticoInforma
#MedicamentosHuérfanosyFarmacia



¿CONOCES CÓMO ES LA INVESTIGACIÓN, EL DIAGNÓSTICO Y EL TRATAMIENTO DE LAS ENFERMEDADES RARAS?

#TuFarmacéuticoInforma
#MedicamentosHuérfanosyFarmacia



PRINCIPALES BULOS SOBRE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

#TuFarmacéuticoInforma
#MedicamentosHuérfanosyFarmacia



¿SABÍAS CUÁL ES EL PROCESO DE DESARROLLO Y APROBACIÓN DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN EUROPA?

#TuFarmacéuticoInforma
#MedicamentosHuérfanosyFarmacia



EL VALOR SOCIAL DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

#TuFarmacéuticoInforma
#MedicamentosHuérfanosyFarmacia



→ [Leer +](#)

5.4.1 *Alianza con la Universidad Europea de Madrid (UEM)*

AELMHU firmó un convenio de colaboración con la **Universidad Europea de Madrid (UEM)** para realizar actividades conjuntas de formación, docencia, asesoramiento e investigación.

El convenio recoge la posibilidad de **la organización conjunta por parte de ambas entidades de actividades formativas, tales como cursos, congresos, seminarios, etc.**, así como la realización de estudios y proyectos de investigación, asesoramiento mutuo e intercambio de información y documentación.

La primera de las colaboraciones entre ambas organizaciones en el marco de este acuerdo se produjo con el **Máster Universitario Oficial en Descubrimiento de Fármacos de la UEM**, en el que AELMHU ha colaborado en la elaboración del temario, la identificación de profesores y en realización de los trabajos de fin de máster (TFM).



En concreto, este máster, que tiene el objetivo de formar a profesionales de la industria farmacéutica, biotecnológica y biomédica, ofrecerá a los estudiantes **la realización de un TFM sobre una enfermedad rara o ultrarrara**, en el que tendrán que realizar una propuesta de desarrollo de un fármaco teniendo en cuenta todas sus fases, desde la investigación molecular hasta su comercialización.

La Asociación participó en octubre en la inauguración del Máster, que contó con la participación de nuestra presidenta, Beatriz Perales, así como del presidente de FEDER, Juan Carrión. En su intervención durante el acto, celebrado en el Campus de la UEM en Villaviciosa de Odón (Madrid), Beatriz Perales detalló la labor que realiza AELMHU para contribuir con sus acciones a mejorar la salud y la calidad de vida de las personas afectadas por estas patologías. Acciones que se centran en cuatro ejes: la colaboración, la formación, la información y la visibilidad de las patologías y su investigación.



→ [Leer +](#)

5.4.2 *Alianza con la Asociación Nacional de Informadores de la Salud (ANIS)*

La Asociación también rubricó un convenio marco con **la Asociación Nacional de Informadores de la Salud (ANIS)** para colaborar en actividades conjuntas que den visibilidad y fomenten el conocimiento de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos.

Bajo este convenio, AELMHU y ANIS impulsarán **proyectos en áreas de interés común de ambas organizaciones**, como la salud, los tratamientos y la calidad de vida de las personas afectadas por enfermedades raras. Así, se contempla, por ejemplo, la participación en los congresos de ambas asociaciones o la organización conjunta de talleres de formación.

Además, ambas organizaciones, se comprometen a continuar realizando **la Jornada Nacional sobre enfermedades raras**, dirigida a periodistas especializados en salud, que cuenta ya con varias ediciones. Este tipo de acciones, cuyo objetivo es conseguir una opinión pública más informada, sensible y comprometida con esta realidad, permiten además establecer puentes entre los profesionales de la información, la industria farmacéutica que desarrolla medicamentos huérfanos y el colectivo de personas con enfermedades raras.



→ [Leer +](#)

5.5 RELACIÓN con FEDER y las ASOCIACIONES de PACIENTES

Como parte esencial de su **compromiso con la mejora de la calidad de vida de las personas con enfermedades raras**, AELMHU ha mantenido durante 2025 una estrecha colaboración con la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) y con diversas asociaciones de pacientes.

Esta relación se ha materializado en iniciativas conjuntas que refuerzan la visibilidad de estas patologías, impulsan la formación y promueven espacios de diálogo para avanzar en soluciones compartidas. Desde la participación en eventos hasta la involucración de los grupos de trabajo de la Asociación y acciones formativas, el objetivo común ha sido consolidar una relación que permita dar respuesta a las necesidades de estas organizaciones.



5.5.1 *AELMHU junto a FEDER*

Como ya es habitual, la Junta Directiva y el equipo técnico de la Asociación asistieron a la presentación de la campaña del **Día Mundial de las Enfermedades Raras**, impulsada por la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), que este año tuvo lugar en Oviedo.

El 3 marzo, se realizó un encuentro previo al evento oficial, en el que FEDER cedió el protagonismo a 17 asociaciones de pacientes de enfermedades raras de Oviedo. Uno de los momentos más destacados fue la lectura del **manifiesto por el [Día Mundial de las Enfermedades Raras](#)**, en el que se expusieron las principales reivindicaciones del colectivo.

Juan Carrión, presidente de FEDER, hizo entrega de un **reconocimiento a cada entidad del movimiento asociativo de enfermedades raras en Asturias**, como símbolo del esfuerzo y la dedicación de todos los involucrados en la lucha por los derechos de los pacientes.

Al día siguiente, se celebró el acto oficial, un evento que reunió a todos los agentes implicados y comprometidos con la visibilización y el abordaje de las enfermedades raras.

El acto contó con intervenciones institucionales de gran relevancia, como la de **Mónica García**, ministra de Sanidad o la de **Adrián Barbón**, presidente del Gobierno del Principado de Asturias.





El acto fue clausurado por la **reina Letizia**, quien subrayó la importancia de acelerar los tiempos de acceso y financiación de los tratamientos para las enfermedades raras. La reina expresó su solidaridad con los pacientes y sus familias, enfatizando que sus voces deben ser escuchadas y sus demandas deben traducirse en acciones.



Desde AELMHU, nos sentimos **profundamente orgullosos de haber formado parte de este acto tan significativo**. La jornada no solo sirvió para visibilizar la realidad estas patologías, sino que también reforzó el espíritu de colaboración entre instituciones, asociaciones, la industria farmacéutica y la sociedad civil. Este evento anual es un claro ejemplo de que, cuando trabajamos juntos, podemos avanzar en la búsqueda de soluciones para mejorar la vida de las personas que padecen enfermedades raras.



AELMHU también estuvo acompañando a FEDER en otros de sus eventos más importantes del año, como el **acto institucional en la Asamblea de Madrid con motivo del Día Mundial de las Enfermedades Raras**, celebrado el 18 de marzo; la **Jornada ‘Sin dejar a nadie atrás’**, organizada en Valencia el 18 de noviembre; o el **Foro Autonómico de Enfermedades Raras y sin Diagnóstico de Andalucía**, que acogió el Hospital Universitario Virgen del Rocío el 16 de diciembre.

5.5.2 Reuniones estratégicas

Igualmente, AELMHU ha reforzado su colaboración con FEDER a través del **grupo de trabajo de Cocreación con Asociaciones de Pacientes**, consolidando un espacio estable de diálogo y cooperación. En este marco, se celebraron tres reuniones presenciales en la sede de FEDER en Madrid (febrero, junio y noviembre), concebidas para compartir reflexiones e identificar acciones colaborativas.

