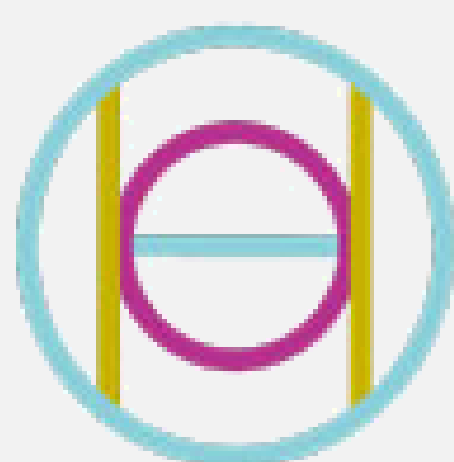


Orphar - SEFH Horizon Scanning Medicamentos Huérfanos

*Tercer informe
Junio 2021*



orpharsefh

Grupo de trabajo de Enfermedades Raras
y Medicamentos Huérfanos de la **sefh**

En colaboración con:



Contenidos



Introducción



Metodología



Resultados



Sección 1: Horizon Scanning



Sección 2: Descripción de los nuevos medicamentos y nuevas indicaciones con CHMP positivo pendientes de decisión CE



Sección 3: Descripción de los medicamentos y nuevas indicaciones autorizados por la CE pendientes de comercialización en España



Conclusiones



Referencias



Anexo: Descripción de nuevos medicamentos y nuevas indicaciones excluidos desde el último Horizon Scanning



orpharsefh

Grupo de trabajo de Enfermedades Raras
y Medicamentos Huérfanos de la **sefh**



Introducción



Introducción

La necesidad de conocer la llegada de nuevos medicamentos huérfanos es estratégica para su adecuado análisis, evaluación y posicionamiento en este específico contexto terapéutico. Disponer de esta información en términos de valor es vital para una toma de decisiones que debe ser rápida tanto en la evaluación, como en la decisión de la financiación pública en el Sistema Nacional de Salud.

El presente informe hace una revisión tanto de los nuevos medicamentos huérfanos como sus indicaciones, excluyendo los oncológicos, que podrían comercializarse en España a corto y medio plazo.

Previamente se presentaron dos informes con los datos de estos medicamentos actualizados hasta junio de 2020 y hasta diciembre de 2020. A continuación se presenta el tercer informe Horizon Scanning, el cual incluye estos datos actualizados hasta junio de 2021.

Es un informe dirigido a los decisores y profesionales sanitarios del Sistema Nacional de Salud en España, para permitirles anticiparse con tiempo suficiente a la innovación que próximamente podría ser introducida en España y por tanto colaborar en la planificación de los recursos necesarios para el acceso a los pacientes.

El grupo ORPHAR, grupo de trabajo de enfermedades raras y medicamentos huérfanos de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH), está comprometido en la evaluación y posicionamiento de nuevos medicamentos huérfanos para el Sistema Nacional de Salud español.

Personalmente me gustaría agradecer el apoyo técnico de Omakase Consulting en la realización del informe, así como su constante compromiso con la evaluación de las enfermedades raras y los medicamentos huérfanos.

Igualmente agradecer la confianza depositada por la SEFH en el desarrollo del presente trabajo.

José Luis Poveda Andrés

Coordinador del grupo de Enfermedades Raras
y Medicamentos Huérfanos de la SEFH



Objetivos

1. Identificación de todos los **nuevos medicamentos huérfanos** no oncológicos y **nuevas indicaciones** de medicamentos huérfanos en evaluación por la **Agencia Europea del Medicamento (EMA)**, hasta junio de 2021 y que podrían ser comercializados a corto y medio plazo en España (*Horizon Scanning*).

2. Proporcionar un **informe dinámico** y dirigido a los **profesionales y decisores sanitarios** para permitir **anticiparse a la innovación inmediata** que pueda introducirse en el Sistema Nacional de Salud a corto y medio plazo.



Metodología



Metodología

Medicamentos con procedimiento de evaluación acelerado PRIME y con procedimiento centralizado por el CHMP con posibilidades de comercialización en España: **ABCD**

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA



B. Medicamentos en evaluación por el CHMP



C. Opinión positiva del CHMP



D. Autorización CE



Autorización en España
(AEMPS)



**Comercialización en
España**





Metodología

Identificación de medicamentos

Se clasifican los medicamentos en:

- ▶ **A. Medicamentos en el programa PRIME* de la EMA (*Priority medicines*):** se ha comprobado la sección PRIME de la página web de la EMA. Esta sección contiene un documento en formato Excel donde se recogen los medicamentos seleccionados como PRIME que se actualiza mensualmente.
- ▶ **B. Medicamentos en evaluación por el CHMP:** se utilizó la sección "*Medicines under evaluation*" en la página web de la EMA. La lista de solicitudes de nuevos medicamentos que están siendo evaluados se actualiza mensualmente y está dividida por huérfanos y no huérfanos.
- ▶ **C. Medicamentos con opinión positiva del CHMP pendientes de la decisión de la Comisión Europea (CE):** se han revisado todas las reuniones llevadas a cabo por el CHMP para identificar todos los nuevos medicamentos y nuevas indicaciones con opinión positiva del CHMP, identificando específicamente aquellos pendientes de decisión de la CE (*EC pending decision*).
- ▶ **D. Medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España:** se utilizó el buscador de la EMA filtrando por categoría (human), fecha de autorización de comercialización (último año) y por designación huérfana. Para completar con los medicamentos no comercializados en España con autorización CE anterior a ese periodo, se consultó la base de datos de medicamentos huérfanos de Omakase Consulting. Adicionalmente, se consultaron las agendas y resúmenes de las reuniones del CHMP.

*PRIME es un esquema lanzado por la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) para mejorar el apoyo al desarrollo de medicamentos que atienden una necesidad médica no cubierta. Este esquema voluntario se basa en una interacción mejorada y un diálogo temprano con los desarrolladores de medicamentos prometedores, para optimizar los planes de desarrollo y acelerar la evaluación para que estos medicamentos puedan llegar a los pacientes lo antes posible.



