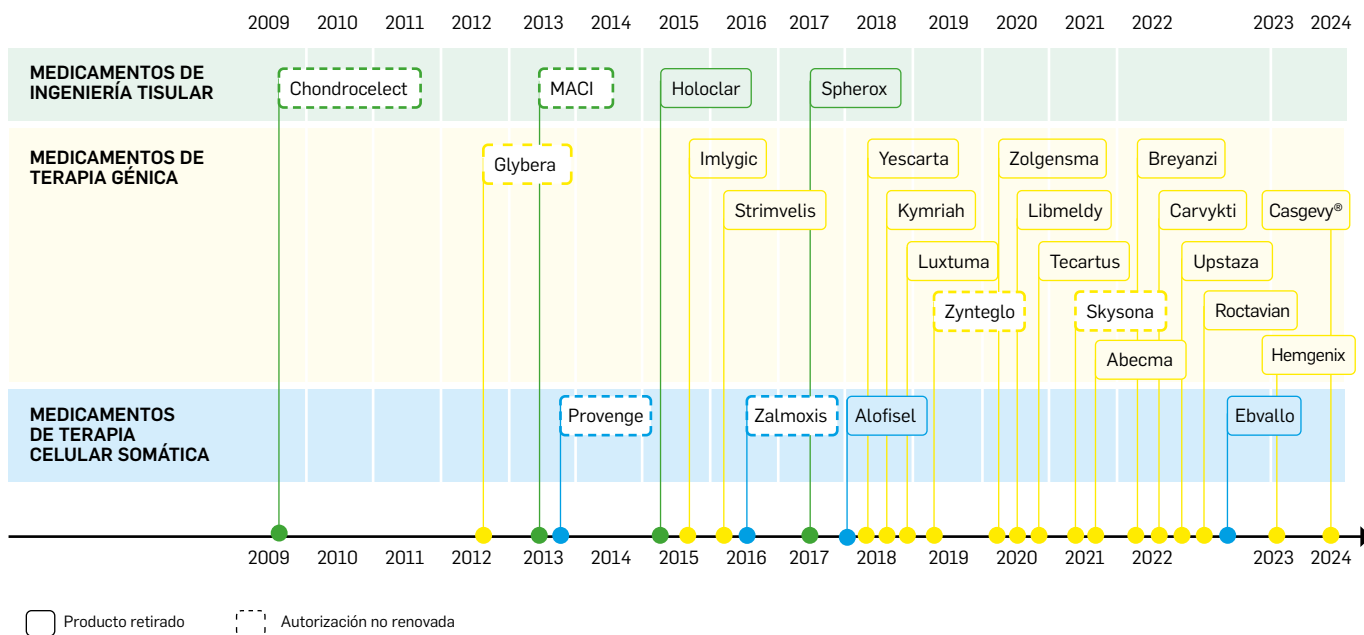


Medicamentos de terapia avanzada aprobados en el periodo 2009-2024



Nuevos medicamentos huérfanos

Los medicamentos huérfanos son aquéllos que sirven para diagnosticar, prevenir o tratar enfermedades raras de carácter muy grave o con riesgo para la vida. En la Unión Europea, la calificación de enfermedad rara se aplica a todas aquellas que no afectan

a más de 5 de cada 10 000 personas. La **designación** de un medicamento como huérfano no garantiza su uso en la condición designada y no implica necesariamente que el producto satisfaga los criterios de eficacia, seguridad y calidad necesarios para la

concesión de la **autorización de comercialización**. Como para cualquier medicamento, estos criterios solo pueden ser evaluados una vez que la solicitud de autorización de comercialización haya sido presentada.

Nuevos medicamentos huérfanos autorizados en los últimos doce meses

| Medicamento® | Principio activo | Laboratorio | Autorización | Indicación |
|--------------|---|------------------------|--------------|---|
| Adzynma | Versión recombinante de ADAMTS13 (apadamtasa α y cinaxadamtasa α) | Takeda | 01/08/2024 | Púrpura trombótica trombocitopénica congénita |
| Qalsody | Tofersén | Biogen | 29/05/2024 | Esclerosis lateral amiotrófica asociada a mutación en el gen <i>SOD</i> |
| Fabhalta | Iptacopán | Novartis | 17/05/2024 | Hemoglobinuria paroxística nocturna |
| Filspari | Esparsentán | Vifor France | 19/04/2024 | Nefropatía primaria por IgA |
| Voydeya | Danicopán | Alexion Europe | 19/04/2024 | Hemoglobinuria paroxística nocturna |
| Zynyz | Retifanlimab | Incyte Biosciences | 19/04/2024 | Carcinoma de células de Merkel |
| Casgevy | Exagamglogene autotemcel | Vertex Pharmaceuticals | 09/02/2024 | Beta talasemia y anemia de células falciformes |
| Skyclarys | Omaaveloxolona | Reata Ireland Ltd. | 09/02/2024 | Ataxia de Friedreich |

| Medicamento® | Principio activo | Laboratorio | Autorización | Indicación |
|--------------|------------------|-------------------|--------------|--|
| Omjijara | Momelotinib | GSK | 25/01/2024 | Esplenomegalia en pacientes con anemia y mielofibrosis |
| Rystiggo | Rozanolixizumab | UCB Pharma | 05/01/2024 | Miastenia gravis generalizada |
| Spexotras | Trametinib | Novartis | 05/01/2024 | Glioma de bajo y alto grado |
| Rezzayo | Rezafungina | Mundipharma GmbH | 22/12/2023 | Candidiasis invasiva en adultos |
| Loargys | Pegzilarginasa | Immedica Pharma | 15/12/2023 | Deficiencia de arginasa 1 (ARG1-D) |
| Agamree | Vamorolona | Santhera Pharmac. | 14/12/2023 | Distrofia muscular de Duchenne |
| Tepkinly | Epcoritamab | AbbVie | 22/09/2023 | Linfoma difuso de células grandes B |
| Tevimbra | Tislelizumab | Novartis | 15/09/2023 | Carcinoma esofágico de células escamosas |

Instituciones y redes españolas

- ▶ **Instituto de Salud Carlos III (Ministerio de Ciencia e Innovación):**
Instituto de Investigación en Enfermedades Raras:
<https://www.isciii.es/QuienesSomos/CentrosPropios/IIER/Paginas/default.aspx>
CIBERER (Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras): <https://www.ciberer.es/>
- ▶ **Instituto de Mayores y Servicios Sociales (IMSERSO, Ministerio de Derechos Sociales y Agenda 2030):**
http://www.imserso.es/imserso_01/index.htm
- ▶ **Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER):** www.enfermedades-raras.org
- ▶ **Asociaciones de pacientes en España:** <https://enfermedades-raras.org/index.php/asociaciones/nuestros-socios>

Instituciones y redes europeas

- ▶ **Agencia Europea de Medicamentos (EMA; Europea Medicines Agency).** Apartado de Medicamentos Huérfanos (inglés):
<https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview>
<https://www.ema.europa.eu/en/committees/committee-orphan-medicinal-products-comp>
- ▶ **Comisión Europea:** web oficial de la Comisión Europea sobre enfermedades raras y medicamentos huérfanos (español).
http://ec.europa.eu/health/rare_diseases/policy/index_es.htm
- ▶ **Orphanet:** Portal de información oficial de la Unión Europea sobre enfermedades raras y medicamentos huérfanos (español).
<http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php?lng=ES>
- ▶ **Eurordis:** Federación Europea de Asociaciones de Pacientes con Enfermedades Raras (español). <http://www.eurordis.org/es>

Otras instituciones y redes internacionales

- ▶ **Food & Drug Administration (FDA, Estados Unidos).** Apartado de Medicamentos Huérfanos (inglés):
<http://www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/default.htm>
- ▶ **Pharmaceuticals & Medical Devices Agency.** Agencia de Medicamentos y Dispositivos Médicos, de Japón (inglés):
<http://www.pmda.go.jp/english/index.html>