Durante estas reuniones, también se ha podido **debatir y conocer los problemas a los que se enfrentan los pacientes**, la identificación de sus necesidades prioritarias o la búsqueda de sinergias para impulsar proyectos de sensibilización y generación de conocimiento.

Además, se compartieron las oportunidades para **reforzar la participación de las asociaciones en la toma de decisiones**, con el objetivo común de avanzar hacia soluciones que respondan a las demandas reales de las personas que conviven con enfermedades raras.



5.5.3 Formaciones al movimiento asociativo

Por otra parte, durante 2025 se llevaron a cabo **siete acciones formativas junto a FEDER**, con el objetivo de aportar conocimientos y herramientas prácticas para fortalecer las capacidades del movimiento asociativo, que estuvieron divididas en tres temáticas:

SESIONES DE FORMACIÓN SOBRE ACCESO A LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS:

Se ofrecieron **tres sesiones dirigidas a ayudar a las organizaciones** a comprender el proceso de aprobación y acceso de los medicamentos para enfermedades raras. Durante estas sesiones, se presentó un panorama general del recorrido de estos fármacos, que abarca desde su desarrollo clínico, la designación como medicamentos huérfanos, la autorización de comercialización, tanto a nivel europeo como nacional, hasta la decisión sobre su precio y reembolso, concluyendo con su lanzamiento al mercado. Estas formaciones se realizaron en el marco de la **XIV Escuela de Formación de FEDER**, celebrada el 24 de octubre en Burgos, y fueron impartidas por **Jorge Mestre**, economista de la salud.



SESIONES DE FORMACIÓN SOBRE ESTRATEGIA:

Igualmente, también se realizaron dos sesiones de formación a miembros de la Junta Directiva de FEDER y a representantes de asociaciones de pacientes, celebradas el 20 de enero y el 12 de junio en Madrid, sobre la importancia de la reflexión estratégica en estas organizaciones, abordando conceptos claves y principios estratégicos, la importancia de la medición y monitorización del impacto, los fundamentos que debe tener una entidad profesionalizada, o los sistemas y herramientas para la priorización de objetivos. Ambas sesiones fueron impartidas por la consultora Aleire Servicios Integrados, especializada en desarrollo estratégico y corporativo.

SESIONES DE FORMACIÓN SOBRE PORTAVOCÍA:

Las dos sesiones formativas de portavocía, realizadas el 21 de enero y el 30 de septiembre en Madrid, se enfocaron **en mejorar las competencias comunicativas de los nuevos portavoces de la Federación**, así como de representantes de asociaciones de pacientes. Se llevaron a cabo en formato presencial y se realizaron con la consultora de estrategia y comunicación Newlink.



5.5.4 Colaboración con otras asociaciones de pacientes

El compromiso de AELMHU con las personas que conviven con enfermedades raras se extiende también a otras asociaciones de pacientes. Durante 2025, **la Asociación ha fortalecido vínculos con otras entidades representativas del movimiento asociativo**, participando en sus principales eventos y contribuyendo a generar espacios de diálogo que favorezcan la visibilidad, la formación y la búsqueda de soluciones compartidas.

En este marco, AELMHU organizó un encuentro para asociados con Carina Escobar, presidenta de la **Plataforma de Organizaciones de Pacientes (POP)**, tal y como se detalla en el punto 4.2 de esta memoria, y estuvo presente en varios de sus eventos, como su [IX Congreso de Organizaciones de Pacientes](#), realizado en Valencia el 24-25 de septiembre; la ponencia de Carina Escobar en [Nueva Economía Fórum](#) el 20 de octubre en Madrid; o la presentación de su informe '[Atención integrada de la cronicidad en España: Situación, herramientas y retos de la integración sanitaria y social](#)', el 15 de diciembre en Madrid.



Asimismo, el equipo técnico de AELMHU reforzó la relación directa con asociaciones de pacientes, como la **Asociación de Enfermedades Raras D'Genes**, asistiendo y participando en su XVIII Congreso Internacional de Enfermedades Raras, que tuvo lugar el 20 de noviembre en Murcia; la **Federación ASEM**, que organizó sus jornadas con motivo del Día Nacional de las Enfermedades Neuromusculares el 14 de noviembre en el Congreso de los Diputados; o la **Federación Española de Síndrome de Turner**, que celebró su presentación oficial el 12 de septiembre en la sede de FEDER en Madrid.



5.5.5 Entrevistas de efemérides

Estas entrevistas con asociaciones de pacientes no solo han permitido reforzar la colaboración con el movimiento asociativo, sino también generar contenidos que **amplíen la visibilidad y el conocimiento de las enfermedades raras y de los medicamentos huérfanos.**

Así, y siguiendo con la iniciativa propuesta por el grupo de trabajo de Cocreación con las Asociaciones de Pacientes de AELMHU, **durante 2025 se entrevistó a diversos agentes clave del sector de las enfermedades raras,** incluyendo médicos, pacientes y expertos.

A través de estas publicaciones, tanto en la web como en las redes sociales de la asociación, se buscó **generar conciencia sobre los retos a los que enfrentan tanto los pacientes como los profesionales de la salud,** así como destacar la importancia de la investigación y el acceso a terapias innovadoras que mejoren la calidad de vida de quienes padecen estas patologías.



28 ENTREVISTAS PUBLICADAS EN 2025

En total, durante 2025 se **publicaron 28 entrevistas**:

ENERO

- **Isabel Motero**, directora de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER), por el Día Mundial de la Depresión.
- **Isabel María Sarabia**, trabajadora social de la Asociación de Enfermedades Raras D'Genes, por el Día Internacional de Sensibilización sobre el Síndrome de Alagille.

FEBRERO

- **Juan Carrión**, presidente de FEDER, por el Día Mundial de las Enfermedades Raras.

MARZO

- **Las portavoces de los grupos de trabajo de AELMHU**, con motivo del Día Mundial de la Mujer Trabajadora.
- **Naca Pérez de Tudela**, presidenta de la Asociación Internacional de Familiares y Afectados de Lipodistrofias (AELIP), y el doctor David Araújo-Vilar, por el Día Mundial de las Lipodistrofias.



ABRIL

- **Sandra Martín**, miembro de la Junta Directiva de MPS Lisosomales, la doctora Mónica López, jefe de la Sección de Medicina Interna en el Hospital Ramón y Cajal de Madrid, y el Dr. Javier Limeres, cardiólogo en el Hospital Vall d'Hebrón, por el mes de la concienciación sobre la Enfermedad de Fabry.
- **Cristina y Nacho**, padres de una niña con enfermedad de Pompe.
- **Daniel-Aníbal García**, presidente de la Federación Española de Hemofilia (FEDHEMO), con motivo del Día Mundial de esta enfermedad rara.
- **Patricia Marín**, secretaria de la Asociación Española de Fibrodisplasia Osificante Progresiva (AEFOP); Sonia Las Heras, presidenta de la Asociación; y Alejandro, su hijo; junto al Dr. Javier Bachiller, reumatólogo del Hospital Ramón y Cajal, con motivo del Día Mundial de la fibrodisplasia osificante progresiva (FOP).
- **Estrella Mayoral**, trabajadora social y responsable del eje de atención directa de FEDER, por el Día Mundial de las Personas sin Diagnóstico.