Metodología

Periodo temporal de búsqueda

El Orphar-SEFH Horizon Scanning incluye todos los medicamentos huérfanos en evaluación por la EMA hasta junio de 2021

Criterios de inclusión y exclusión de medicamentos

Se han incluido nuevos medicamentos huérfanos:

1. Incluidos en el programa **PRIME** de la EMA.
2. En evaluación por el **CHMP**.
3. Con **opinión positiva** del **CHMP** pendientes de la **decisión de CE**.
4. **Autorizados por la CE** y pendientes de comercialización en España.

Se han incluido nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos no oncológicos:

1. Con **opinión positiva** del **CHMP** pendientes de **decisión CE**.
2. **Autorizadas por la CE** y no comercializadas en España.

Se han incluido medicamentos huérfanos autorizados por la CE, pendientes de comercialización en España y en estudio de financiación con una propuesta de resolución negativa por parte de la CIMP.

Se han excluido:

1. Medicamentos **oncológicos**.
2. Medicamentos **genéricos**.
3. Medicamentos **biosimilares**.
4. Medicamentos con **CHMP negativo** o que ha sido retirados del **proceso de evaluación**.
5. Medicamentos con **resolución de financiación**.
6. Medicamentos con **resolución de no financiación**.



Metodología

Bases de datos empleadas

Se han identificado los **nuevos medicamentos huérfanos y nuevas indicaciones** que potencialmente puedan solicitar P&R en España a través de una revisión las páginas web de la **Agencia Europea del Medicamento (EMA)**, la **Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios (AEMPS)**, el **Ministerio de Sanidad (MSCBS)** y la base de datos de medicamentos huérfanos de Omakase Consulting.

- ▶ El **principal motor de búsqueda** fue la página web de la **EMA** para la identificación de los nuevos medicamentos huérfanos y nuevas indicaciones en el programa PRIME de la EMA, en evaluación por el CHMP, con CHMP positivo pendientes de la decisión CE y autorizados por la CE pendientes de comercialización en España.

The screenshot displays the EMA website interface. At the top, the logo and name 'EUROPEAN MEDICINES AGENCY' are visible. Below the navigation bar, the 'Medicines' section is active. A search bar is present with a magnifying glass icon and a 'Search' button. The search results show 8859 results, sorted by 'Medicine name (A-Z)'. The first result is 'Human medicine European public assessment report (EPAR): Abasaglar (previously Abasria)'. The second result is 'Human medicine European public assessment report (EPAR): Abilify'. The third result is 'Opinion/decision on a Paediatric investigation plan (PIP): Abilify, aripiprazole'. A magnifying glass icon is overlaid on the search results.



Metodología

Bases de datos empleadas

- ▶ En la página web de la **AEMPS** y del **MSCBS**, específicamente en **CIMA** (Centro de Información de Medicamentos de la AEMPS), en los últimos acuerdos de la **CIPM** (Comisión Interministerial de Precios de los Medicamentos) y en **BIFIMED** (Buscador de la Información sobre la situación de Financiación de los Medicamentos), se revisaron los medicamentos autorizados por la CE para conocer su estado en España.

Principio activo o asociación *

(+) Añadir Principio

Nombre o CN del medicamento

Situación de financiación

Fecha de alta en financiación (dd/mm/aaaa)

Fecha No Financiación/Exclusión (dd/mm/aaaa)

Tipo de medicamento

Genérico Biosimilar Huérfano Biológico

Buscar Limpiar

* El principio activo se refiere a la forma base del principio activo

ENCUENTRA TU MEDICAMENTO AQUÍ

Busca por medicamento, principio activo, código nacional o número de registro

Buscador para profesionales sanitarios >>

Medicamentos y gluten

Info. Prospecto

Para complementar la búsqueda, principalmente en los medicamentos en fases más tempranas de desarrollo, se ha consultado fuentes de literatura gris.



Metodología

Presentación de los resultados

En primer lugar se presenta un **resumen con el número de nuevos medicamentos y nuevas indicaciones** que hay de cada **categoría**:

- ▶ **A.** Medicamentos en el programa **PRIME** de la EMA
- ▶ **B.** Medicamentos en **evaluación por el CHMP**
- ▶ **C.** Nuevos medicamentos y nuevas indicaciones con **opinión positiva del CHMP pendientes de la decisión de la CE**
- ▶ **D.** Nuevos medicamentos y nuevas indicaciones con **autorización por la CE pendientes de comercialización en España**

Los medicamentos se presentarán ordenados **según fecha de inicio del proceso de evaluación EMA** en cada una de las categorías en formato tabla.

Los nuevos medicamentos identificados en cada categoría desde enero de 2021 hasta junio de 2021, aparecerán señalados en gris.

La parte final del informe incluye la **descripción del EPAR de los C. nuevos medicamentos y nuevas indicaciones con CHMP positivo y pendientes de decisión CE** y también las **D. autorizados por la CE pendientes de comercialización en España**.

Finalmente se presentan unas **conclusiones** del informe.



Resultados



Resultados

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA

38

Medicamentos en el programa PRIME

B. Medicamentos en evaluación por el CHMP

15

Nuevos medicamentos en evaluación por el CHMP

C. Medicamentos y nuevas indicaciones con opinión positiva CHMP pendientes de decisión CE

4

Medicamentos con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en este periodo

D. Medicamentos y nuevas indicaciones autorizados por la CE pendientes de comercialización en España

26

Nuevos medicamentos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España

3

Nuevas indicaciones de medicamentos autorizadas por la CE pendientes de comercialización en España

3

Nuevos medicamentos autorizados por la CE, pendientes de comercialización en España y en estudio de financiación con propuesta de resolución de precio negativa por la CIMP



Sección 1: Horizon Scanning



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA

- En junio 2021 hay un total de **38 medicamentos** en el programa **PRIME** de la EMA, **20** de ellos están clasificados como **productos de terapia avanzada (ATMP)**¹.

