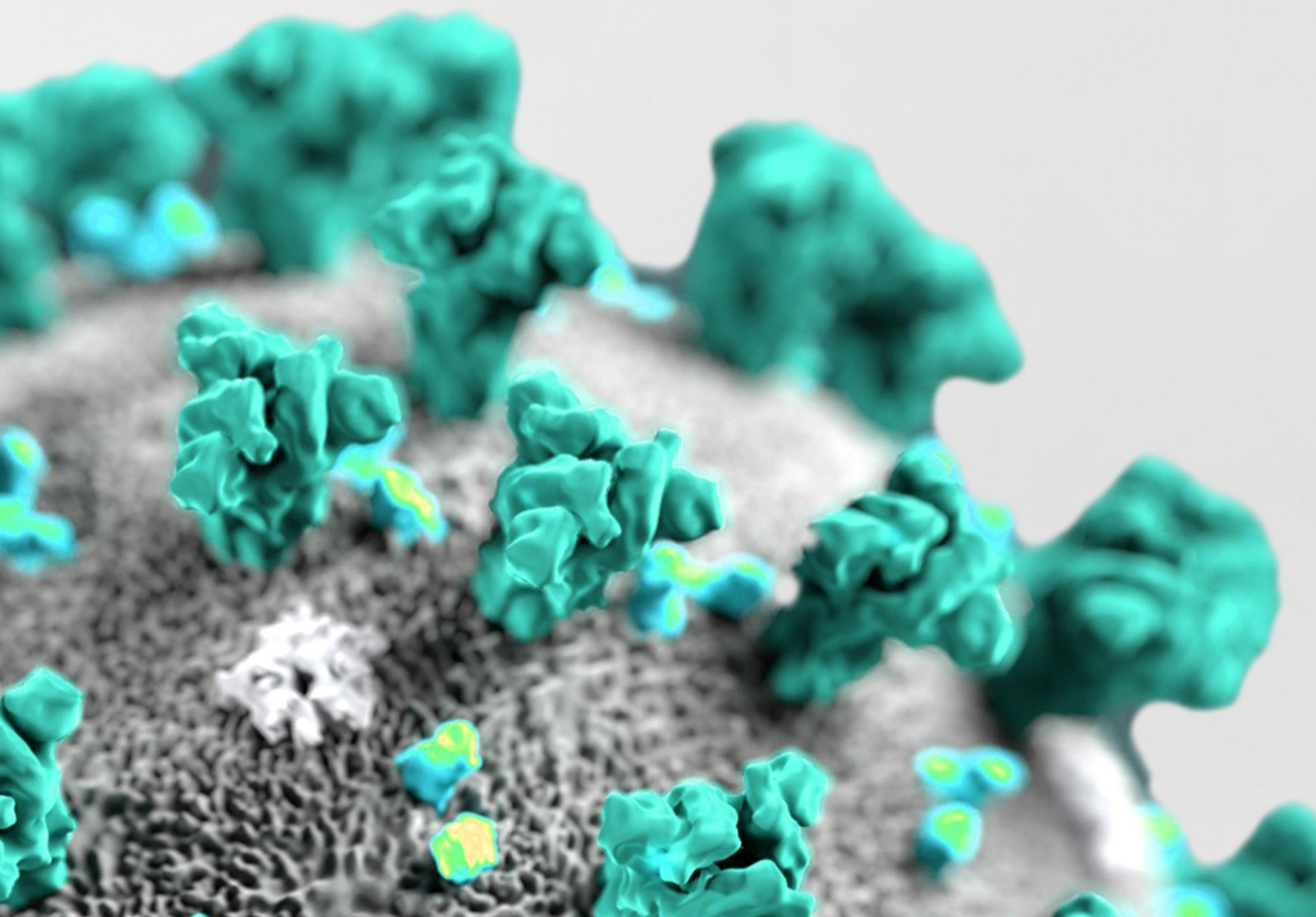
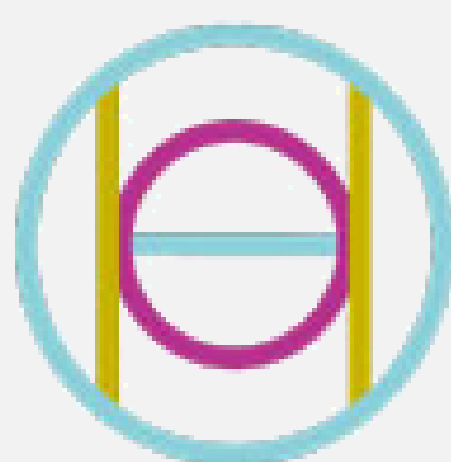




Horizon Scanning

Medicamentos Huérfanos **NO** Oncológicos

*XI informe
JULIO 2025*



orpharsefh

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

En colaboración con:

sanofi



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 undécimo informe Horizon Scanning, el cual incluye estos datos actualizados hasta julio de 2025.