MAYO

- **Enrique Carazo**, presidente de la Fundación Contra la Hipertensión Pulmonar (FCHP), con motivo del Día Mundial de esta patología.
- **Secundino Sacristán**, presidente de la Asociación Española de Lucha contra las Hemoglobinopatías y Talasemias (ALHETA), por el Día Mundial de la Talasemia.
- **Miguel Ángel Tremiño**, enfermero de Medicina Interna del Hospital General de Elche, por el Día Mundial de la Enfermería.
- **Jordi Cruz**, director de la Asociación MPS Lisosomales, y Chema, un paciente, con motivo del Día Mundial de la Mucopolisacaridosis.
- **Aitana Aguilera**, psicóloga de la Asociación de Afectados de Neurofibromatosis, por el Día Mundial de esta patología.

JUNIO

- **Raquel Pardo**, presidenta de la Asociación Miastenia de España (AMES), con motivo del Día Internacional de esta patología.
- **Rosalía Segura**, secretaria de la Asociación Española de Enfermedad Falciforme (ASAFE), coincidiendo con el Día Mundial de las Células Falciformes.



AGOSTO

- **Cuca Paulo**, presidenta de Stop FMF (Asociación Española de Fiebre Mediterránea Familiar y Síndromes Autoinflamatorios), por el Mes de las Enfermedades Autoinflamatorias.

SEPTIEMBRE

- **Juan Da Silva**, presidente de la presidente de la Federación Española de Fibrosis Quística (FEFQ), por el Día Mundial de esta patología.
- **Guillermo Yriarte**, presidente de la Asociación de Atrofia del Nervio Óptico de Leber (ASANO), con motivo del Día Mundial de esta enfermedad rara.
- **Dr. Lluís Masana**, catedrático emérito de Medicina en la Universitat Rovira i Virgili, por el Día Internacional de la hipercolesterolemia familiar.



OCTUBRE

- **Dra. María Mercadal**, hepatóloga pediatra en el Hospital Vall d'Hebrón, con motivo del Día Mundial de la colestasis intrahepática familiar progresiva.
- **Adriana Reyes**, presidenta de la Asociación HPN España, con motivo del Día Internacional de la hemoglobinuria paroxística nocturna.
- **Natividad Romero Haro**, coordinadora de actividad asistencial y formativa de la Asociación DEBRA, por el Día Mundial de la epidermólisis bullosa, conocida también como "piel de mariposa".



NOVIEMBRE

- **Dr. Ovidio Muñiz**, médico adjunto del Servicio de Medicina Interna y responsable de la Unidad de Lípidos y Riesgo Vascular del Hospital Virgen del Rocío de Sevilla, por el Día Mundial del síndrome de quilomicronemia familiar.
- **Blanca Guarás**, presidenta de NET España, con motivo del Día Mundial de los tumores neuroendocrinos.
- **Manuel Rego y Begoña Martín**, presidente y directora de la Federación ASEM, con motivo del Día Nacional de las enfermedades neuromusculares.



5.6 *Eventos del sector*

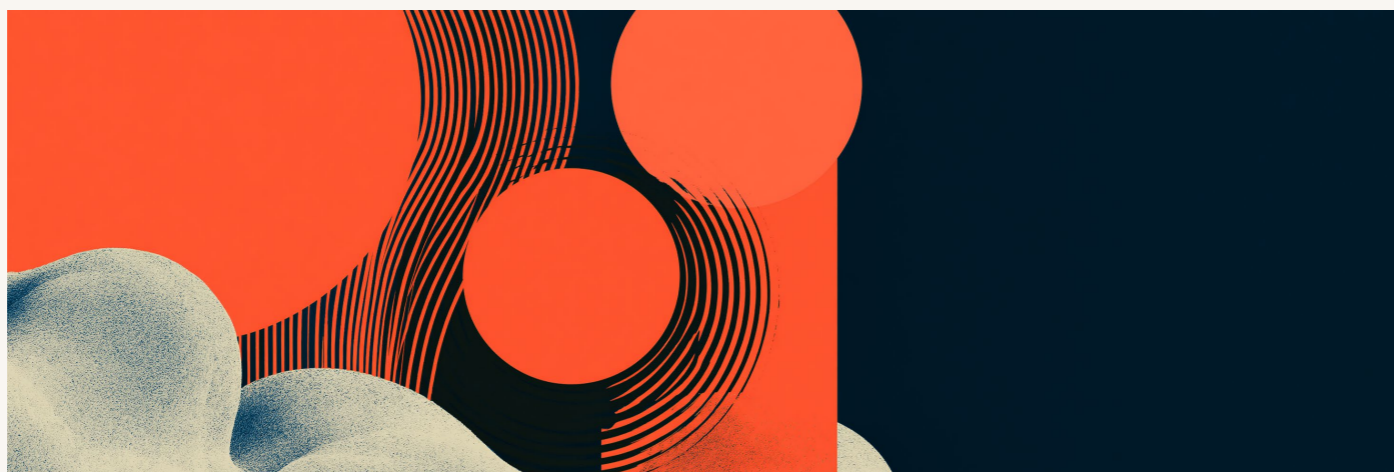
Durante el año 2025, AELMHU también consolidó su papel como agente clave en el ecosistema de las enfermedades raras **participando como ponente en 20 eventos y asistiendo a 46 más, alcanzando un total de 66**, lo que supuso un incremento del 10 % respecto al ejercicio anterior.

Esta intensa actividad permitió a la Asociación seguir promoviendo el conocimiento, la visibilidad y el acceso a los tratamientos dirigidos a estas patologías, fortaleciendo su posición como voz autorizada ante administraciones, profesionales sanitarios, industria y asociaciones de pacientes.

20 EVENTOS COMO PONENTE

46 EVENTOS DE ASISTENCIA

66 EVENTOS EN TOTAL



5.6.1 Participación en eventos externos



PONENCIA EN EL GRADO EN PROTOCOLO Y ORGANIZACIÓN DE LA UNIVERSIDAD CAMILO JOSÉ CELA

08/01/2025

Marian Corral, directora ejecutiva de AELMHU, impartió una ponencia en el marco del Grado en Protocolo y Organización en la asignatura de Relaciones Públicas de la Universidad Camilo José Cela (UCJC), en la que realizó una presentación de nuestra Asociación, detalló las actividades que realizamos y los principales objetivos estratégicos. Así, puso el foco en el compromiso de la Asociación con el acceso de los pacientes a los medicamentos huérfanos y la mejora del conocimiento sobre estas patologías.

→ [Leer +](#)



I EDICIÓN DEL FORO PUENTES DE ESPERANZA – ESTRATEGIAS INTEGRADAS PARA EL AVANCE EN ENFERMEDADES RARAS

28/01/2025

Marian Corral, directora ejecutiva de AELMHU, participó en esta jornada en Valencia organizada por el Servicio de Farmacia del Hospital Universitario y Politécnico La Fe, en la que pacientes, profesionales sanitarios e industria farmacéutica reflexionaron sobre la investigación y la innovación en enfermedades raras, así como las últimas estrategias colaborativas en este ámbito.

→ [Leer +](#)



V ENCUENTRO DE EXPERTOS DEL CICLO SOBRE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS DE DIARIOFARMA

05/02/2025

También en Valencia, Marian Corral formó parte de este encuentro, en el que los ponentes abordaron uno de los principales problemas que afectan a los pacientes con enfermedades raras: la falta de equidad en el acceso a medicamentos huérfanos. Nuestra directora ejecutiva estuvo acompañada por Elena Gras Colomer, directora general de Farmacia de la Comunidad Valenciana; José Luis Poveda, gerente del Hospital Universitario y Politécnico La Fe- Valencia; Inmaculada Pitarch, de la Unidad de Enfermedades Neuromusculares Raras del Hospital La Fe e investigadora del Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras (CIBERER); Fidela Mirón, vicepresidenta de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER); y José Vicente Galindo, Pricing & Market Access Associate Director de Chiesi España.

