



Horizon Scanning

Medicamentos Huérfanos **NO** Oncológicos

X informe

DICIEMBRE 2024



orpharsefh

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

En colaboración con:

sanofi

OMAKASE
consulting

sefh
Sociedad Española
de Farmacia Hospitalaria

Contenidos



Introducción



Metodología



Resultados



Sección 1: Horizon Scanning



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



Sección 3: Descripción de los medicamentos 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



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 de sus nuevas indicaciones, excluyendo los oncológicos, que podrían comercializarse en España a corto y medio plazo.

A continuación, se presenta el décimo informe Horizon Scanning, el cual incluye estos datos actualizados hasta diciembre de 2024.

Se trata de un informe dirigido a los decisores y profesionales sanitarios del Sistema Nacional de Salud en España a nivel nacional y regional, 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.

Mónica Climente Martí

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



Objetivos

1. Identificación los **nuevos medicamentos huérfanos** no oncológicos y las **nuevas indicaciones** en evaluación por la **Agencia Europea del Medicamento (EMA)**, hasta diciembre 2024 y que podrían ser comercializados a corto y medio plazo en España (*Horizon Scanning*).

2. Proporcionar un **informe dinámico** y dirigido a los **decisiones y profesionales sanitarios** a nivel nacional y regional 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**



Identificación de medicamentos

Se clasifican los medicamentos en:

- ▶ **A. Medicamentos que están 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. *Última actualización el 20 de noviembre 2024.*
- ▶ **B. Medicamentos en evaluación por el CHMP:** se utilizó la sección “*Medicines under evaluation*” de la página web de la EMA. La lista de solicitudes de nuevos medicamentos que están siendo evaluados se actualiza mensualmente y está dividida entre huérfanos y no huérfanos. *Última actualización el 2 de diciembre 2024.*
- ▶ **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 por la CE (*EC pending decision*). *Última actualización el 13 de diciembre 2024.*
- ▶ **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 CIMP. *Última actualización el 20 de noviembre 2024.*

*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 no oncológicos en evaluación por la EMA hasta diciembre del 2024.

Criterios de inclusión y exclusión de medicamentos

Se han incluido nuevos medicamentos huérfanos no oncológicos:

1. Incluidos en el programa **PRIME** de la EMA.
2. En evaluación por el **CHMP**.
3. Con **opinión positiva** del **CHMP** pendientes de decisión por la **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 financiados 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 por parte de la CIMP.

Se han excluido:

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



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 de 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 que están en el programa PRIME de la EMA, en evaluación por el CHMP, con opinión CHMP positiva pendientes de decisión por la CE, y los 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)' for 'Insulin glargine, Diabetes Mellitus', with a date of authorisation of 09/09/2014. The second result is 'Human medicine European public assessment report (EPAR): Abilify' for 'Aripiprazole, Schizophrenia, Bipolar Disorder', with a date of authorisation of 04/06/2004. A magnifying glass icon is overlaid on the bottom right of the screenshot.



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 >>

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



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 que están 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 decisión por la CE**
- ▶ **D.** Nuevos medicamentos y nuevas indicaciones **autorizados por la CE pendientes de comercialización en España**

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

Los nuevos medicamentos identificados en cada categoría desde **julio 2024 hasta diciembre 2024** aparecerán señalados en gris.

La parte final del informe incluye la **descripción del EPAR de los C. Nuevos medicamentos con CHMP positivo y pendientes de decisión por la CE y D. Nuevos medicamentos 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

34

Medicamentos en el programa PRIME

B. Medicamentos en evaluación por el CHMP

16

Medicamentos en evaluación por el CHMP

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

5

Medicamentos con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión por la CE

1

Nueva indicación con opinión positiva del CHMP pendiente de decisión por la CE

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

30

Medicamentos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España

3

Nuevas indicaciones de medicamentos autorizadas por la CE actualmente no financiadas en España

0

Medicamentos autorizados por la CE, pendientes de comercialización en España y en estudio de financiación con propuesta de resolución de precio por la Comisión Interministerial de Precios (CIMP)



Sección 1: Horizon Scanning



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en diciembre 2024

- ▶ En diciembre 2024, hay un total de **34 medicamentos en el programa PRIME de la EMA**, 18 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
Setrusumab (anticuerpo monoclonal humanizado IgG2 lambda recombinante contra la esclerostina humana, BPS804)	Biológico	Parenteral	Mereo Biopharma Ireland	noviembre-17	Otros	Osteogénesis imperfecta I, III y IV
Vector viral asociado a Adenovirus de serotipo 8 que contiene el gen CNGB3 humano (AAV2/8-hCARp.hCNGB3)	Terapia avanzada	Oftalmológica	MeiraGTx B.V.	febrero-18	Oftalmología	Acromatopsia asociada a defectos en CNGB3
Vector viral adeno asociado serotipo 8 que contiene el gen MTM1 humano (AT132) resamirigene bilparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	Audentes Therapeutics Netherlands B.V.	mayo-18	Otros	Miopatía miotubular ligada al cromosoma X
Tominersen (RO7234292)	Químico	Parenteral	Roche Registration GmbH	julio-18	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-18	Hematología-Hemostasia	Betatalasemia dependiente de transfusiones
Sepofarsen (QR-110)	Químico	Oftalmológica	ProQR Therapeutics IV B.V.	julio-19	Oftalmología	Amaurosis congénita de Leber
Rebisufligene etisparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	Abeona Therapeutics Inc	diciembre-19	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Mucopolisacaridosis tipo IIIA (Síndrome de Sanfilippo)