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Seladelpar (MBX-8025)	Químico	Oral	Cymabay Ireland Limited	Octubre 2016	Gastro-Enterología-Hepatología	Colangitis primaria biliar
Tabelecleucel (Linfocitos T citotóxicos alógenos específicos del virus Epstein-Barr, ATA129)	Terapia avanzada	Parenteral	Atara Biotherapeutics Ireland Limited	Octubre 2016	Hematología y hemostasia	Virus Epstein-Barr asociado a enfermedad linfoproliferativa post-trasplante
Fidanacogene elaparvovec (PF-06838435/SPK-9001)	Terapia avanzada	Parenteral	Amsterdam Molecular Therapeutics BV	Febrero 2017	Hematología y hemostasia	Hemofilia B
Etranacogene dezaparvovec (AMT-060, AMT-061)	Terapia avanzada	Parenteral	uniQure biopharma B.V.	Abril 2017	Hematología y hemostasia	Hemofilia B severa
Olipudase alfa	Biológico	Parenteral	Genzyme Europe BV	Mayo 2017	Endocrinología	Déficit de esfingomielinasa no neurológica
Inmunoglobulina G1 humana región constante ectodysplasia-A1 humana unida al dominio del receptor de fusión de proteínas	Biológico	Parenteral	Florence Porte Thomé, France	Octubre 2017	Dermatología	Displasia ectodermal hipohidrotica ligada al cromosoma X
Setrusumab	Biológico	Parenteral	Mereo Biopharma Ireland	Noviembre 2017	Otras	Osteogénesis imperfecta I, III y IV
Vector viral asociado a Adenovirus serotipo 8 que contiene el gen CNGB3 humano (AAV2/8-hCARp.hCNGB3)	Terapia avanzada	Oftalmológica	MeiraGTx B.V.	Febrero 2018	Oftalmología	Acromatopsia asociada a defectos en CNGB3
Vector viral adeno asociado serotipo 8 que contiene el gen MTM1 humano (AT132)	Terapia avanzada	Parenteral	Audentes Therapeutics Netherlands B.V.	Mayo 2018	Otras	Miopatía miotubular ligada al cromosoma X



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Tominersen (RO7234292)	Químico	Parenteral	Roche Registration GmbH	Julio 2018	Neurología	Enfermedad de Huntington
Células CD34+ autólogas transducidas con un vector lentiviral que codifica el gen de beta globina humana (OTL-300)	Terapia avanzada	Parenteral	Orchard Therapeutics Ltd	Septiembre 2018	Hematología y hemostasia	Beta talasemia
Serotipo S3 de vector viral adenoasociado recombinante que contiene un casete de expresión optimizado con codón que codifica la variante del factor IX de coagulación humana (FLT180a)	Terapia avanzada	Parenteral	Freeline Therapeutics	Febrero 2019	Hematología y hemostasia	Hemofilia B
Genéticamente modificado replicación incompetente herpes simplex virus-1 que expresa colágeno VII (KB103)	Terapia avanzada	Transdérmica	IDEA Innovative Drug European Associates	Marzo 2019	Dermatología	Epidermólisis distrófica Bullosa
Sepofarsen (QR-110)	Químico	Oftalmológica	ProQR Therapeutics IV BV	Julio 2019	Oftalmología	Amaurosis congénita de Leber
Vector de virus adenoasociado recombinante basado en el serotipo hu37 de AAV que contiene un genoma de ADN monocatenario que codifica una forma de FVIII humano (BAY2599023)	Terapia avanzada	Parenteral	Bayer HealthCare LLC	Octubre 2019	Hematología y hemostasia	Hemofilia A
Danicopan	Químico	Oral	Achillion Pharma.	Noviembre 2019	Hematología y hemostasia	Hemoglobinuria paroxística nocturna



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Células autólogas enriquecidas con CD34 + transducidas ex vivo con el vector lentiviral que porta el gen FANCA, PGK-FANCA-WPRE (RP-L102)	Terapia avanzada	Parenteral	Instituto de Salud Carlos III	Diciembre 2019	Hematología y hemostasia	Anemia Fanconi tipo A
Rebisufligene etisparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	Abeona Therapeutics	Diciembre 2019	Endocrinología	Mucopolisacaridosis tipo IIIA (Síndrome A Sanfilippo)
Linfocitos T alogénicos específicos de múltiples virus dirigidos contra el virus BK, el citomegalovirus, el virus del herpes humano-6, el virus de Epstein Barr y el adenovirus (ALVR-105)	Terapia avanzada	Parenteral	TMC pharma (EU) Limited	Enero 2020	E. Infecciosas	Infecciones severas por virus BK, citomegalovirus, virus herpes humano-6, Epstein Barr y adenovirus
PB2452	Biológico	Oral	PhaseBio Pharmaceuticals Inc.	Enero 2020	Cardiovascular	Reversión de los efectos antiplaquetarios del ticagrelor en pacientes con hemorragia grave incontrolada o potencialmente mortal o que requieren cirugía urgente o procedimiento invasivo
Vector viral asociado a adenovirus serotipo 5 que contiene el gen RPGR humano	Terapia avanzada	Oftalmológica	MeiraGTx B.V.	Febrero 2020	Oftalmología	Retinitis pigmentosa ligada al cromosoma X
Sotatercept	Biológico	Parenteral	Acceleron Pharma	Abril 2020	Cardiovascular	Hipertensión arterial pulmonar (HAP)
Bomedemstat	Químico	Oral	Imago BioSciences	Julio 2020	Hematología y hemostasia	Mielofibrosis
AT-GTX-501 (vector viral adenoasociado, serotipo 9, que contiene el gen CLN6 humano)	Terapia avanzada	Parenteral	Amicus Therapeutics	Septiembre 2020	Neurología	Lipofuscinosis ceroide neuronal infantil tardía variante 6 (vLINCL6). Enfermedad de Batten