→ [Leer +](#)



SEGUNDA EDICIÓN DE ÚNICAS TALKS: 'PRIORIDADES EN ENFERMEDADES RARAS'

12/02/2025

Beatriz Perales, presidenta de AELMHU, participó en la mesa de debate 'Desarrollo y acceso a nuevas terapias', junto con el Dr. José María Moraleda, coordinador de la Red Española de Terapias Avanzadas, y el Dr. Juan Bueren, director de la Unidad de Innovación Biomédica del CIEMAT, IIS Fundación Jiménez Díaz y CIBERER, y moderados por la Dra. Alessandra Magnani, directora de la Plataforma de Terapias Avanzadas e Inmunoterapia del Hospital Sant Joan de Déu Barcelona.

→ [Leer +](#)



VIII PREMIOS SANITARIAS AL LIDERAZGO DE LA MUJER EN LA SANIDAD DE REDACCIÓN MÉDICA

25/02/2025

El medio de comunicación especializado en salud Redacción Médica entregó a nuestra presidenta, Beatriz Perales, uno de sus VIII Premios Sanitarias, que destacan cada año a las mujeres que se han destacado por su liderazgo, innovación y compromiso con la mejora del sistema sanitario en España. Recibió el premio de manos de Lourdes Martínez-Berganza Asensio, vicepresidenta de la Sociedad Española de Médicos de Atención Primaria (Semergen), y Montserrat Chimeno Viñas, presidenta de la Sociedad Española de Medicina Interna (SEMI).

→ [Leer +](#)



PRESENTACIÓN DE LA CAMPAÑA 'DESENMASCARA LAS RARAS'

26/02/2025

En el marco del Día Mundial de las Enfermedades Raras, AELMHU, representada por su directora ejecutiva, Marian Corral, participó en la clausura de la presentación de la campaña 'Desenmascara las Raras', de la compañía biofarmacéutica Sobi y en colaboración con la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER). Esta campaña busca sensibilizar a la sociedad sobre la situación de las personas que padecen estas enfermedades, las cuales afectan a menos de 5 de cada 10.000 personas y enfrentan numerosos obstáculos en su día a día, tanto en el ámbito sanitario como en el social, educativo y laboral.

→ [Leer +](#)



ENCUENTROS CON DIRECTIVOS DE EMPRESAS DE ENFERMEDADES RARAS Y ULTRARRARAS DE ADQUALIS

19/03/2025 – 08/05/2026

La directora ejecutiva de la Asociación, Marian Corral, participó en estos dos encuentros organizados por la consultora de recursos humanos **AdQualis Human Results**, que reunieron a directivos de compañías farmacéuticas que investigan, desarrollan o comercializan medicamentos huérfanos u otros tratamientos para enfermedades raras y ultrarraras.

→ [Leer +](#)



JORNADA 'HACIA UNA ESTRATEGIA LARGOPLACISTA DE TERAPIAS «ONE-SHOT» EN ESPAÑA'

28/04/2025

La directora ejecutiva de la Asociación, Marian Corral, participó en la mesa redonda 'Teoría y práctica: equilibrio entre acceso y sostenibilidad para las terapias one-shot', un panel moderado por Susana Álvarez, exsubdirectora general de Contratación del del Servicio Madrileño de Salud, en la que también intervinieron Gerardo García-Álvarez, Catedrático de Derecho Administrativo en la Universidad de Zaragoza; Lourdes Gil, jefa de Área de Tecnologías Farmacéuticas, del Ministerio de Industria y Turismo; y Jorge Mestre, Investigador y consultor de economía de la salud.

→ [Leer +](#)



JORNADA 'BRÚJULA DE LA COMPETITIVIDAD EUROPEA Y SU IMPACTO EN EL ECOSISTEMA DE SALUD ESPAÑOL'

12/05/2025

La presidenta de AELMHU, Beatriz Perales, participó en este evento, organizado por LEVIN Public Health Affairs, en la 'Misión Competitividad e Innovación Biofarmacéutica', centrada en el impulso de la I+D biofarmacéutica en España, con especial atención a los medicamentos huérfanos, biosimilares y terapias avanzadas. Contó con la participación de César Hernández (Director General de Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia del Ministerio de Sanidad); Javier Urzay (Farmaindustria); Ion Arocena (ASEBIO), Encarnación Cruz (BIOSIM); Elena Casaus (AESEG) y Lidia Martín (ANFP).

→ [Leer +](#)



JORNADA 'POR UN ENFOQUE INTEGRAL EN ENFERMEDADES RARAS: DESAFÍOS Y OPORTUNIDADES'

06/06/2025

AELMHU, a través de su directora ejecutiva, Marian Corral, participó en esta jornada organizada por el Consejo Superior de Investigaciones Científicas (CSIC), en una nueva iniciativa de su Programa de Itinerarios CICERON. El objetivo del encuentro fue fomentar el encuentro entre investigadores, empresas del sector, pacientes, administraciones públicas y medios de comunicación, así como dar a conocer la contribución del CSIC al estudio de las enfermedades raras.

→ [Leer +](#)



JORNADA 'III EDICIÓN DE ENFERMEDADES RARAS. PATOLOGÍA METABÓLICA DEL HUESO'

25/09/2025

Sergio Bullón, tesorero y vocal de la Junta Directiva de AELMHU, participó en este encuentro organizado por el Hospital Universitario 12 de Octubre, que ya se ha consolidado como una cita de referencia en el sector, las enfermedades raras del metabolismo óseo, su aprendizaje a través de casos clínicos y los desafíos que aún existen para conseguir un abordaje completo. En la inauguración, Sergio estuvo acompañado por el director médico del hospital, el Dr. Julio Pascual; la Dra. Montserrat Morales, jefa de Medicina Interna; y el Dr. Guillermo Martínez Díaz-Guerra, jefe de la Sección de Endocrinología y Nutrición.

→ [Leer +](#)



VI OBSERVATORIO DE LA SANIDAD EL ESPAÑOL

30/09/2025

El VI Simposio del Observatorio de la Sanidad, organizado por El Español e Invertia, contó con la participación de destacados líderes del sector sanitario y representantes gubernamentales. Beatriz Perales, presidenta de AELMHU, abordó la posición del sector con respecto al Anteproyecto de Ley de Medicamentos y Productos Sanitarios. Durante su intervención, aplaudió la inclusión de algunas medidas propuestas por AELMHU durante el periodo de alegaciones, pero también mostró la preocupación del sector por varios aspectos del anteproyecto.

→ [Leer +](#)



INAUGURACIÓN DEL MÁSTER UNIVERSITARIO OFICIAL EN DESCUBRIMIENTO DE FÁRMACOS

17/10/2025

Tras el convenio firmado con la Universidad Europea de Madrid (UEM), la Asociación, a través de su presidenta, Beatriz Perales, participó en la inauguración de este martes en el Campus de la UEM en Villaviciosa de Odón (Madrid). En su intervención, explicó cuáles son las particularidades de las enfermedades raras y de sus tratamientos, y detalló la labor que realiza la asociación para contribuir con sus acciones a mejorar la salud y la calidad de vida de las personas afectadas por estas patologías.