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en diciembre 2024

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Linfocitos T alogénicos multivíricos específicos 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	Allovir International DAC	enero-20	Enfermedades infecciosas	Infecciones graves por virus BK, citomegalovirus, virus del herpes humano 6, virus de Epstein Barr y / o adenovirus en receptores de TCMH alogénico
Vector viral asociado a adenovirus serotipo 5 que contiene el gen RPGR humano	Terapia avanzada	Parenteral	Janssen-Cilag International N.V.	febrero-20	Oftalmología	Retinitis pigmentaria ligada al cromosoma X
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-20	Endocrinología- Ginecología- Fertilidad- Metabolismo	Mucopolisacaridos is tipo I (MPS-1)
PF-06823859	Biológico	Parenteral	Pfizer Europe MA EEIG	octubre-20	Inmuno-reumatología transplante	Dermatomiositis
Apitegromab	Biológico	Parenteral	Pharmaceutical Development Services GmbH	marzo-21	Neurología	Atrofia muscular espinal
RP-L201	Terapia avanzada	Parenteral	Rocket Pharmaceuticals Inc	marzo-21	Inmuno-reumatología transplante	Deficiencia de adhesión de leucocitos-I
CTI-1601	Biológico	Parenteral	Pharmaceutical Development Services GmbH	mayo-21	Neurología	Ataxia de Friedreich
MB-107	Terapia avanzada	Parenteral	Mustang Bio	julio-21	Inmuno-reumatología transplante	Inmunodeficiencia combinada grave ligada al cromosoma X (XSCID) en lactantes recién diagnosticados
Pabinafusp alfa (JR-141)	Biológico	Parenteral	JCR Pharmaceuticals Co	octubre-21	Endocrinología- Ginecología- Fertilidad- Metabolismo	Mucopolisacaridos is tipo II (MPS II)
BCX9250	Químico	Oral	BioCryst Pharmaceuticals, Inc.	abril-22	Trastornos musculoesqueléticos y del tejido conectivo	Fibrodisplasia osificante progresiva
DNL310	Biológico	Parenteral	Denali Therapeutics Inc	mayo-22	Endocrinología- Ginecología- Fertilidad- Metabolismo	Mucopolisacaridos is tipo II



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en diciembre 2024

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Inaxaplin	Químico	Oral	Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited	mayo-22	Uro-nefrología	Enfermedad renal mediada por la apolipoproteína L1
Pariglasgene brecaparvovec (DTX401)	Terapia avanzada	Parenteral	Ultragenyx Germany GmbH	septiembre-22	Endocrinología- Ginecología- Fertilidad- Metabolismo	Enfermedad de almacenamiento de glucógeno tipo Ia (GSDIa, enfermedad de von Gierke)
Nicardipine	Químico	Parenteral	Bit Pharma GmbH	octubre-22	Neurología	Hemorragia subaracnoidea no traumática en pacientes sometidos a cirugía
FBX-101	Terapia avanzada	Parenteral	Propharma Group The Netherlands B.V.	diciembre-22	Neurología	Enfermedad de Krabbe/leucodistrofia de células globoides
AGTC-501 (laruparetigene zovaparvovec)	Terapia avanzada	Parenteral	Beacon Therapeutics	abril-23	Oftalmología	Retinitis pigmentaria ligada al cromosoma X
RP-A501	Terapia avanzada	Parenteral	Rocket Pharmaceuticals	mayo-23	Cardiovascular	Enfermedad de Danon
RP-L301	Terapia avanzada	Parenteral	Rocket Pharmaceuticals, Inc.	julio-23	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Déficit de piruvato quinasa
ARN mensajero que codifica Cas9, ARN guía único dirigido al gen humano KLKB1	Terapia avanzada	Parenteral	<u>Pharma Gateway AB</u>	octubre-23	Enfermedades cardiovasculares	Angioedema hereditario
Elsunersen (PRAX-222)	Químico	Parenteral	Praxis Precision Medicines, Inc.	noviembre-23	Neurología	Encefalopatía epiléptica y del desarrollo SCN2A (SCN2A-DEE)