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Población autóloga enriquecida con células CD34 + de pacientes con anemia de células falciformes que contiene células madre hematopoyéticas transducidas con el vector lentiviral BB305 que codifica el gen de la globina β A-T87Q (bb1111)	Terapia avanzada	Parenteral	bluebird bio (Netherlands) B.V.	Septiembre 2020	Hematología y Hemostasia	Anemia de células falciformes
CTX001 (células madre hematopoyéticas CD34 + autólogas con una región potenciadora de eritroides editada por CRISPR del gen BCL11A)	Terapia avanzada	Parenteral	Vertex Pharmaceuticals	Septiembre 2020	Hematología-Hemostasia	Anemia de células falciformes
OTL-203 (células madre y progenitoras hematopoyéticas CD34 + autólogas modificadas genéticamente con el vector lentiviral (IDUA LV) que codifica el gen de la alfa-L-iduronidasa)	Terapia avanzada	Parenteral	Orchad Therapeutics	Septiembre 2020	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Mucopolisacaridosis tipo I (MPS-1)
Iptacopan	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	Septiembre 2020	Hematología y Hemostasia	Glomerulopatía C3 (nefropatía inducida por el complemento)
VLA1553	Biológico	Transdérmica	Valneva Austria GmbH	Octubre 2020	Vacunas	Enfermedad de Chikungunya
Efruxifermin (EFX)	Biológico	Parenteral	Akero Therapeutics	Octubre 2020	Gastroenterología-Hepatología	Esteatohepatitis no alcohólica
PF-06823859	Biológico	Parenteral	Pfizer	Octubre 2020	Inmuno-reumatología trasplante	Dermatomiositis
Brensocatib	Químico	Oral	Insmad Netherlands B.V.	Noviembre 2020	Neumología-alergología	Bronquiectasias por fibrosis no quística
VAC18193	Biológico	Parenteral	NA	Noviembre 2020	Vacunas	Enfermedad del tracto respiratorio inferior (LRTD) causada por RSV en adultos



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
ARU-1801	Terapia avanzada	Parenteral	Clinical Technology Centre (Ireland) Limited	Enero 2021	Hematología-Hemostasia	Anemia de células falciformes
Apitegromab	Biológico	Parenteral	Yes Pharmaceutical Development Services GmbH	Marzo 2021	Neurología	Tratamiento de la atrofia muscular espinal
RP-L201	Terapia avanzada	Parenteral	Rocket Pharmaceuticals Inc	Marzo 2021	Inmuno-reumatología trasplante	Tratamiento de la deficiencia de adhesión de leucocitos-I
CTX001 (células madre hematopoyéticas CD34 + autólogas con una región potenciadora de eritroides editada por CRISPR del gen BCL11A)	Terapia avanzada	Parenteral	Vertex Pharmaceuticals	Abril 2021	Hematología-Hemostasia	Tratamiento de la beta-talasemia dependiente de transfusiones
CTI-1601	Biológico	Parenteral	YES Pharmaceutical Development Services GmbH	Mayo 2021	Neurología	Tratamiento de la Ataxia de Friedreich



Sección 1: Horizon Scanning

B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en junio 2021

- ▶ En junio 2021 hay un total de **15 medicamentos en evaluación por el CHMP**, **2 de ellos** están clasificados como **productos de terapia avanzada (ATMP)²**.

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Eladocagene exuparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	PTC Therapeutics	Enero 2020	Neurología	Deficiencia de L-aminoácido decarboxilasa aromática (AADC)
Lonafarnib	Químico	Oral	Eigerbio Europe Limited	Abril 2020	E. infecciosas	Virus hepatitis delta
Glucarpidase	Biológico	Parenteral	Protherics PLC	Agosto 2020	Otras	Tratamiento para reducir la concentración plasmática tóxica de MTX en adultos y niños con eliminación retardada de MTX o con riesgo de toxicidad por MTX
Avalglucosidase alfa	Biológico	Parenteral	Genzyme Europe B.V.	Octubre 2020	Tracto alimentario y metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de almacenamiento de glucógeno tipo II (enfermedad de Pompe)
Pegcetacoplan	Biológico	Parenteral	Apellis Ireland Limited	Octubre 2020	Hematología y hemostasia	Hemoglobinuria Paroxística Nocturna
Avacopan	Químico	Oral	ChemoCentryx Inc.	Octubre 2020	Inmunosupresores	Glomerulopatía C3
Lenadogene nolparvovec	Terapia avanzada	Oftalmológica	GenSight Biologics S.A.	Octubre 2020	Oftalmología	Neuropatía Óptica Hereditaria de Leber
Lonapegsomatropin	Biológico	Parenteral	Ascendis Pharma Endocrinology Division A/S	Octubre 2020	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas	Tratamiento de la deficiencia de hormona del crecimiento
Maralixibat (cloruro)	Químico	Oral	Granzer Regulatory Consulting & Services	Noviembre 2020	Gastroenterología-Hepatología	Tratamiento de la atresia biliar



Sección 1: Horizon Scanning

B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en junio 2021

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Arimoclomol	Químico	Oral	Orphazyme ApS	Noviembre 2020	Neurología	Enfermedad de Niemann Pick
Artesunate	Químico	Parenteral	Amivas Ireland Limited	Diciembre 2020	Antiprotozoos	Paludismo
Voxelotor (GBT440)	Químico	Oral	SynteractHCR Deutschland GmbH	Enero 2021	Hematología-Hemostasia	Anemia de células falciformes
Somatogon	Biológico	Parenteral	OPKO Health	Febrero 2021	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas	Tratamiento de pacientes pediátricos con deficiencia de la hormona de crecimiento (DHC)
Birch bark extract	Biológico	Tópica	Birken GmbH	Marzo 2021	Medicamento para heridas y úlceras	Tratamiento de la epidermolisis ampollosa
Palovarotene	Químico	Oral	PPD Global Ltd	Mayo 2021	Aparato músculo esquelético	Tratamiento de osteocondromas múltiples



Sección 1: Horizon Scanning

C. Medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en junio 2021

- ▶ En junio 2021 hay 4 nuevos medicamentos con opinión positiva CHMP que están pendientes de decisión por parte de la CE³.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Opinión positiva CHMP	Área terapéutica	Indicación
Skysona	Elivaldogene autotemcel	Terapia avanzada	Parenteral	Bluebird bio (Netherlands) B.V	Mayo 2021	Neurología	Adrenoleucodistrofia cerebral temprana
Bylvay	Odevixibat (A4250)	Químico	Oral	Albireo AB, Sweden	Mayo 2021	Gastroenterología-Hepatología	Colestasia intrahepática progresiva familiar
Imcivree	Setmelanotide	Químico	Parenteral	Rhythm Pharmaceuticals, Inc.	Mayo 2021	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Tratamiento de la obesidad y el control del hambre asociado a los trastornos de deficiencia de la vía del receptor MC4R
Voxzogo	Vosoritide	Biológico	Parenteral	BioMarin International Limited	Junio 2021	Otras	Acondroplasia

En junio de 2021 no hay nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE.