→ [Leer +](#)



CUMBRE DE LÍDERES DEL MOVIMIENTO ASOCIATIVO IBEROAMERICANO DE ENFERMEDADES RARAS

21/10/2025

AELMHU participó en esta cumbre, celebrada en el Ministerio de Sanidad, y que contó con la inauguración de la ministra, Mónica García, y de Juan Carrión, presidente de ALIBER y de la Federación Española de Enfermedades Raras. Reunió a representantes de los países iberoamericanos con el objetivo de compartir los retos y desafíos del colectivo, así como avanzar hacia un plan global de acción en enfermedades raras. Nuestra presidenta, Beatriz Perales, acompañada por la directora ejecutiva, Marian Corral, intervino en una mesa de debate acerca de los retos y oportunidades que supone la implementación de la resolución de la Organización Mundial de la Salud (OMS), impulsada por España, y que reconoce a las enfermedades raras como una prioridad de salud pública a nivel mundial.

→ [Leer +](#)



JORNADA 'SIN DEJAR A NADIE ATRÁS' DE FEDER

18/11/2025

La vicepresidenta de AELMHU, María José Sánchez, participó en la mesa de debate 'Cuando la salud depende del acceso: un debate sobre inequidad en el acceso a los tratamientos', moderada por Daniel de Vicente, miembro de la Junta Directiva de FEDER. Estuvo acompañada por César Hernández, director general de la Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud y Farmacia; Santiago de la Riva, vicepresidente de la Fundación FEDER; y Víctor Rodríguez de Vera, abogado del despacho Ramón y Cajal. El encuentro, celebrado en el Hospital Universitario y Politécnico La Fe de Valencia, puso el foco en los retos que afrontan las personas con enfermedades raras, como el diagnóstico, el acceso a tratamientos y una atención integral que garantice la equidad en todas las comunidades autónomas.

→ [Leer +](#)



XVIII CONGRESO INTERNACIONAL DE ENFERMEDADES RARAS DE D'GENES

20/11/2025

Un año más, la asociación, a través de su presidenta, Beatriz Perales, tuvo su papel en el XVIII Congreso Internacional de Enfermedades Raras, organizado por la asociación D'Genes en la Universidad Católica de Murcia. La presidenta intervino para poner el foco en los principales desafíos y retos para agilizar la llegada de medicamentos huérfanos a los pacientes con enfermedades raras, como acelerar y facilitar la innovación y la investigación; agilizar los procesos de evaluación y financiación de este tipo de tratamientos; o garantizar una verdadera equidad territorial entre todas las comunidades autónomas.

→ [Leer +](#)

5.6.2 Asistencia a eventos

La Junta Directiva y el equipo técnico de AELMHU asistieron a **46 eventos** con expertos y autoridades sanitarias a lo largo de 2025 para seguir de cerca los desarrollos legislativos del sector.

Esto reforzó el **posicionamiento institucional** de la Asociación, consolidando su papel como agente clave en el ámbito de las enfermedades raras.

Durante el año, AELMHU reforzó la interlocución con responsables de la Administración: **Javier Padilla** (10 marzo), el europarlamentario **Nicolás Fernández Casares** (14 marzo), **Juan José Pedreño** (consejero de Salud, Murcia, 7 mayo) y **Elvira Velasco** (portavoz Grupo Popular, 11 noviembre).

AELMHU asistió también a foros especializados como el **VI Curso de Verano newsRARE** (Toledo, 17 septiembre, Fundación Weber); las jornadas sobre la revisión de la legislación farmacéutica europea de Diariefarma; o las sesiones de Bioinnova sobre terapias avanzadas.

Además, fortaleció su colaboración con el resto de asociaciones de la industria farmacéutica, participando en el **acto del 10º aniversario de Biosim**, que reunió a las principales patronales del sector.









06

COMUNICACIÓN

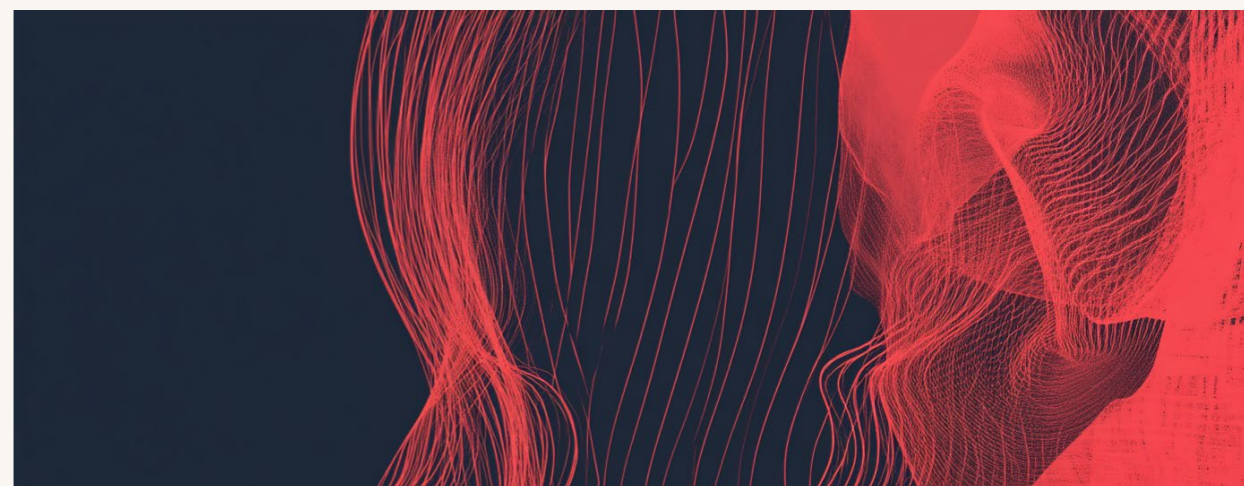
En 2025, el área de **Comunicación** ha consolidado su papel como un eje estratégico y transversal en la actividad de **AELMHU**, evolucionando hasta convertirse en una herramienta de posicionamiento y generación de valor.

A lo largo del año, la Asociación ha reforzado su estrategia de comunicación orientada al impacto, con el objetivo de **construir una voz propia, sólida y reconocible dentro del ámbito de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos**. Esta voz ha buscado no solo trasladar mensajes, sino también **contextualizar los avances, poner en valor la innovación y contribuir a una mejor comprensión de los retos** estructurales.

La presencia en medios de comunicación ha seguido siendo un pilar fundamental, no solo en términos de visibilidad, sino como espacio de interlocución y generación de agenda. A través de una relación constante y proactiva con periodistas y medios, AELMHU ha logrado posicionar sus mensajes en debates clave, aportando una visión experta y rigurosa en momentos de especial relevancia para el sector.

Paralelamente, **el ecosistema digital ha continuado ganando peso** como canal de conexión con los distintos *stakeholders*. Los contenidos en la web y en los perfiles de LinkedIn, X y YouTube, así como la creación de la cuenta de Instagram de la Asociación, han permitido ampliar el alcance y mejorar la capacidad de interacción, favoreciendo una comunicación más directa, audiovisual y dinámica.

En el ámbito interno, **la comunicación con los asociados se ha visto reforzada**, gracias a la renovación del Boletín Semanal como canal de información y seguimiento de novedades del sector y la Asociación, así como el envío de alertas informativas ante hitos relevantes, especialmente en materia regulatoria o de alto impacto para las compañías asociadas. Ambos instrumentos han contribuido a fortalecer el vínculo con los miembros de AELMHU, facilitando un flujo de información y conocimiento continuo.



6.1 AELMHU en los MEDIOS

Durante 2025, la Asociación **incrementó su impacto en medios** de comunicación, tanto generalistas como especializados, como **El Economista, El Español, La Vanguardia, Redacción Médica, iSanidad o Europa Press.**

Esto fue resultado de la difusión estratégica de notas de prensa, la presentación de los informes de acceso y ensayos clínicos, la participación en eventos o las consultas realizadas por los medios sobre asuntos de relevancia directa para la Asociación.