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en diciembre 2024

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
RGX-121	Terapia avanzada	Parenteral	REGENXBIO Inc	diciembre-23	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Mucopolisacaridos is tipo II
GTX 102	Químico	Parenteral	Ultragenyx Pharmaceutical Inc	enero-24	Trastornos congénitos, familiares y genéticos	Síndrome de Angelman
Isaralgagene civaparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	Sangamo Therapeutics	enero-24	Trastornos congénitos, familiares y genéticos	Enfermedad de Fabry
BJT-778 (mAb anti-HBsAg)	Biológico	Parenteral	Bluejay Therapeutics, Inc.	marzo-24	Enfermedades infecciosas	Infección por el virus de la hepatitis D crónica
FLT201	Terapia avanzada	Parenteral	Freeline Therapeutics	abril-24	Endocrinology - Gynaecology - Fertility - Metabolism	Enfermedad de Gaucher
JNT-517	Químico	Oral	Jnana Therapeutics	abril-24	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Hiperfenilalaninemia
Gallium (68Ga) boclatixafortide	Químico	Parenteral	Pentixapharm	octubre-24	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Diagnóstico del aldosteronismo primario



Sección 1: Horizon Scanning

B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en diciembre 2024

- ▶ En diciembre 2024, hay un total de **16 medicamentos en evaluación por el CHMP**, 4 de ellos está clasificado como **producto de terapia avanzada (ATMP)**².

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Leniolisib	Químico	Oral	Pharming Technologies B.V.	octubre-22	Inmunología-Reumatología-Trasplantes	Síndrome de la fosfoinositida 3-cinasa delta activada (APDS)
Givinostat	Químico	Oral	Italfarmaco S.p.A.	agosto-23	Neurología	Distrofia muscular de Duchenne
Elafibranor	Químico	Oral	Ipsen Pharma	octubre-23	Gastroenterología-Hepatología	Colangitis biliar primaria
Eplontersen	Químico	Parenteral	AstraZeneca AB	octubre-23	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Amiloidosis mediada por transtiretina
Marstacimab	Biológico	Parenteral	Pfizer Europe MA EEIG	octubre-23	Hematología-Hemostasia	Hemofilia congénita A y B
Troriluzole	Químico	Oral	Biohaven Bioscience Ireland Limited	octubre-23	Otros medicamentos del sistema nervioso	Ataxia espinocerebelosa
Beremagene geperpavec	Terapia avanzada	Tópica	Krystal Biotech, Inc.	noviembre-23	Dermatología	Epidermolisis bullosa distrófica
Garadacimab	Biológico	Parenteral	CSL Behring GmbH	noviembre-23	Hematología-Hemostaseología	Prevención de los ataques de angioedema hereditario



Sección 1: Horizon Scanning

B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en diciembre 2024

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Govorestat	Químico	Oral	Versitat Spain SL	diciembre-23	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Enfermedad de Charcot-Marie-Tooth
Diflunisal	Químico	Oral	AO Pharma AB	febrero-24	Analgésico	Amiloidosis ATTR
Mozafancogene autotemcel - Células autólogas enriquecidas con CD34+ transducidas ex vivo con un vector lentiviral portador del gen FANCA, PGK-FANCA-WPRE (RP-L102)	Terapia avanzada	Parenteral	Rocket Pharmaceuticals	marzo-24	Hematología-Hemostasia	Anemia de Fanconi tipo A
Sepiapterin	Químico	Oral	PTC Therapeutics	mayo-24	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Fenilcetonuria



Sección 1: Horizon Scanning

B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en diciembre 2024

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Deutivacaftor / Tezacaftor / Vanzacaftor	Químico	Oral	Vertex Pharmaceuticals	mayo-24	Otros medicamentos para el sistema respiratorio	Fibrosis quística
Delandistrogene moxeparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	Sarepta Therapeutics	junio-24	Otros medicamentos para los trastornos del sistema musculoesquelético	Distrofia muscular de Duchenne
Dorocubicel / Allogeneic umbilical cord-derived CD34-cells, non-expanded	Terapia avanzada	Parenteral	Gamida Cell	junio-24	Sustitutos de la sangre y soluciones de perfusión	Trasplante de progenitores hematopoyéticos
L-Acetylleucine	Químico	Oral	Teva Pharmaceuticals	junio-24	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Desequilibrio vestibular y vértigo



Sección 1: Horizon Scanning

C. Medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en diciembre 2024

- ▶ En diciembre 2024, hay 5 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
Hympavzi®	Marstacimab	Biológico	Parenteral	Pfizer	septiembre-24	Hemofilia A y B	Profilaxis rutinaria de episodios hemorrágicos en pacientes con hemofilia grave A y B
Wainzua®	eplontersen sodium	Biológico	Parenteral	AstraZeneca AB	octubre-24	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Amiloidosis hereditaria mediada por transtiretina (ATTRv)
Beyontra®	Acoramidis	Biológico	Parenteral	BridgeBio Europe B.V.	Diciembre-24	Terapia cardiaca	Amiloidosis por transtiretina de tipo salvaje o variante en pacientes adultos con miocardiopatía (ATTR-MC).
Seladelpar Gilead®	Seladelpar lisina dihidratado	Químico	Oral	Gilead Sciences Ireland UC.	Diciembre-24	Medicamento para la terapia biliar	Colangitis biliar primaria
Emcitate®	tiratricol	Químico	Oral	Rare Thyroid Therapeutics International AB	Diciembre-24	Tirotoxicosis, Trastornos Heredodegenerativos del Sistema Nervioso	Deficiencia de MCT8 (síndrome de Allan-Herndon-Dudley)



Sección 1: Horizon Scanning

C. Medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en diciembre 2024

- ▶ En diciembre 2024, hay 1 medicamento con **nueva presentación con opinión positiva CHMP** que está **pendiente de decisión** por parte de la **CE³**.