Sección 1: Horizon Scanning

D. Medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2021

- ▶ En junio 2021, hay **26 nuevos medicamentos huérfanos** autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España, **6** de ellos con **aprobación condicional**, **3** con **autorización en circunstancias excepcionales** y **17** con **aprobación normal**^{3,4,5}.

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Brineura ^{***}	Cerliponase alfa	Biológico	Parenteral	BioMarin International Limited	Mayo 2017	Neurología	Lipofuscinosis ceroide neuronal tipo 2
Cablivi [®]	Caplacizumab	Biológico	Parenteral	Ablynx NV	Agosto 2018	Hematología y hemostasia	Púrpura trombocitopénica trombótica
Mepsevii ^{®**}	Vestronidase alfa	Biológico	Parenteral	MYR Ultragenyx Germany GmbH	Agosto 2018	Endocrinología	Mucopolisacaridosis VII
Palynziq [®]	Pegvaliase	Biológico	Oral	BioMarin International Limited	Mayo 2019	Tracto alimentario y metabolismo	Fenilcetonurias
Waylivra [®]	Volanesorsen	Químico	Parenteral	SOBI	Mayo 2019	Cardiovascular	Hiperlipoproteinemia tipo I
Zynteglo ^{®*}	Autologous CD34+ cells encoding β A-T87Q-globin gene	Terapia avanzada	Oral	Bluebird bio (Netherlands) B.V.	Mayo 2019	Hematología y hemostasia	Beta- Talasemia
Epidyolex [®]	Cannabidiol	Biológico	Oral	GW Pharma (International) B.V.	Septiembre 2019	Neurología	Síndrome Lennox Gastaut epilepsia mioclónica

Alta de financiación en BIFIMED el 1/07/2021

*Medicamentos con **aprobación condicional** por parte de la CE. Se otorgó en interés de la salud pública porque el medicamento aborda una necesidad médica no cubierta y el beneficio de la disponibilidad inmediata supera el riesgo de datos menos exhaustivos que los normalmente requeridos.

Medicamento **autorizado en circunstancias excepcionales, porque el solicitante no pudo proporcionar datos completos sobre la eficacia y seguridad del medicamento en condiciones normales de uso. Esto puede suceder porque la condición a tratar es rara o porque la recopilación de información completa no es posible o no es ética.



Sección 1: Horizon Scanning

D. Medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2021

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Isturisa®	Osilodrostat	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	Enero 2020	Endocrinología	Síndrome de Cushing
Givlaari®	Givosiran (sodium)	Químico	Parenteral	Alnylam Netherlands B.V.	Marzo 2020	Tracto alimentario y metabolismo	Porfiria hepática aguda
Trepulmix®	Treprostinil (sodium)	Químico	Parenteral	SciPharm Sàrl	Abril 2020	Cardiología y neumología	Hipertensión pulmonar tromboembólica crónica
Zolgensma®*	Onasemnogene abeparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	AveXis EU Limited	Mayo 2020	Aparato músculo esquelético	Atrofia espinal muscular
Reblozyl®	Luspatercept	Biológico	Parenteral	Celgene Europe B.V.	Junio 2020	Hematología y hemostasia	Anemia dependiente de transfusiones asociada con síndromes mielodisplásicos o beta-talasemia
Dovprela®*	Pretomanid	Químico	Oral	Global Alliance for TB Drug Development	Junio 2020	E. Infecciosas	Tuberculosis en combinación con bedaquiline y linezolid
Hepcludex®*	Bulevirtide (acetate)	Químico	Parenteral	MYR GmbH	Julio 2020	E. infecciosas	Virus de la hepatitis delta
Kaftrio®	elexacaftor / tezacaftor / ivacaftor	Químico	Oral	Vertex Pharmaceuticals	Agosto 2020	Neumología	Fibrosis quística

*Medicamentos con **aprobación condicional** por parte de la CE. Se otorgó en interés de la salud pública porque el medicamento aborda una necesidad médica no cubierta y el beneficio de la disponibilidad inmediata supera el riesgo de datos menos exhaustivos que los normalmente requeridos.

Medicamento **autorizado en circunstancias excepcionales, porque el solicitante no pudo proporcionar datos completos sobre la eficacia y seguridad del medicamento en condiciones normales de uso. Esto puede suceder porque la condición a tratar es rara o porque la recopilación de información completa no es posible o no es ética.



Sección 1: Horizon Scanning

D. Medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2021

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Idefirix ^{®*}	Imlifidase	Químico	Parenteral	Hansa Biopharma AB	Agosto 2020	Nefrología	Enfermedad de la membrana basal antiglomerular
Arikayce liposomal [®]	Amikacin (sulfate)	Químico	Inhalatoria	Insmed Netherlands B.V.	Octubre 2020	E. infecciosas	Enfermedad pulmonar por micobacterias no tuberculosa
Adakveo ^{®*}	Crizanlizumab	Biológico	Parenteral	Novartis Europharm Limited	Octubre 2020	Hematología -Hemostasia	Prevención de crisis vasooclusivas recurrentes (COV) en pacientes con anemia de células falciformes
Obiltoxaximab SFL ^{®***}	Obiltoxaximab	Biológico	Parenteral	SFL Regulatory Services GmbH	Noviembre 2020	E. infecciosas	Ántrax
Oxlumo [®]	Lumasiran	Químico	Parenteral	Alnylam Netherlands	Noviembre 2020	Uro-nefrología	Hiperoxaluria tipo I
Fintepla [®]	Fenfluramina	Químico	Oral	Zogenix International Ltd	Diciembre 2020	Neurología	Síndrome de Dravet
Libmeldy [®]	Células CD34+ autólogas transfectadas con un vector lentivírico que contienen el ADNc de la arilsulfatasa A humana	Terapia avanzada	Parenteral	Orchard Therapeutics Limited	Diciembre 2020	Neurología	Leucodistrofia metacromática

*Medicamentos con **aprobación condicional** por parte de la CE. Se otorgó en interés de la salud pública porque el medicamento aborda una necesidad médica no cubierta y el beneficio de la disponibilidad inmediata supera el riesgo de datos menos exhaustivos que los normalmente requeridos.

Medicamento **autorizado en circunstancias excepcionales, porque el solicitante no pudo proporcionar datos completos sobre la eficacia y seguridad del medicamento en condiciones normales de uso. Esto puede suceder porque la condición a tratar es rara o porque la recopilación de información completa no es posible o no es ética.



Sección 1: Horizon Scanning

D. Medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2021

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Inrebic®	Fedratinib dihidrocloruro monohidrato	Químico	Oral	Celgene Europe BV	Febrero 2021	Trastornos mielo-proliferativos	Esplenomegalia o los síntomas relacionados con la enfermedad
Evrysdi®	Risdiplam	Químico	Oral	Roche Registration GmbH	Marzo 2021	Neurología	Atrofia muscular espinal
Sogroya®	Somapacitan	Biológico	Parenteral	Novo Nordisk A/S	Marzo 2021	Endocrinología	Tratamiento de la deficiencia de la hormona del crecimiento
Enspryng®	Satralizumab	Biológico	Parenteral	Roche Registration GmbH	Junio 2021	Oftalmología	Trastorno del espectro de la neuromielitis óptica

*Medicamentos con **aprobación condicional** por parte de la CE. Se otorgó en interés de la salud pública porque el medicamento aborda una necesidad médica no cubierta y el beneficio de la disponibilidad inmediata supera el riesgo de datos menos exhaustivos que los normalmente requeridos.

Medicamento **autorizado en circunstancias excepcionales, porque el solicitante no pudo proporcionar datos completos sobre la eficacia y seguridad del medicamento en condiciones normales de uso. Esto puede suceder porque la condición a tratar es rara o porque la recopilación de información completa no es posible o no es ética.



Sección 1: Horizon Scanning

D. Nuevas indicaciones autorizadas por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2021

- ▶ En junio 2021, hay 3 nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos autorizadas por la CE y pendientes de comercialización en España^{3,4}.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Vyndaqel®	Tafamidis	Químico	Oral	Pfizer Europe MA EEIG	Febrero 2019	Neurología	Amiloidosis por transtiretina en pacientes con miocardiopatía
Kalydeco®	Ivacaftor	Químico	Oral	Vertex Pharmaceuticals	Diciembre 2019	Neumología	Fibrosis quística
Sirturo®	Bedaquiline fumarate	Químico	Oral	Janssen-Cilag International N.V.	Enero 2020	E. Infecciosas	Tuberculosis multirresistente



Sección 1: Horizon Scanning

D. Medicamentos huérfanos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España y en estudio de financiación con propuesta de resolución de precio negativa en junio 2021

- ▶ En junio 2021, hay **3 nuevos medicamentos huérfanos** autorizados por la CE, pendientes de comercialización en España y en estudio de financiación con una propuesta de resolución de precio negativa por parte de la CIMP^{6,7}.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Propuesta resolución CIMP	Área terapéutica	Indicación
Raxone ^{***}	Idebenone	Químico	Oral	Santhera Pharmaceuticals	Septiembre 2015	Abril 2021	Oftalmología	Neuropatía óptica hereditaria de Leber
Verkazia [®]	Ciclosporin	Químico	Oftalmológica	Santen Oy	Julio 2018	Abril 2021	Oftalmología	Queratoconjuntivitis vernal severa
Lamzede ^{® **}	Velmanase alfa	Biológico	Parenteral	Chiesi Farmaceutici S.p.A.	Marzo 2018	Mayo 2021	Endocrinología	Alfa mannosidosis

No financiado por resolución en BIFIMED el 1/07/2021

*Medicamentos con **aprobación condicional** por parte de la CE. Se otorgó en interés de la salud pública porque el medicamento aborda una necesidad médica no cubierta y el beneficio de la disponibilidad inmediata supera el riesgo de datos menos exhaustivos que los normalmente requeridos.

Medicamento **autorizado en circunstancias excepcionales, porque el solicitante no pudo proporcionar datos completos sobre la eficacia y seguridad del medicamento en condiciones normales de uso. Esto puede suceder porque la condición a tratar es rara o porque la recopilación de información completa no es posible o no es ética.

CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 30/06/2021

BIFIMED. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 30/06/2021



Sección 2:

Descripción de los nuevos medicamentos y nuevas indicaciones con CHMP positivo pendientes de decisión CE.



Sección 2: Descripción de los nuevos medicamentos con opinión positiva CHMP pendientes de decisión CE

C. Nuevos medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP pendientes de autorización CE en junio 2021

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Skysona® (Elivaldogene autotemcel) ⁸	<p>Indicación: Skysona® está indicado para el tratamiento de la adrenoleucodistrofia cerebral temprana en pacientes menores de 18 años, con una mutación genética ABCD1, y por los que no disponen de un donante de células madre hematopoyéticas compatible con HLA.</p> <p>Eficacia: Skysona® ha demostrado beneficios clínicamente significativos al preservar la función motora y la capacidad de comunicación, y mejora la supervivencia en la etapa temprana de la enfermedad.</p> <p>Seguridad: La reacción adversa más grave atribuida a Skysona® fue la pancitopenia.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/skysona

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Bylvay® (Odevixibat) ⁹	<p>Indicación: Bylvay® está indicado para el tratamiento de la colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC) en pacientes de 6 meses o mayor.</p> <p>Eficacia: Bylvay® ha demostrado beneficio en su capacidad para reducir la concentración de ácidos biliares en el suero de pacientes con colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC).</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son diarrea, dolor abdominal, diarrea hemorrágica, heces blandas y hepatomegalia.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/bylvay



Sección 2: Descripción de los nuevos medicamentos con opinión positiva CHMP pendientes de decisión CE