8 NOTAS DE PRENSA

18 ENTREVISTAS Y PETICIONES

elEconomista.es
 — 20 Años —

Beatriz Perales: "Es fundamental tener un proceso de precio y financiación flexible de los medicamentos huérfanos"

• La presidenta de AELMHU reclama "la creación de un programa de acceso temprano para este tipo de tratamientos"

AA EL ESPAÑOL **invertia**



OBSERVATORIO DE LA
SANIDAD

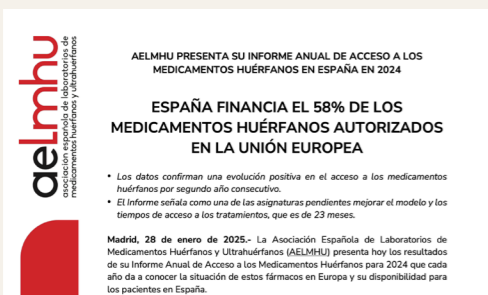
España financió 17 medicamentos para tratar enfermedades raras en 2024, más del triple que en 2020

• La cifra del pasado año es la segunda más alta de los últimos 5 años.

≡ **diariofarma**

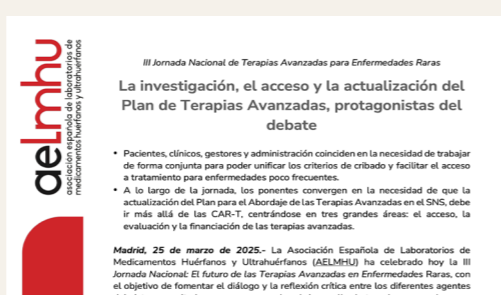
España autoriza 207 ensayos en enfermedades raras en 2024, un 10% más que en 2023

Desde AELMHU, se lanzaron ocho notas de prensa sobre hitos y actividades propias:



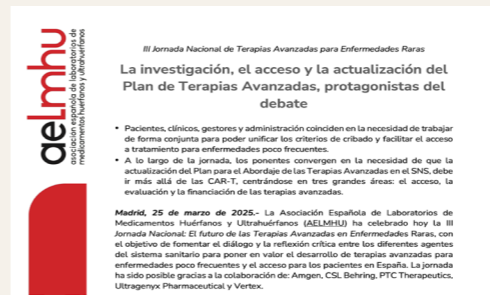
Informe Anual de Acceso a los Medicamentos Huérfanos 2024

→ [Leer +](#)



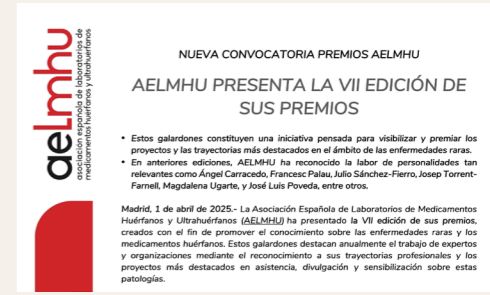
Convenio de colaboración con el Consejo General de Colegios Farmacéuticos

→ [Leer +](#)



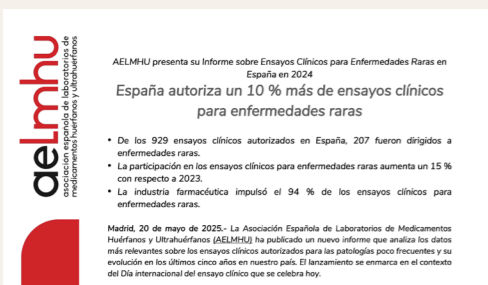
III Jornada Nacional de Terapias Avanzadas para Enfermedades Raras

→ [Leer +](#)



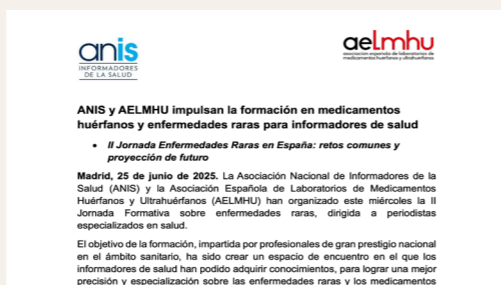
Lanzamiento de la VII edición de los Premios AELMHU

→ [Leer +](#)



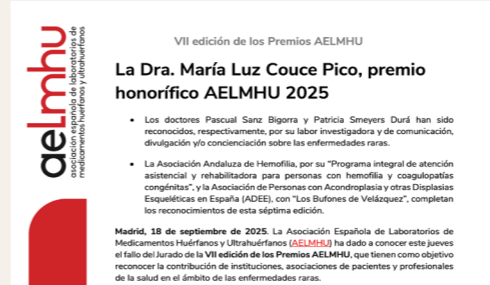
Informe de ensayos clínicos para enfermedades raras 2024

→ [Leer +](#)



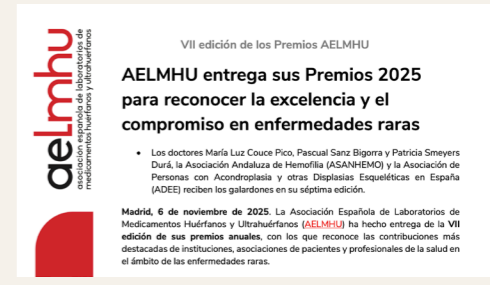
Jornada de formación para periodistas sobre enfermedades raras

→ [Leer +](#)



Fallo del Jurado de la VII edición de los Premios AELMHU

→ [Leer +](#)



Ceremonia de entrega de la VII edición de los Premios AELMHU

→ [Leer +](#)

Además, a través de sus portavoces y miembros del Órgano de Representación, la Asociación también **participó en 18 entrevistas y peticiones de información** a lo largo de todo 2025, haciendo llegar los mensajes claves y propuestas estratégicas de AELMHU a medios de comunicación como la Cadena Ser, Diariofarma, El Economista, iSanidad, Diario Médico o Demócrata, entre otros.



redacción médica

Portada > Secciones > INDUSTRIA FARMACÉUTICA

Perales: "Mi carrera como farmacéutica empezó en mi casa, con mi madre"

Beatriz Perales, galardonada en los Premios Sanitarias, resalta la importancia de la investigación en enfermedades raras