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Opinión positiva CHMP	Área terapéutica	Indicación
Cerdelga®	eliglustat	Químico	Oral	Sanofi B.V.	Octubre-24	Enfermedad de Gaucher	Enfermedad de Gaucher de tipo 1 (nueva presentación)



Sección 1: Horizon Scanning

D. Medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en diciembre 2024

- ▶ En diciembre 2024, hay **30 medicamentos huérfanos** autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España, **4** de ellos con **aprobación condicional**, **6** con **autorización en circunstancias excepcionales** y **20** con **aprobación normal**^{3,4,5}.

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Reblozyl®	luspatercept	Biológico	Parenteral	Bristol Myers Squibb Pharma EEIG	Junio-20	Otros preparados antianémicos	Anemia dependiente de transfusiones asociada con síndromes mielodisplásicos o beta-talasemia
Dovprela®*	pretomanid	Químico	Oral	Mylan Ireland Limited	Julio-20	Antimicobacterianas	Tuberculosis en combinación con bedaquiline y linezolid
Arikayce liposomal®	amikacin (sulfate)	Químico	Inhalatoria	Insmad Netherlands B.V.	Octubre-20	Antibacterianos de uso sistémico	Enfermedad pulmonar por micobacterias no tuberculosa causada por el complejo Mycobacterium avium
Nyxthracis®**	obiltoxaximab	Biológico	Parenteral	SFL Pharmaceuticals Deutschland GmbH	Noviembre-20	Sueros inmunes e inmunoglobulinas	Ántrax por inhalación debido al Bacillus anthracis
Artesunate Amivas®	Artesunate	Químico	Parenteral	Amivas Ireland Limited	Noviembre-21	Antiprotozoarios	Malaria severa
Skytrofa®	Lonapegsomatropin	Biológico	Parenteral	Ascendis Pharma Endocrinology Division A/S	Enero-22	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas y análogos	Deficiencia de hormona del crecimiento

*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 diciembre 2024

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Zokinvy®**	Lonafarnib	Químico	Oral	EigerBio Europe Limited	Julio-22	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Síndrome de progeria de Hutchinson-Gilford Laminopatías progeroides con deficiencia de procesamiento
Nulibry®	Fosdenopterin	Químico	Parenteral	TMC Pharma (EU) Limited	Septiembre-22	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Deficiencia de molibdeno-cofactor tipo A
Pyrukynd®	Mitapivat (sulfate)	Químico	Oral	Agios Netherlands B.V.	Noviembre-22	Otros agentes hematológicos	Deficiencia de piruvato quinasa
Enjaymo®	Sutimlimab	Biológico	Parenteral	Sanofi B.V.	Noviembre-22	Inmunosupresores	Anemia hemolítica en pacientes adultos con enfermedad de la aglutinina fría
Ebvallo®**	Tabelecleucel (Linfocitos T citotóxicos alogénicos específicos del virus Epstein-Barr, ATA129)	Terapia avanzada	Parenteral	Pierre Fabre Medicament	Diciembre-22	Trastornos linfoproliferativos	Virus Epstein-Barr asociado a enfermedad linfoproliferativa post-trasplante
Ztalmy®	Ganaxolone	Químico	Oral	Marinus Pharmaceuticals Inc.	Julio-23	Antiepilépticos	Trastorno por deficiencia de CDKL5

*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 diciembre 2024

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Yorvipath®	Palopegteriparatide	Químico	Parenteral	Ascendis Pharma Bone Diseases A/S	Noviembre-23	Homeostasis del calcio	Hipoparatiroidismo
Agamree®	Vamorolone	Químico	Oral	Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH	Diciembre-23	Otros medicamentos para los trastornos del sistema músculo-esquelético	Distrofia muscular de Duchenne
Loargys®**	Pegzilarginase	Biológico	Parenteral	Immedica Pharma AB	Diciembre-23	Endocrinología, ginecología-fertilidad, metabolismo	Tratamiento de la hiperargininemia
Rystiggo®	Rozanolixizumab	Biológico	Parenteral	UCB Pharma	Enero-24	Agente antineoplásico	Miastenia Gravis
Casgevy®*	Exagamglogene autotemcel-CTX001 (Células madre hematopoyéticas CD34+ autólogas con una región potenciadora eritroide del gen BCL11A editada por CRISPR)	Terapia avanzada	Parenteral	Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited	Febrero-24	Hematología-Hemostasia	Anemia de células falciformes
Skyclarys®	Omaveloxolone	Químico	Oral	Reata Ireland Limited	Febrero-24	Neurología	Ataxia de Friedreich
Voydeya®	Danicopan	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	Abril-24	Hematología-Hemostasia	Hemoglobinuria paroxística nocturna
Filspari®*	Sparsentan	Químico	Oral	Vifor France S.A.	Abril-24	Uro-nefrología	Nefropatía IgA primaria
Qalsody®**	Tofersen	Químico	Parenteral	Biogen Netherlands B.V.	Mayo-24	Neurología	Esclerosis lateral amiotrófica
Fabhalta®	Iptacopan	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	Mayo-24	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Glomerulopatía C3 (nefropatía inducida por el complemento)