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 de los **nuevos medicamentos huérfanos** no oncológicos y las **nuevas indicaciones** en evaluación por la **Agencia Europea del Medicamento (EMA)**, hasta julio 2025 y que podrían ser comercializados a corto y medio plazo en España (*Horizon Scanning*).

2. Proporcionar un **informe dinámico** y dirigido a los **decisores 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 19 de junio 2025.*
- ▶ **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 17 de julio 2025.*
- ▶ **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 29 de julio 2025.*
- ▶ **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 29 de julio 2025.*

*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.



Periodo temporal de búsqueda

El Orphar-SEFH Horizon Scanning incluye todos los medicamentos huérfanos no oncológicos en evaluación por la EMA hasta julio del 2025.

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.



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

MedicinesHuman regulatoryVeterinary regulatoryCommitteesNews & eventsPartners & networksAbout us

Medicines

Search

Download

What we publish and when

Medicines under evaluation

National registers

Medicines for use outside the EU

Q

Search

For help on how to get the results you want, see our [search tips](#).

Categories

☐ Human (7674)

☐ Veterinary (1176)

☐ Herbal (194)

Medicine name

Active substance

Medicine

☐ European public assessment reports (EPAR) (1613)

8859 results

Sort byMedicine name (A-Z)

Human medicine European public assessment report (EPAR): Abasaglar (previously Abasria)

Insulin glargine, Diabetes Mellitus
Date of authorisation: 09/09/2014, , , Revision: 6, Authorised, Last updated: 21/03/2018

Human medicine European public assessment report (EPAR): Abilify

Aripiprazole, Schizophrenia, Bipolar Disorder
Date of authorisation: 04/06/2004, Revision: 43, Authorised, Last updated: 27/05/2019

Opinion/decision on a Paediatric investigation plan (PIP): Abilify, aripiprazole

Decision type: PM: decision on the application for modification of an agreed PIP, therapeutic area: Psychiatry, PIP number: EMEA-000235-PIP02-10-M02, decision date: 26/10/2012, Last updated: 26/11/2012, compliance check





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.

BIFIMED: Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos - Nomenclátor de NOVIEMBRE - 2020

Escuchar

Manual de ayuda Escuchar

Principio activo o asociación *

(+) Añadir Principio

Nombre o CN del medicamento

Situación de financiación

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

Desde Hasta

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

Desde Hasta

Tipo de medicamento

☐ Genérico ☐ Biosimilar ☐ Huérfano ☐ Biológico

Buscar Limpiar

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

ESPAÑOL ENGLISH

QUÉ ES CIMA NOMENCLÁTOR GLOSARIO Iniciar sesión

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.



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 **diciembre 2024 hasta julio 2025** 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

36

Medicamentos en el programa PRIME

B. Medicamentos en evaluación por el CHMP

18

Medicamentos en evaluación por el CHMP

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

4

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

0

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

19

Medicamentos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España

4

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 julio 2025

- En julio 2025, hay un total de **36 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	Mucopolisacaridos is tipo IIIA (Síndrome de Sanfilippo)



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en julio 2025

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 trasplante	Dermatomiositis
RP-L201	Terapia avanzada	Parenteral	Rocket Pharmaceuticals Inc	marzo-21	Inmuno- reumatología trasplante	Deficiencia de adhesión de leucocitos-I
CTI-1601	Biológico	Parenteral	Pharmaceutical Development Services GmbH	mayo-21	Neurología	Ataxia de Friedreich
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 julio 2025

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	Pharma Gateway AB	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 julio 2025

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

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en julio 2025

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Tobevibart y Elebsiran	Biológico	Parenteral	Vir Biotechnology	diciembre-24	Enfermedades infecciosas	Infección crónica por el virus de la hepatitis delta (VHD)
Células CD34+ autólogas del paciente, modificadas ex vivo con un vector lentiviral que contiene el gen humano RAG1 funcional	Terapia avanzada	Parenteral	Videja B.V.	enero-25	Trastornos congénitos, familiares y genéticos	Inmunodeficiencia combinada grave (IDCG) con deficiencia de RAG1
UCB3491	Químico	Oral	UCB	marzo-25	Neurología	Trastorno del neurodesarrollo relacionado con GRIN
ALPN-303 (dual APRIL/BAFF antagonist)	Biológico	Parenteral	Alpine Immune Sciences	junio-25	Uronefrología	Nefropatía membranosa primaria (mMN)



Sección 1: Horizon Scanning

B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en julio 2025

- ▶ En julio 2025, hay un total de **18 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)
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
Delandistrogene moxeparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	Sarepta Therapeutics	junio-24	Otros medicamentos para los trastornos del sistema musculoesquelético	Distrofia muscular de Duchenne
L-Acetylleucine	Químico	Oral	Teva Pharmaceuticals	junio-24	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Desequilibrio vestibular y vértigo
Belumosudil	Químico	Oral	Sanofi	octubre-24	Trastornos del sistema inmunológico	Enfermedad de injerto contra huésped
Rilzabrutinib	Químico	Oral	Sanofi	octubre-24	Enfermedades raras	Trombocitopenia Inmune primaria
Doxecitine / Doxribtimine	Químico	Oral	UCB Pharma	noviembre-24	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Deficiencia de timidina quinasa 2