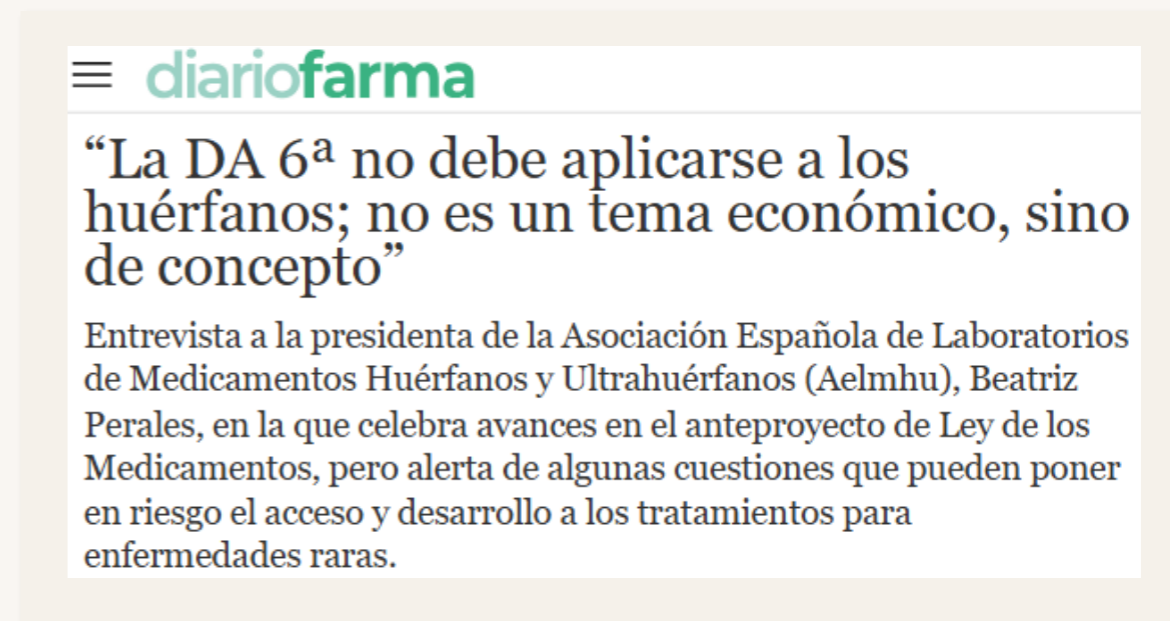
SEI2

Selecciona tu emisora
Cadena SER

Código de Barras | Sociedad

El lento acceso a los medicamentos huérfanos: "La paciencia para los pacientes no es infinita"

Los fármacos destinados a enfermedades raras tardan de media más de dos años en llegar a España desde que los aprueba la Unión Europea



diariofarma

"La DA 6^a no debe aplicarse a los huérfanos; no es un tema económico, sino de concepto"

Entrevista a la presidenta de la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (Aelmhu), Beatriz Perales, en la que celebra avances en el anteproyecto de Ley de los Medicamentos, pero alerta de algunas cuestiones que pueden poner en riesgo el acceso y desarrollo a los tratamientos para enfermedades raras.



AA

EL ECONOMISTA

VI Simposio del Observatorio de la SANIDAD

El sector del medicamento reivindica el diálogo con Sanidad como oportunidad para actualizar la legislación

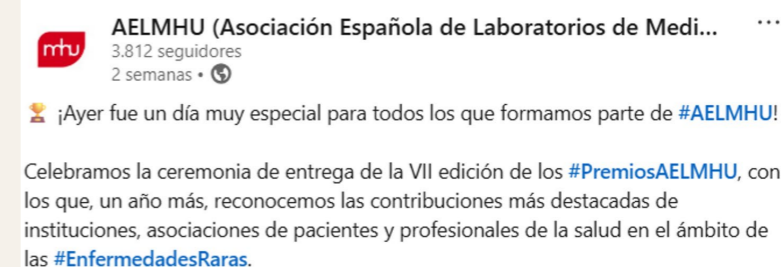
- Las principales patronales exponen su 'lista de reyes magos' en el VI Simposio del Observatorio de la Sanidad.

6.2 ESTRATEGIA DIGITAL y CANALES ONLINE

AELMHU también **siguió creciendo en sus principales canales digitales corporativos**. La Asociación continuó incrementando su presencia y comunidad online: superó los 12.000 seguidores en sus perfiles de redes sociales de LinkedIn, Instagram y Twitter, y alcanzó las casi 200 publicaciones a lo largo de 2025.

La **web de AELMHU** recibió más de 30.000 visitas y contó con más de 16.000 usuarios activos, gracias a la actualización constante de contenidos, como las noticias sobre la actualidad más relevante de la Asociación, las entrevistas de efemérides recogidas en el punto 5.5 de esta Memoria, así como la publicación de nuestros informes y principales proyectos, como los Premios AELMHU.


Nuestra **presencia en YouTube** también se reforzó gracias a la publicación de vídeos de divulgación sobre enfermedades raras y medicamentos huérfanos en colaboración con el Consejo General de Colegios Farmacéuticos (CGCOF), que generaron 580.000 visualizaciones. Asimismo, se emitieron en directo tanto la jornada de formación para periodistas como la III Jornada Nacional sobre Terapias Avanzadas para Enfermedades Raras, y se publicó al completo la ceremonia de entrega de los VII Premios AELMHU.



AELMHU (Asociación Española de Laboratorios de Medi...
 3.812 seguidores
 2 semanas • 🌐

🏆 ¡Ayer fue un día muy especial para todos los que formamos parte de #AELMHU!

Celebramos la ceremonia de entrega de la VII edición de los #PremiosAELMHU, con los que, un año más, reconocemos las contribuciones más destacadas de instituciones, asociaciones de pacientes y profesionales de la salud en el ámbito de las #EnfermedadesRaras.



aelmhu_ AELMHU
 7 publicaciones 114 seguidores 350 seguidos

Página oficial de la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos, Ultrahuérfanos y otros tratamientos para Enfermedades Raras



**PRINCIPALES
 BULOS SOBRE LOS
 MEDICAMENTOS
 HUÉRFANOS**

#TuFarmacéuticoInforma
 #MedicamentosHuérfanosyFarmacia



30-09-2025
AELMHU en el VI Simposio del Observatorio de la Sanidad de El Español

La presidenta de la Asociación Española de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU), Beatriz Perales, ha participado este martes en el VI Simposio del Observatorio de la Sanidad de El Español, para abordar la posición del ...

PRESENCIA DIGITAL • COMUNIDAD ONLINE

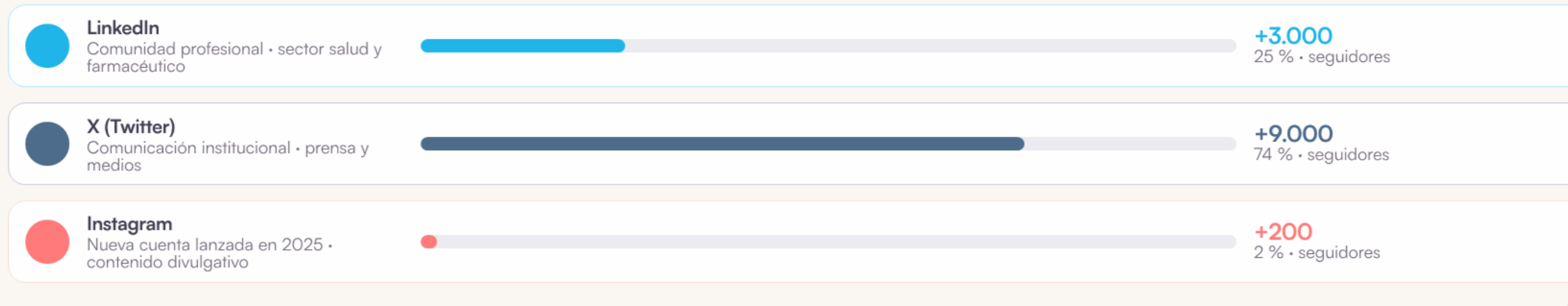
Audiencia digital y crecimiento de la comunidad

Crecimiento sostenido en redes sociales y web. La cuenta de Instagram se incorporó en 2025 como nuevo canal estratégico.



Distribución por canal • Comunidad online

Tres canales activos: LinkedIn (profesional), X (institucional) y la nueva cuenta de Instagram lanzada en 2025.



Contenido audiovisual en YouTube

VÍDEOS DIVULGATIVOS · CGCOF

580.000

Visualizaciones acumuladas

Resultado de los 6 videoconsejos sobre Medicamentos Huérfanos y Farmacia publicados con el Consejo General de Colegios Farmacéuticos.