*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 diciembre 2024

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Durveqtix/ Beqvez®	Fidanacogene elaparvovec (PF-06838435/SPK-9001)	Terapia avanzada	Parenteral	Pfizer Europe MA EEIG	Julio-24	Hematología-Hemostasia	Hemofilia B
Adzynma®**	Apadamtase alfa / Cinaxadamtase alfa (Recombinant human ADAMTS-13)	Biológico	Parenteral	Takeda Manufacturing Austria AG	Agosto-24	Hematología	Púrpura trombótica trombocitopénica
Akantior®	Polihexanide	Químico	Oftalmológica	S.I.F.I. Società Industria Farmaceutica Italiana S.p.A.	Agosto-24	Oftalmología	Queratitis por acanthamoeba
Winrevair®	Sotatercept	Biológico	Parenteral	Acceleron Pharma	Agosto-24	Cardiovascular	Hipertensión arterial pulmonar (HAP)
Iqirvo®*	Elafibranor	Químico	Oral	Ipsen Pharma	Septiembre-24	Terapia biliar e hígado	Colangitis biliar primaria

*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 diciembre 2024

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Takhzyro®	lanadelumab	Biológico	Parenteral	Takeda Pharmaceuticals International AG Ireland Branch	Noviembre 2018	Otros agentes hematológicos
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Prevención sistemática de ataques recurrentes de angioedema hereditario (AEH) en pacientes a partir de 2 años de edad				Septiembre 2023	Noviembre 2023	-

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Prevymis®	letermovir	Químico	Oral	Merck Sharp & Dohme B.V.	Enero 2018	Antivirales de uso sistémico
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Profilaxis de la enfermedad por CMV en adultos CMV-seronegativos que han recibido un trasplante renal de un donante CMV-seropositivo [D+/R-].				Octubre 2023	Diciembre 2023	-

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Revestive®	Teduglutide	Biológico	Parenteral	Takeda Pharmaceuticals International AG Ireland Branch	Agosto 2012	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Tratamiento de pacientes con síndrome de intestino corto (SBS) a partir de los 4 meses de edad gestacional corregida . Los pacientes deben estar estables tras un periodo de adaptación intestinal después de la cirugía				Abril 2023	Junio 2023	-



Sección 1: Horizon Scanning

D. Nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos autorizadas por la CE pendientes de comercialización en España y en estudio de financiación con propuesta de resolución de precio por parte de la CIMP en diciembre 2024

- ▶ En diciembre 2024, no hay nuevas indicaciones para ningún **medicamento huérfano** autorizadas por la CE, pendiente de comercialización en España y en estudio de financiación con una propuesta de resolución de precio por parte de la CIMP^{6,7}, respecto a julio 2024.

*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.html>

Consultado el 12 de julio 2024

BIFIMED. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 12 de julio 2024



Sección 2: Descripción de los nuevos medicamentos con CHMP positivo pendientes de decisión CE.



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

C. Nuevos medicamentos con opinión positiva del CHMP pendientes de autorización CE en diciembre 2024

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Hympavzi® (marstacimab)	<p>Indicación: Hympavzi está indicado para la profilaxis rutinaria de episodios hemorrágicos en pacientes de 12 años o más, con un peso mínimo de 35 kg, con: • hemofilia A grave (déficit congénito del factor VIII, FVIII < 1%) sin inhibidores del factor VIII, o • hemofilia B grave (déficit congénito del factor IX, FIX < 1%) sin inhibidores del factor IX.</p> <p>Eficacia: El beneficio de Hympavzi es la prevención de hemorragias en pacientes con hemofilia A grave o hemofilia B grave cuando se administra como profilaxis. Este beneficio se demostró en un estudio clínico de no inferioridad de 12 meses en el que se compararon los efectos de marstacimab sobre la frecuencia de las hemorragias con la profilaxis sistemática basada en factores.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes de Hympavzi son reacciones en el lugar de la inyección, dolor de cabeza, hipertensión y prurito.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-hympavzi_en.pdf

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Wainzua® (eplontersen sodium)	<p>Indicación: Wainzua está indicado para el tratamiento de la amiloidosis hereditaria mediada por transtiretina (ATTRv) en pacientes adultos con polineuropatía en estadio 1 o estadio 2.</p> <p>Eficacia: Wainzua ha mostrado efectos clínicamente relevantes tanto en los componentes neurológicos de la enfermedad como en la calidad de vida.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son la disminución de la vitamina A y los vómitos.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-wainzua_en.pdf