C. Nuevos medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP pendientes de autorización CE en junio 2021

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Imcivree® (Setmelanotide) ¹⁰	<p>Indicación: Imcivree® está indicado para el tratamiento de la obesidad y el control del hambre asociado a la pérdida de la función proopiomelanocortina bialélica (COMP) genéticamente confirmada, incluyendo deficiencia de PCSK1 o deficiencia del receptor de leptina bialélica (LEPR) en adultos y niños de 6 años o más.</p> <p>Eficacia: Imcivree® ha demostrado beneficios en su capacidad para lograr una pérdida de peso igual o superior al 10% después de 1 año de tratamiento y demostrar una mejora clínicamente significativa en el manejo del hambre en pacientes con obesidad por deficiencia de proopiomelanocortina (POMC) y en pacientes con obesidad por deficiencia de receptor de leptina (LEPR).</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son hiperpigmentación, reacción en el lugar de la inyección, náuseas y dolor de cabeza.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/imcivree

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Voxzogo® (Vosoritide) ¹¹	<p>Indicación: Voxzogo® está indicado para el tratamiento de la acondroplasia en pacientes mayores de 2 años cuyas epífisis no están cerradas.</p> <p>Eficacia: Voxzogo® ha demostrado beneficio en su capacidad para proporcionar mejoras significativas en el crecimiento, agregando un promedio de 1,57 cm de altura al año en pacientes tratados con Voxzogo 15 microgramos/kg/día. El aumento observado en el crecimiento se produjo proporcionalmente tanto en la columna vertebral como en las extremidades inferiores.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son hipotensión, reacciones en el lugar de la inyección y vómitos.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/voxzogo



**Sección 3:
Descripción de los
nuevos medicamentos y
nuevas indicaciones
autorizados por la CE
pendientes de
comercialización en
España.**



Sección 3: Descripción de los nuevos medicamentos autorizados por la CE

D. Nuevos medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2021

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Evrysdi® (Risdiplam) ¹²	<p>Indicación: Evrysdi® está indicado para el tratamiento de la atrofia muscular espinal (AME) 5q en pacientes de dos meses o mayores, con un diagnóstico clínico de AME Tipo 1, Tipo 2 o Tipo 3, o que tienen entre una y cuatro copias del gen SMN2.</p> <p>Eficacia: Evrysdi® demostró ser eficaz para mejorar la función motora en 2 estudios principales en pacientes con AME. Un estudio realizado en 41 bebés de 2 a 7 meses con AME tipo 1 (el tipo más grave) muestra que el 29% (12 de 41) de los bebés pudieron sentarse sin apoyo durante más de 5 segundos después de 12 meses de tratamiento con Evrysdi®. Observaciones anteriores de bebés con AME encontraron que nunca pueden sentarse sin apoyo.</p> <p>Un segundo estudio en 180 pacientes con AME tipo 2 y 3 hasta los 25 años mostró una leve mejora en la función motora en pacientes tratados con Evrysdi®.</p> <p>Seguridad: Los efectos adversos más comunes con Evrysdi® (que puede afectar a más de 1 de cada 10 personas) son fiebre, diarrea, sarpullido y el dolor de cabeza.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/evrysdi

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Sogroya® (Somapacitan) ¹³	<p>Indicación: Sogroya® está indicado como sustitución de la hormona del crecimiento (GH, por sus siglas en inglés) endógena en adultos con deficiencia de la hormona del crecimiento (AGHD, por sus siglas en inglés).</p> <p>Eficacia: Un estudio principal en el que participaron 300 adultos con deficiencia de la hormona de crecimiento mostró que Sogroya® era más eficaz que el placebo (un tratamiento ficticio) para reducir la cantidad de grasa corporal del tronco (grasa alrededor del estómago y abdomen) después de 34 semanas de tratamiento. El estudio también mostro que el tratamiento semanal con Sogroya® tuvo un efecto comparable sobre la grasa corporal del tronco a las inyecciones diarias de somatropina (otro medicamento para la deficiencia de la hormona de crecimiento).</p> <p>Seguridad: El efecto adverso más frecuentes de Sogroya® (que puede afectar a más de 1 de cada 10 personas) es el dolor de cabeza. El edema periférico e insuficiencia adrenocortical pueden afectar hasta 1 de cada 10 personas.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/sogroya



Sección 3: Descripción de los nuevos medicamentos autorizados por la CE

D. Nuevos medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2021

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Enspryng® (Satralizumab) ¹⁴	<p>Indicación: Enspryng® está indicado en monoterapia o en combinación con tratamiento inmunosupresor (TIS) para el tratamiento del trastorno del espectro de la neuromielitis óptica (TENMO) en pacientes adultos y adolescentes mayores de 12 años con anticuerpos positivos IgG frente a la acuaporina-4 (AQP4-IgG).</p> <p>Eficacia: Enspryng® demostró ser eficaz para aumentar las recaídas en pacientes con NMSOD en dos estudios principales.</p> <p>El primero estudio, en el que participaron 55 pacientes de 12 años o más con anticuerpos AQP4 que estaban recibiendo terapia inmunosupresora mostró que el 92% de los participantes que tomaban Enspryng® junto con la terapia inmunosupresora no tuvo recaídas después de 48 semanas, en comparación con el 60% de los participantes utilizando un tratamiento placebo y terapia inmunosupresora.</p> <p>Un segundo estudio en el que participaron 64 adultos con anticuerpos AQP4 mostró que el 83% de los pacientes que tomaban Enspryng® no tuvieron recaídas después de 48 semanas en comparación con el 55% de los que tomaron un placebo.</p> <p>Seguridad: Los efectos adversos más frecuentes de Enspryng® (que pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son dolor de cabeza, artralgia (dolor en las articulaciones), hiperlipidemia (niveles altos de grasas en la sangre), niveles disminuidos de glóbulos blancos y reacciones relacionadas con la inyección.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/enspryng

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Inrebic® (Fedratinib dihidrocloruro monohidrato) ¹⁰	<p>Indicación: Inrebic® está indicado para el tratamiento de la esplenomegalia o los síntomas relacionados con la enfermedad en pacientes adultos con mielofibrosis primaria, mielofibrosis posterior a policitemia vera o mielofibrosis posterior a la trombocitopenia esencial que no han sido tratados previamente con el inhibidor JAK o que han sido tratados con ruxolitinib.</p> <p>Eficacia: Inrebic® ha demostrado beneficios en su capacidad para reducir el tamaño del bazo al menos un 35% y para tratar otros síntomas en pacientes adultos con mielofibrosis primaria, y mielofibrosis posterior a la policitemia vera o trombocitopenia esencial.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son diarrea, náuseas, vómitos, trombocitopenia, anemia y hemorragias.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/inrebic



