

AELMHU pide excluir a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos de la disposición adicional sexta

- La Asociación considera que la medida carece de una justificación sanitaria y rompe con el tratamiento diferenciado que la normativa europea reconoce a estos medicamentos.
- Estos medicamentos ya están sometidos a uno de los sistemas de evaluación y financiación más exigentes del Sistema Nacional de Salud.
- Las medidas económicas que reduzcan el atractivo del mercado español pueden repercutir en la disponibilidad de nuevas opciones terapéuticas para los pacientes.

Madrid, 20 de julio de 2026. – A la espera de conocer el texto definitivo del Anteproyecto de Ley de los Medicamentos y Productos Sanitarios que apruebe el Consejo de Ministros, la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU) solicita excluir a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos del ámbito de aplicación de la disposición adicional sexta.

Este posicionamiento no es nuevo, ya que lo viene defendiendo de forma ininterrumpida desde 2022 ante el Ministerio de Sanidad y los distintos departamentos ministeriales implicados. A su juicio, excluir a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos de esta disposición responde a una cuestión de coherencia sanitaria, regulatoria, económica e industrial.

AELMHU considera que la aplicación de esta medida carece de una justificación específica desde la perspectiva sanitaria, resulta difícilmente compatible con los objetivos de competitividad, innovación y atracción de inversión que el propio Gobierno ha establecido para el sector farmacéutico y rompe con el tratamiento diferenciado que la normativa europea y el ordenamiento jurídico español reconocen a esta categoría de medicamentos y puede generar riesgos para el acceso de los pacientes con enfermedades raras a nuevas terapias.

La Asociación subraya que estos medicamentos ya están sometidos a uno de los sistemas de evaluación y financiación más exigentes del Sistema Nacional de Salud, mediante financiación condicionada, acuerdos específicos, restricciones de uso, modelos de pago por resultados y revisiones periódicas de precio. Por ello, considera que la aplicación de una nueva carga económica resulta difícilmente compatible con el marco regulatorio existente y con las políticas de apoyo a la innovación en enfermedades raras.

Además, la Asociación recuerda que, según los datos del Ministerio de Sanidad, el peso de los medicamentos huérfanos en el gasto farmacéutico

hospitalario se ha mantenido estable en torno al 10 %, mientras que el número de medicamentos financiados prácticamente se ha duplicado, pasando de 46 en 2020 a 85 en 2024. En ese mismo periodo, el consumo medio por medicamento financiado descendió un 17,3 %, un dato que, según AELMHU, refleja que el incremento del gasto responde a la incorporación de nuevas alternativas terapéuticas y no a un aumento desproporcionado del coste de los tratamientos.

Para AELMHU, la valoración de la Disposición no debe limitarse a su posible efecto presupuestario, sino incorporar también el coste de oportunidad que puede generar sobre la competitividad del sector farmacéutico español.

La Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024-2028 identifica las enfermedades raras como un ámbito estratégico para España y destaca que la inversión en este campo impulsa la innovación biomédica, el desarrollo tecnológico y la generación de conocimiento.

Las decisiones regulatorias condicionan la localización de inversiones, el desarrollo de ensayos clínicos y la priorización de los países para el lanzamiento de nuevos medicamentos. En un ámbito como el de las enfermedades raras, caracterizado por largos procesos de investigación y elevados niveles de inversión, las medidas económicas que reduzcan el atractivo del mercado español pueden repercutir en la disponibilidad de nuevas opciones terapéuticas para los pacientes.

Actualmente, 68 compañías comercializan medicamentos huérfanos con Código Nacional en España y 54 disponen de uno o varios medicamentos financiados por el Sistema Nacional de Salud. Además, el ejercicio de Horizon Scanning elaborado por AELMHU identifica alrededor de 35 empresas con terapias avanzadas para enfermedades raras que previsiblemente accederán al mercado español en los próximos años.

Por ello, cualquier nueva carga económica debe evaluarse no solo por su potencial efecto recaudatorio, sino también por su impacto sobre la investigación, la innovación y el desarrollo industrial de un sector estratégico. Los medicamentos huérfanos constituyen una **categoría jurídica específica reconocida por el Reglamento (CE) nº 141/2000**, cuyo objetivo es incentivar la investigación y el desarrollo de tratamientos para enfermedades de muy baja prevalencia y elevada complejidad científica.

Ese tratamiento diferenciado también existe en España. En texto que se conoció hace unas semanas, el propio Anteproyecto mantiene instrumentos específicos como la deducción del 4 % prevista en el Real Decreto-ley 8/2010 y la exclusión de estos medicamentos del sistema de precios de referencia, lo que confirma el reconocimiento de sus particularidades.

Incorporar ahora una nueva obligación económica mediante la Disposición resulta difícilmente compatible con ese marco regulatorio y con la política europea y nacional de apoyo a la innovación en enfermedades raras.

Además, la aminoración prevista a través del Plan PROFARMA no compensaría el impacto económico de la Disposición mediante los incentivos existentes. De las 29 compañías asociadas a AELMHU, solo 8 participan en

la convocatoria PROFARMA 2025-2026 y ninguna ha obtenido la calificación de "Excelente".

AELMHU confía en que el texto definitivo del Anteproyecto mantenga la exclusión de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos, preservando la coherencia con la normativa europea, el marco regulatorio español, los objetivos de la Estrategia de la Industria Farmacéutica 2024-2028.

Si el texto finalmente aprobado mantiene la inclusión de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos en la Disposición Adicional Sexta, AELMHU continuará trabajando durante la tramitación parlamentaria con los distintos grupos políticos e instituciones para promover las modificaciones necesarias que preserven el tratamiento diferenciado de estos medicamentos y favorezcan un marco regulatorio estable para la investigación, la innovación y el acceso de estos tratamientos para los pacientes.

Sobre AELMHU

AELMHU es una asociación sin ánimo de lucro que agrupa a compañías farmacéuticas y biotecnológicas con un claro compromiso por investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras para mejorar la salud y la calidad de vida de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultrarraras. AELMHU quiere servir de interlocutor ante la sociedad, la comunidad científica y las instituciones políticas y sanitarias en los temas relacionados con los medicamentos huérfanos, ultrahuérfanos y otros tratamientos para enfermedades raras.

Para más información:

comunicacion@aelmhu.es