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

C. Nuevos medicamentos con opinión positiva del CHMP pendientes de autorización CE en diciembre 2024

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Beyontra® (acoramidis)	<p>Indicación: Beyontra está indicado para el tratamiento de la amiloidosis por transtiretina de tipo salvaje o variante en pacientes adultos con miocardiopatía (ATTR-MC).</p> <p>Eficacia: Los beneficios de BEYONTRTRA se demostraron en un estudio pivotal en el que participaron 632 participantes con miocardiopatía amiloide por transtiretina (ATTR-MC) e insuficiencia cardíaca NYHA Clase I-III, y síntomas actuales o previos de insuficiencia cardíaca. En comparación con placebo, el tratamiento con acoramidis resultó en una reducción significativa en la combinación jerárquica de mortalidad por todas las causas y frecuencia acumulada de hospitalización cardiovascular durante el período de tratamiento de 30 meses.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son diarrea y gota.</p>
Disponible en:	<p>https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-beyontra_en.pdf</p>

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Seladelpar Gilead® (seladelpar lisina dihidratado)	<p>Indicación: Seladelpar Gilead está indicado para el tratamiento de la colangitis biliar primaria (CBP) en combinación con ácido ursodesoxicólico (UDCA) en adultos que tienen una respuesta inadecuada al UDCA solo, o como monoterapia en aquellos que no pueden tolerar el UDCA.</p> <p>Eficacia: El beneficio de Seladelpar Gilead es su capacidad para reducir los niveles de fosfatasa alcalina y bilirrubina en adultos con CBP. Por lo tanto, se espera que Seladelpar Gilead tenga beneficios clínicos como el retraso en el desarrollo de fibrosis hepática, cirrosis, trasplante de hígado y muerte. Tras la autorización, la empresa que comercializa Seladelpar Gilead debe presentar más datos sobre su eficacia en términos de eventos clínicamente relevantes y seguridad.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más son dolor abdominal, dolor de cabeza, náuseas y distensión abdominal.</p>
Disponible en:	<p>https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-seladelpar-gilead_en.pdf</p>



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

C. Nuevos medicamentos con opinión positiva del CHMP pendientes de autorización CE en diciembre 2024

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Emcitate® (tiratricol)	<p>Indicación: Emcitate está indicado para el tratamiento de la tirotoxicosis periférica en pacientes con deficiencia del transportador de monocarboxilato 8 (MCT8) (Síndrome de Allan-Herndon-Dudley), desde el nacimiento.</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Emcitate son su capacidad para reducir la concentración sérica media de T3 y aliviar los síntomas de la tirotoxicosis periférica en pacientes con deficiencia de MCT8 (síndrome de Allan-Herndon-Dudley) después de 12 meses de tratamiento.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son sudoración excesiva, irritabilidad, ansiedad y pesadillas.</p>
Disponible en:	<p>https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-emcitate_en.pdf</p>



Sección 3: Descripción de los nuevos medicamentos 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 diciembre 2024

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Adzynma [®] (Apadamtase alfa / Cinaxadamtase alfa (Recombinant human ADAMTS-13))	<p>Indicación: Tratamiento de la púrpura trombótica trombocitopénica</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Adzynma como tratamiento preventivo para los episodios de TTP se evaluaron en un estudio principal en el que participaron 48 niños y adultos de hasta 70 años con cTTP grave. El estudio se dividió en tres periodos de 6 meses. Durante el primer período, los pacientes recibieron Adzynma o su tratamiento habitual (a menudo plasma fresco congelado) para prevenir episodios de TTP. Dependiendo de su programa de tratamiento previo, recibieron tratamiento una vez a la semana o cada dos semanas. Durante el segundo período, los pacientes que recibieron inicialmente su tratamiento habitual cambiaron a Adzynma y los que inicialmente recibieron Adzynma ahora recibieron su tratamiento habitual. Durante el tercer periodo, todos los pacientes tomaron Adzynma. Se produjo un episodio agudo de TTP en el grupo de pacientes que recibieron su tratamiento habitual durante el estudio y ninguno en el grupo que tomó Adzynma; debido a que este número fue bajo, no fue posible concluir si Adzynma puede tratar los episodios agudos de TTP. Sin embargo, el estudio mostró que otros síntomas de la enfermedad, como la trombocitopenia y los episodios de anemia hemolítica microangiopática, se observaron con menos frecuencia en los pacientes que recibieron Adzynma que en los pacientes que recibieron su tratamiento habitual.</p> <p>Los efectos secundarios más comunes incluyen dolor de cabeza, diarrea, mareos, infección del tracto respiratorio superior (nariz y garganta), náuseas (sensación de malestar) y migraña.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/adzynma

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Akantior [®] (Polihexanide)	<p>Indicación: Tratamiento de la queratitis por acanthamoeba</p> <p>Eficacia: En un estudio principal, se trató a adultos y niños con queratitis por Acanthamoeba sin antecedentes de tratamiento dirigido al organismo Acanthamoeba con Akantior administrado junto con placebo (un tratamiento ficticio) o un medicamento oftalmológico que contenía una dosis más baja de polihexanida, en comparación con la dosis de Akantior, en combinación con propamidina (un antiséptico que también se usa para tratar infecciones oculares causadas por bacterias).</p> <p>Los resultados del grupo tratado con Akantior también se compararon con los datos de estudios previos, identificados en la literatura, con pacientes con queratitis por Acanthamoeba que no recibieron tratamiento dirigido al organismo Acanthamoeba. Doce meses después de comenzar el estudio, alrededor del 85% de los pacientes (56 de 66 pacientes) que recibieron Akantior con placebo se curaron de la enfermedad 30 días después de suspender el tratamiento, en comparación con el 89% de los pacientes (54 de 61 pacientes) que recibieron la combinación de dosis más bajas de polihexanida y propamidina. Según lo identificado en la literatura, alrededor del 20% de los pacientes (11 de 56 pacientes) que no recibieron tratamiento dirigido al organismo Acanthamoeba se curaron.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios incluyen dolor ocular e hiperemia ocular. Los efectos secundarios más graves incluyen perforación de la córnea (pequeño desgarro o agujero en la capa frontal transparente del ojo), daño corneal que requiere un y discapacidad visual (visión reducida).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/akantior



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 diciembre 2024

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Winrevair [®] (Sotatercept)	<p>Indicación: Tratamiento de la hipertensión arterial pulmonar (HAP)</p> <p>Eficacia: Un estudio principal ha demostrado que Winrevair fue más eficaz que el placebo (un tratamiento ficticio) para mejorar la capacidad de los adultos con HAP para hacer ejercicio. El criterio principal de valoración de la eficacia fue la diferencia en la distancia que los pacientes podían caminar 6 minutos antes y después del tratamiento.</p> <p>En este estudio, en el que participaron 323 pacientes con HAP, después de 24 semanas de tratamiento, Winrevair, administrado además de otros medicamentos para la HAP, mejoró la distancia que los pacientes podían caminar en 6 minutos en alrededor de 34 metros, en comparación con 1 metro en los pacientes que recibieron placebo en lugar de Winrevair.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes incluyen dolor de cabeza, epistaxis (hemorragia nasal), telangiectasia (pequeños vasos sanguíneos rojos en la piel), diarrea, mareos, erupción cutánea y trombocitopenia (niveles bajos de plaquetas en la sangre). Los efectos adversos graves más incluyen trombocitopenia y epistaxis.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/winrevair

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Durveqtix [®] (fidanacogene elaparvovec)	<p>Indicación: DURVEQTIX está indicado para el tratamiento de la hemofilia B grave y moderadamente grave (deficiencia congénita del factor IX) en pacientes adultos sin antecedentes de inhibidores del factor IX y sin anticuerpos detectables contra la variante AAV del serotipo Rh74.</p> <p>Eficacia: El beneficio de Durveqtix es la reducción de los episodios hemorrágicos. En el ensayo clínico presentado, la mayoría de los pacientes tratados con Durveqtix experimentaron menos episodios hemorrágicos que antes del tratamiento, cuando tomaban la profilaxis estándar con factor IX. Tras la administración de Durveqtix, la mayoría de los pacientes ya no necesitaron terapia de sustitución del factor IX, y este beneficio se mantuvo durante al menos dos años.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes de Durveqtix son anomalías hepáticas (ALT y AST elevadas).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/durveqtix



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 diciembre 2024

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Iqirvo® (Elafibranor)	<p>Indicación: Tratamiento de la colangitis biliar primaria</p> <p>Eficacia: Iqirvo se comparó con placebo (un tratamiento ficticio) en un estudio principal en el que participaron 161 adultos con colangitis biliar primaria. La mayoría de los pacientes habían estado tomando UDCA durante al menos 1 año y continuaron tomándolo durante el estudio, pero algunos pacientes habían dejado de tomar UDCA debido a los efectos secundarios. El criterio de valoración de la eficacia se basó en el número de pacientes cuyos niveles sanguíneos de las sustancias ALP y bilirrubina (marcadores de daño hepático) disminuyeron a un nivel considerado normal (tanto para la FA como para la bilirrubina) y en al menos un 15% (para la FA) después de 1 año de tratamiento. El estudio demostró que Iqirvo fue más eficaz que el placebo para reducir los niveles sanguíneos de FA y bilirrubina. En general, los niveles disminuyeron en la cantidad requerida en alrededor del 51% (55 de 108) de los pacientes tratados con Iqirvo, en comparación con alrededor del 4% (2 de 53) de los pacientes tratados con placebo.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes incluyen dolor abdominal, diarrea, náuseas (sensación de malestar) y vómitos.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/iqirvo



Conclusiones



El presente informe se ha pensado para **facilitar e informar a los decisores y profesionales sanitarios a nivel nacional y regional** 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 diciembre 2024 según cuatro categorías:**

- ▶ A. La EMA está evaluando a través de su programa **PRIME un total de 34 medicamentos huérfanos** no oncológicos, de los cuales **18 son terapias avanzadas, 7 productos biológicos y 9 son sustancias químicas.**
 - El **área terapéutica con más medicamentos huérfanos en el programa PRIME** de la EMA es el área de **Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo** con un **total de 10 (34%) medicamentos.**
 - ❖ En este informe de diciembre 2024, se encuentra **1 nuevo medicamento huérfano en el programa PRIME.**
- ▶ B. De los **16 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP, 4 son terapias avanzadas, 10 son sustancias químicas y 2 es producto biológico.**
 - ❖ En el informe de julio 2024 se encontraban 15 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP, de los cuales **4 están autorizados por la Comisión Europea.**
- ▶ C. De los **5 medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP** pendiente de decisión por la CE, 3 son productos biológicos y 2 productos químicos.
 - ❖ En el informe de julio 2024, había **5 medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP, de los cuales 4 ya están aprobados por la CE y pendientes de comercialización en España.**
- ▶ D. De los **30 nuevos medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España** en diciembre 2024, **5 son terapias avanzadas, 8 son sustancias biológicas y 17 químicas.** Además, **4 de los 30** recibieron la **aprobación de manera condicional, y 6 autorización en circunstancias excepcionales.**
 - ❖ En el informe de julio 2024, había **26 medicamentos autorizados por la CE** pendientes de comercialización en España, de los cuales **1 ya ha obtenido financiación en España y 2 no han sido financiados.**



Referencias



Referencias

1. EMA. PRIME: priority medicines. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines> Consultado el: 13 de diciembre 2024
2. EMA. Medicines under evaluation. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-under-evaluation> Consultado el: 13 de diciembre 2024
3. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 12 de julio 2024
4. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 13 de diciembre 2024
5. Base de datos interna de medicamentos huérfanos de Omakase Consulting. Consultado el 12 de julio 2024
6. BIFIMED. Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 13 de diciembre 2024
7. Resoluciones CIMP. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm>. Consultado el 13 de diciembre 2024



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



Anexo: Descripción de medicamentos excluidos desde el último Horizon Scanning

- En diciembre 2024, hay un total de **12 medicamentos** que estaban incluidos en el informe actualizado hasta julio de 2024 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
Nezglyal®	Leriglitzone (hydrochloride)	Químico	Minoryx Therapeutics S.L.	Adrenoleukodystrophy	Tratamiento de la adrenoleucodistrofia cerebral	Opinión negativa CHMP 22/07/2024
Altuvoct®	Efanesoctocog alfa	Biológico	Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)	Hematología-Hemostaseología	Tratamiento de la hemofilia A	Financiado Diciembre-24
Imcivree®	Setmelanotide	Químico	Rhythm Pharmaceuticals Netherlands B.V.	Preparaciones contra la obesidad, excepto productos dietéticos	Obesidad y el control del hambre asociados a la deficiencia de pro-opiomelanocortin y del receptor leptina	Financiado Febrero-24 (Nueva indicación financiada)
Livmarli®	Maralixibat (cloruro)	Químico	Mirum Pharmaceuticals International B.V.	Otros medicamentos para la bilis	Colestasis intrahepática familiar progresiva (CIFP) en pacientes a partir de los 3 meses de edad.	Financiado Julio-24
Hepcludex®	bulevirtide	Biológico	Gilead Sciences Ireland UC	Hepatitis D	Hepatitis D crónica	Financiado Febrero-24
Kaftrio®	elexacaftor / tezacaftor / ivacaftor	Químico	Vertex Pharmaceuticals	Neumología	Combinada con ivacaftor para el tratamiento de la fibrosis quística en pacientes pediátricos de 2 años a menos de 6 años con al menos una mutación F508del en el gen regulador de la conductancia transmembrana de la FQ	Financiado Agosto-24
Oxbryta®	Voxelotor (GBT440)	Químico	Pfizer Europe MA EEIG	Otros agentes hematológicos	Anemia de células falciformes	Suspendido Octubre-24

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 12 de julio 2024

2. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 12 de julio 2024

3. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 12 de julio 2024



Anexo: Descripción de nuevas indicaciones excluidas desde el último Horizon Scanning

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Laboratorio	Área terapéutica	Indicación	Motivo y fecha de exclusión nuevo medicamento
Filsuvez®	Extracto seco de Birch bark	Biológico	Amryt Pharmaceuticals DAC	Preparados para el tratamiento de heridas y úlceras	Epidermólisis bullosa distrófica y de unión	No financiado Septiembre-24
Rezzayo®	Rezafungin (acetate)	Químico	Mundipharma GmbH	Antimicóticos de uso sistémico	Candidiasis invasiva en adultos	Financiado Diciembre-24
Hemgenix®	Etranacogén dezaparvovec	Terapia avanzada	CSL Behring	Factores de coagulación de la sangre	Hemofilia B grave y moderadamente grave	Financiado Noviembre-24
Soliris®	eculizumab	Biológico	Alexion Europe SAS	Neuromuscular	Miastenia gravis generalizada (MGg) refractaria en pacientes de 6 años en adelante con anticuerpos positivos frente a receptores de la acetilcolina (AChR).	No financiado (2024)
Voxzogo®	Vosoritide	Biológico	BioMarin International Limited	Fármacos para el tratamiento de enfermedades óseas	Tratamiento de la acondroplasia en pacientes de 4 meses de edad y mayores cuyas epífisis no se han cerrado	Financiado (2024)

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 12 de julio 2024

2. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 12 de julio 2024

3. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 12 de julio 2024