Conclusiones



Conclusiones

El presente informe se ha pensado para **facilitar e informar a los decisores y profesionales sanitarios** acerca de la **innovación que podría ser introducida en el Sistema Nacional de Salud español a corto y medio plazo.**

Se han identificado todos los medicamentos huérfanos no oncológicos en evaluación por procedimiento centralizado en la EMA **hasta junio 2021 según cuatro categorías:**

- ▶ **A.** La EMA está evaluando a través de su programa **PRIME un total de 38 medicamentos huérfanos** no oncológicos, de los cuales **20 son terapias avanzadas, 7 son sustancias químicas y 11 productos biológicos.**
 - El **área terapéutica con más medicamentos en el programa PRIME** de la EMA es el área de **Hematología y Hemostasia, con un total de 14 (37%) medicamentos** seguida de las áreas de Neurología con un total de 4 (11%) medicamentos, Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo con un total de 3(8%) medicamentos, y Oftalmología con 3(8%) medicamentos.
- ▶ **B.** De los **15 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP, sólo 2 son terapias avanzadas, 7 son sustancias químicas y 6 son productos biológicos.**
 - Las **áreas terapéuticas de la que hay más medicamentos en evaluación por el CHMP** es Neurología, con un total de 2 (13%) medicamentos, y el área de Hematología y Hemostasia, con un total de 2(13%) medicamentos.
- **C.** De los 4 nuevos medicamentos con **opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE, 2 son sustancias químicas, 1 es terapia avanzada, y el otro es un producto biológico.**
- ▶ **D.** De los **26 nuevos medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España en junio 2021, 3 son terapias avanzadas, 13 son sustancias químicas y 10 biológicos.** Además, **6 de los 25** recibieron la **aprobación de manera condicional, y 3 autorización en circunstancias excepcionales.**
 - De los **3 medicamentos huérfanos con nuevas indicaciones autorizadas por la CE** en este periodo, los **3 son sustancias químicas.**
 - De los **3 medicamentos en estudio de financiación 2 son sustancias químicas y 1 es un producto biológico.**

En posteriores **informes semestrales** se incluirán los cambios experimentados por los medicamentos en cada categoría y así como los nuevos medicamentos que inicien evaluación por la EMA.



Referencias



Referencias

1. EMA. PRIME: priority medicines. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines> Consultado el: 30/06/2021
2. EMA. Medicines under evaluation. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-under-evaluation> Consultado el: 30/06/2021
3. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 30/06/2021
4. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 30/06/2021
5. Base de datos interna de medicamentos huérfanos de Omakase Consulting. Consultado el 30/06/2021
6. BIFIMED. Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 30/06/2021
7. Resoluciones CIMP. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm>. Consultado el 30/06/2021
8. EMA Skysona. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/skysona>
9. EMA Bylvay. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/bylvay>
10. EMA Imcivree. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/imcivree>
11. EMA Voxzogo. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/voxzogo>
12. EMA Evrysdi. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/evrysdi>
13. EMA Sogroya. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/sogroya>
14. EMA Enspryng. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/enspryng>
15. EMA Inrebic. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/inrebic>



Anexo:
**Descripción de los
nuevos medicamentos y
nuevas indicaciones
excluidos desde el
último Horizon Scanning**



Anexo: Descripción de nuevos medicamentos y nuevas indicaciones excluidos desde el último Horizon Scanning

- ▶ En junio 2021, hay un total de 7 nuevos medicamentos que estaban incluidos en el informe actualizado hasta diciembre de 2020 y han sido **excluidos en este informe**, por los motivos que se exponen a continuación:

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Laboratorio	Área terapéutica	Indicación	Motivo y fecha de exclusión nuevo medicamento
Ácido Quenodesoxicólico Leadiant® **	Ácido quenodesoxicólico	Químico	Leadiant GmbH	Neurología	Xantomatosis cerebrotendinosa	No financiado por resolución (Marzo 2021)
Takhzyro®	IgA1-lanadelumab	Biológico	Shire Pharmaceuticals Ireland Ltd	Inmunología y trastornos alérgicos	Angioedema hereditario	Financiado (Marzo 2021)
Orladeyo®	Bertralstat (clorhidrato)	Químico	BioCryst Pharmaceutical Inc.	Hematología y hemostasia	Profilaxis de ataques de angioedema hereditario (AEH)	Retirada designación huérfana (Abril 2021)
Sibnaya®	Citrato de potasio monohidratado, Hidrogenocarbonato de potasio	Químico	Advicenne S.A.	Suplementos minerales	Acidosis tubular renal distal (ATRD)	Retirada designación huérfana (Abril 2021)
Efmody®	Hydrocortisone	Químico	Diurnal Europe B.V..	Corticosteroides para uso sistémico	Tratamiento de la hiperplasia suprarrenal congénita (HAC) en adolescentes de 12 años o más y adultos	Retirada designación huérfana (Mayo 2021)
Luxturna®	Voretigene neparvovec	Terapia avanzada	Spark Therapeutics Ireland Ltd	Oftalmología	Atrofia óptica hereditaria de Leber, Retinitis pigmentosa	Financiado (Mayo 2021)
Namuscla®	Mexiletine hcl	Químico	Lupin Europe GmbH	Neurología	Miotonía no distrófica	No financiado por resolución (Junio 2021)

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 30/06/2021

2. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 30/06/2021

3. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 30/06/2021



Anexo: Descripción de nuevos medicamentos y nuevas indicaciones excluidos desde el último Horizon Scanning

- ▶ En junio 2021, hay 1 **nueva indicación de medicamento** que ha sido **excluida desde la última actualización** de este documento en diciembre 2020. Los motivos de esta exclusión han sido recogidos en la tabla que se muestra a continuación.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Laboratorio	Área terapéutica	Indicación	Motivo de exclusión nueva indicación
Soliris®	Eculizumab	Biológico	Alexion	Oftalmología	Enfermedad de espectro de neuromielitis óptica	Comercializado en España

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 30/06/2021

2. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 30/06/2021

EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 30/06/2021