LOS 6 VIDEOCONSEJOS

- **01** ¿Sabes qué son las enfermedades raras? ¿Y los medicamentos huérfanos?
- **02** Investigación, diagnóstico y tratamiento de las enfermedades raras
- **03** ¿Cuál es el proceso de desarrollo y aprobación en Europa?
- **04** ¿Cómo es el acceso a medicamentos huérfanos?
- **05** ¿Conoces el valor social que aportan los medicamentos huérfanos?
- **06** Principales bulos sobre los medicamentos huérfanos

¿SABES QUÉ SON LAS ENFERMEDADES RARAS? ¿Y LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS?



¿CONOCES CÓMO ES LA INVESTIGACIÓN, EL DIAGNÓSTICO Y EL TRATAMIENTO DE LAS ENFERMEDADES RARAS?



¿SABÍAS CUÁL ES EL PROCESO DE DESARROLLO Y APROBACIÓN DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN EUROPA?



¿CÓMO ES EL ACCESO A LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS?



EL VALOR SOCIAL DE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS



PRINCIPALES BULOS SOBRE LOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS



6.3 COMUNICACIÓN con los ASOCIADOS

En cuanto a la comunicación interna con los asociados, durante 2025 **se renovó el estilo y la plataforma de envío del Boletín Semanal** para hacer un formato más visual y adaptado a las necesidades de comunicación de la Asociación.

A lo largo del año, se enviaron **41 boletines semanales a más de 140 personas de las 27 compañías asociadas de AELMHU**, con el objetivo de mantenerles informadas sobre las novedades acerca de las enfermedades raras, los medicamentos huérfanos, la industria farmacéutica y nuestra Asociación.

RENOVADO EN 2025

Boletín Semanal

Cada viernes con novedades sobre enfermedades raras, medicamentos huérfanos, la industria farmacéutica y nuestra Asociación.

41

Boletines semanales
en 2025

+140

Personas
lo reciben

27

Compañías
asociadas

SECCIONES

Sobre AELMHU

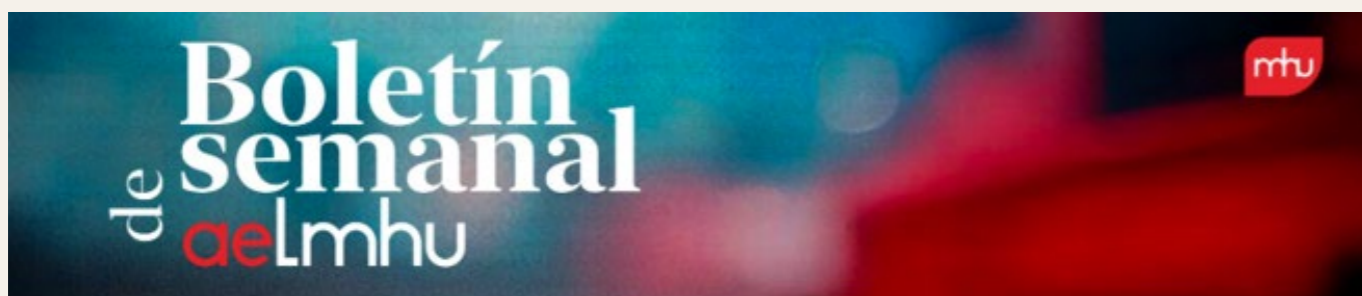
Noticias

Documentos de interés

Recomendaciones

Eventos

Así, el boletín reúne todos los viernes las principales noticias, documentos de interés, recomendaciones de lectura y eventos del sector, así como las actividades de AELMHU a lo largo de la semana.



📅 17 - 21 noviembre

SOBRE AELMHU

Eventos con participación de AELMHU



XVIII Congreso Internacional de Enfermedades Raras de D'Genes

La presidenta de AELMHU, **Beatriz Perales**, intervino este jueves en el congreso de D'Genes, en la mesa sobre acceso a medicamentos huérfanos, para reivindicar que la innovación llegue lo antes posible a los pacientes con enfermedades raras.



DOCUMENTOS DE INTERÉS

INFORME FINAL

ESTIMACIÓN DE LA CARGA ECONÓMICA Y SOCIAL DE LA DISTROFIA MUSCULAR DE DUCHENNE EN ESPAÑA

Informe 'Estimación de la carga económica y social de la distrofia muscular de Duchenne en España'

Liderado por la Fundación Weber, el informe apunta que el coste medio anual por paciente asciende a 90.751 euros y la carga total se estima en 54,4 millones de euros, para una prevalencia aproximada de 600 pacientes.



NOTICIAS



César Hernández avanza que la Ley del Medicamento volverá al Consejo de Ministros antes de final de año



15 países europeos advierten de que la directiva de aguas residuales puede encarecer y limitar medicamentos

6.3 COMUNICACIÓN con los ASOCIADOS

Dentro de la comunicación interna con los asociados, también se reforzó el **servicio de alertas informativas en tiempo real**, que llegan a los representantes de las 27 compañías asociadas de AELMHU y a los más de 70 miembros de los cuatro grupos de trabajo de la Asociación.

En total, el equipo técnico de la Asociación remitió **29 alertas a lo largo del año**, con el objetivo de mantenerles actualizados sobre novedades legislativas y regulatorias relevantes para el sector, especialmente en lo relativo a los medicamentos huérfanos y las enfermedades raras.

Entre las temáticas más relevantes, destacaron las iniciativas impulsadas por el Ministerio de Sanidad y las instituciones europeas, como la **Ley Europea de Medicamentos Críticos o el Plan de Terapias Avanzadas del SNS 2025-2028**. Asimismo, se realizó **seguimiento de distintos proyectos normativos y consultas públicas** relacionadas con salud digital, cribado neonatal, sostenibilidad en los procesos de compra pública y organización del sistema sanitario, incluyendo la creación y aprobación de la Agencia Estatal de Salud Pública (AESAP) o el desarrollo del Anteproyecto de Ley de Organizaciones de Pacientes.

EN TIEMPO REAL

Alertas informativas

Comunicaciones específicas ante novedades legislativas y regulatorias relevantes para los asociados, especialmente en medicamentos huérfanos y enfermedades raras.

+29

Alertas remitidas durante 2025

+100

Asociados las reciben



07

AGRADECIMIENTOS

Todas las acciones y logros recogidos en esta memoria han sido posibles **gracias al compromiso y la colaboración de nuestras 27 compañías asociadas y de quienes comparten nuestra misión:** mejorar la salud y la calidad de vida de las personas que conviven con enfermedades raras y sus familias. Profesionales sanitarios, sociedades médicas y científicas, medios de comunicación, asociaciones de pacientes, universidades, consultoras, instituciones públicas y privadas, etc., a todos ellos damos nuestro más sincero agradecimiento por su apoyo y dedicación a lo largo de este año.

Gracias a esta cooperación, hemos sumado esfuerzos para avanzar en la visibilidad de estas patologías, impulsar la investigación y facilitar el acceso a tratamientos innovadores. Cada iniciativa desarrollada refleja la fuerza del trabajo conjunto y el compromiso compartido por construir un sistema sanitario más sensible a las necesidades de los pacientes.

Un reconocimiento especial merece la **Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER)**, portavoz y representante de los pacientes que conviven con estas patologías, y que son la verdadera razón de ser de AELMHU.

¡Gracias a todos por un año más de colaboración, diálogo y proyectos que nos acercan al objetivo común: **que ninguna persona con una enfermedad rara se quede atrás!**





MEMORIA

ANUAL

2025

 ael**mhu**

asociación española de laboratorios de medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos