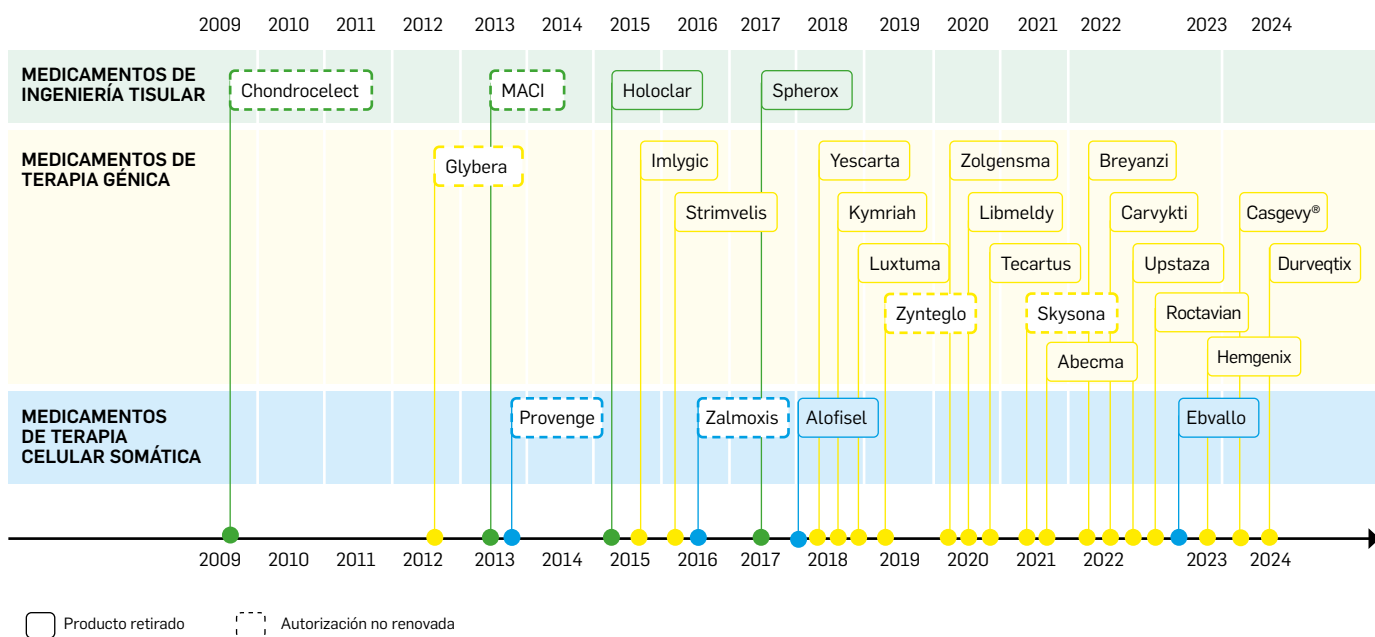


Medicamentos de terapia avanzada aprobados en el periodo 2009-2024



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
Vyloy	Zolbetuximab	Astellas Pharma	19/09/2024	Adenocarcinoma gástrico o de la unión gastroesofágica HER2 negativo
Iqirvo	Elafibránor	Ipsen Pharma	19/09/2024	Colangitis biliar primaria
Winrevair	Sotatercept	Merck	22/08/2024	Hipertensión arterial pulmonar
Adzyna	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

Medicamento®	Principio activo	Laboratorio	Autorización	Indicación
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	Omaveloxolona	Reata Ireland Ltd.	09/02/2024	Ataxia de Friedreich
Omijara	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

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>