asociación española de laboratorios de medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

NOTA DE PRENSA

AELMHU reclama situar las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos entre las prioridades de la próxima legislatura

La asociación presenta diez propuestas para mejorar el acceso a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos, impulsar la investigación y reforzar la innovación y competitividad de la industria farmacéutica especializada en enfermedades raras.

Madrid, 20 de octubre de 2026. En España, alrededor de **3,4 millones de personas conviven con alguna enfermedad rara**. Para muchas de ellas, la innovación terapéutica puede representar la única alternativa disponible. Los medicamentos huérfanos son aquellos destinados a prevenir, diagnosticar o tratar enfermedades raras, pero su desarrollo presenta retos específicos derivados del reducido número de pacientes, la limitada disponibilidad de evidencia y la elevada necesidad médica no cubierta.

Ante la próxima cita electoral y el proceso de elaboración de los programas de las principales formaciones políticas, **la Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (AELMHU)** ha presentado **diez prioridades para la próxima legislatura** con las que reclama un compromiso transversal con las enfermedades raras y sus tratamientos, que implique tanto a las políticas sanitarias como a las industriales, científicas, económicas y de competitividad.

Las propuestas abordan los principales retos relacionados con la investigación clínica, la evaluación, la financiación y el acceso a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos, **incorporando también medidas dirigidas a fortalecer la investigación y el desarrollo de nuevos tratamientos desde la perspectiva industrial y de competitividad**.

“La próxima legislatura debe ser una oportunidad para reconocer las particularidades de los medicamentos huérfanos y el papel de las empresas que los investigan y desarrollan. Mejorar el acceso de los pacientes y fortalecer la capacidad de España para atraer inversión e innovación son objetivos que deben avanzar conjuntamente. Para ello, necesitamos un marco estable y previsible que preserve los incentivos a la investigación y facilite que los avances científicos se traduzcan en nuevas opciones terapéuticas. Al mismo tiempo, reclamamos que se aplique el principio de proporcionalidad regulatoria para evitar que medidas de carácter general tengan un impacto desproporcionado sobre la investigación, el desarrollo y el acceso a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos”, afirma **Beatriz Perales, presidenta de AELMHU**.

Diez prioridades para la próxima legislatura

AELMHU plantea las siguientes propuestas:

1. Integrar expresamente el **acceso a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos** en la **política nacional de enfermedades raras,** con objetivos e indicadores que permitan evaluar los avances en los tiempos de acceso, la equidad territorial y los resultados en salud.

© 2026 AELMHU

2. **Reconocer los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos como un ámbito estratégico de la política industrial farmacéutica y de competitividad**, preservando los incentivos necesarios para su investigación y desarrollo y evaluando el impacto de las medidas económicas y de contención del gasto sobre la innovación y el acceso de los pacientes.
3. **Reducir los plazos de puesta en marcha de los ensayos clínicos** en enfermedades raras, reforzar las redes de centros especializados y establecer circuitos que faciliten la identificación y derivación de pacientes.
4. Impulsar la generación y **utilización de datos** y favorecer el desarrollo de registros entre comunidades autónomas y conectados con el Espacio Europeo de Datos Sanitarios que permitan la toma de decisiones y mejora de resultados en salud.
5. Establecer un mecanismo estable de **acceso temprano** que permita financiar de forma provisional o condicionada medicamentos para enfermades raras con necesidades médicas no cubiertas y sin alternativas terapéuticas.
6. Desarrollar **métodos de evaluación adaptados** a las particularidades de los medicamentos huérfanos, que reconozcan el valor de los datos y la evidencia en vida real, incorporando el valor social de los tratamientos y favorezcan la participación de los pacientes y expertos clínicos.
7. Impulsar **modelos de financiación más flexibles** para los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos, atendiendo a sus particularidades y la evolución de la evidencia, favoreciendo el uso de acuerdos basados en resultados, **y otros mecanismos de gestión de la incertidumbre**, dentro de un marco de criterios claros y previsibles.
8. Garantizar que las decisiones de financiación del Sistema Nacional de Salud se traduzcan en un **acceso efectivo y equitativo en todas las comunidades autónomas**, evitando retrasos injustificados y **requisitos adicionales que puedan demorar su incorporación**, y mejorando la transparencia sobre los tiempos reales de acceso.
9. Desarrollar **mecanismos específicos de financiación y coordinación** para las terapias avanzadas destinadas a enfermedades raras que garanticen un acceso equitativo, faciliten la atención en centros de referencia y eviten que el lugar de residencia del paciente condicione su acceso al tratamiento.
10. Incorporar el **principio de proporcionalidad** regulatoria en el marco normativo aplicable a los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos, evitando que medidas de carácter general generen un impacto desproporcionado para su investigación, desarrollo y acceso.

Una oportunidad para incorporar compromisos concretos

AELMHU busca que estas propuestas se tengan en cuenta en la elaboración de los programas electorales y puedan traducirse en medidas concretas durante la próxima legislatura. La Asociación considera que **España cuenta con capacidades científicas, clínicas e industriales que deben seguir fortaleciéndose** mediante políticas públicas adaptadas a las particularidades de los medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos. Su desarrollo requiere un entorno que favorezca la **continuidad de la investigación y facilite la incorporación de nuevas alternativas terapéuticas**.

AELMHU pone su experiencia y conocimiento a disposición de los partidos políticos y de los responsables públicos para dialogar sobre estas propuestas y contribuir a su desarrollo, con el objetivo de que los avances científicos e industriales se traduzcan en mejores oportunidades de tratamiento para las personas con enfermedades raras.

© 2026 AELMHU

asociación española de laboratorios de medicamentos huérfanos y ultrahuérfanos

NOTA DE PRENSA

Sobre AELMHU.

AELMHU es una asociación sin ánimo de lucro que agrupa a empresas farmacéuticas y biotecnológicas con un claro compromiso por investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras para mejorar la salud y la calidad de vida de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultrarraras. AELMHU quiere servir de interlocutor ante la sociedad, la comunidad científica y las instituciones políticas y sanitarias en los temas relacionados con los medicamentos huérfanos, ultrahuérfanos y otros tratamientos para enfermedades raras. Actualmente, los asociados de AELMHU son Alexion AstraZeneca Rare Diseases, Alnylam Pharmaceuticals, Amgen, AOP Health, Argenx, Ascendis Pharma, Avanzanite Bioscience, Biocryst, Biogen, BioMarin, Chiesi, CSL Behring, Esteve, Grupo Italfarmaco, Immunocore, Insmed, Ipsen, Kyowa Kirin, Lundbeck, Merck, Novartis, Pharma&, PTC Therapeutics, Sanofi, Sobi, Takeda, UCB, Ultragenyx Pharmaceutical y Vertex.

aelmhu.es.

CONTACTO DE PRENSA
Comunicación AELMHU • comunicacion@aelmhu.es • +34 660 375 557

© 2026 AELMHU