Sección 1: Horizon Scanning

B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en julio 2025

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Células madre hematopoyéticas CD34+ autólogas transducidas ex vivo con un vector lentiviral que codifica la proteína del síndrome de Wiskott-Aldrich humano	Terapia avanzada	Parenteral	Orchard Therapeutics	diciembre-24	Hematología/Inmunología	Síndrome de Wiskott-Aldrich (WAS)
Donidalorsen	Químico	Parenteral	Otsuka Pharmaceutical Europe Ltd.	diciembre-24	Alergología/Inmunología	Prevención rutinaria de los ataques recurrentes de angioedema hereditario (AEH)
Mavorixafor	Químico	Oral	X4 Pharmaceuticals	enero-25	Hematología/Inmunología	Síndrome WHIM
Trofinetide	Químico	Oral	Acadia Pharmaceuticals	enero-25	Neurología	Síndrome de Rett en adultos y pacientes pediátricos a partir de los 2 años
Apitegromab	Biológico	Parenteral	Scholar Rock	marzo-25	Neurología	Atrofia muscular espinal 5q (AME)
Paltusotine	Químico	Oral	Crinetics Pharmaceuticals	marzo-25	Endocrinología	Mantenimiento en pacientes adultos con acromegalia
Plozasiran	Químico	Parenteral	Arrowhead Pharmaceuticals	marzo-25	Metabolismo/Endocrinología	Síndrome de quilomicronemia familiar (SFC)
Diazoxide choline	Químico	Oral	Soleno Therapeutics	mayo-25	Enfermedades raras	Prader-Willi syndrome (PWS)



Sección 1: Horizon Scanning

B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en julio 2025

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Onasemnogene abeparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	Novartis Gene Therapies	mayo-25	Enfermedades raras	Atrofia muscular espinal 5q (AME)
Microbiota fecal alogénica, agrupada	Biológico	Oral	MaaT Pharma	junio-2025	Enfermedades infecciosas	Enfermedad aguda de injerto contra huésped (EiCHa)
Linerixibat	Químico	Oral	GSK	junio-2025	Hepatología	Prurito colestásico en pacientes adultos con colangitis biliar primaria



Sección 1: Horizon Scanning

C. Medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en julio 2025

► En julio 2025, 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
Alyftrek®	deutivacaftor / tezacaftor / vanzacaftor	Terapia avanzada	Oral	Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited	abril-25	Fibrosis quística	Fibrosis quística
Attrogy®	Diflunisal	Químico	Oral	Purpose Pharma International AB	abril-25	Enfermedad rara	Amiloidosis ATTR
Maapliv®	amino acids	Biológico	Parenteral	Recordati Rare Diseases	mayo-25	Enfermedades inflamatorias autoinmunes	Episodios de descompensación en pacientes con MSUD
Tryngolza®	Olezarsen	Químico	Parenteral	Ionis Ireland Limited	julio-25	Hiperlipoproteinemia tipo I	Adultos con síndrome de quilomicronemia familiar (SQF)



Sección 1: Horizon Scanning

C. Medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en julio 2025

- ▶ En julio 2025, no hay **nuevas indicaciones con opinión positiva CHMP** que están **pendiente de decisión** por parte de la CE³.



Sección 1: Horizon Scanning

D. Medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en julio 2025

- En julio 2025, hay **19 medicamentos huérfanos** autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España, **4** de ellos con **aprobación condicional**, **2** con **autorización en circunstancias excepcionales** y **13** con aprobación normal^{3,4,5}.

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Dovprela®*	pretomanid	Químico	Oral	Mylan Ireland Limited	julio-20	Antimicobacterias	Tuberculosis en combinación con bedaquiline y linezolid
Arikayce liposomal®	amikacin (sulfate)	Químico	Inhalatoria	Insmed Netherlands B.V.	octubre-20	Antibacterianos de uso sistémico	Enfermedad pulmonar por micobacterias no tuberculosa causada por el complejo Mycobacterium avium
Skytrofa®	Lonapegsomatropin	Biológico	Parenteral	Ascendis Pharma Endocrinology Division A/S	enero-22	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas y análogos	Deficiencia de hormona del crecimiento
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

*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 julio 2025

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Enjaymo®	Sutimlimab	Biológico	Parenteral	Sanofi B.V.	noviembre-22	Inmunosupresores	Anemia hemolítica en pacientes adultos con enfermedad de la aglutinina fría
Ztalmy®	Ganaxolone	Químico	Oral	Marinus Pharmaceuticals Inc.	julio-23	Antiepilépticos	Trastorno por deficiencia de CDKL5
Agamree®	Vamorolone	Químico	Oral	Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH	diciembre-23	Otros medicamentos para los trastornos del sistema músculo-esquelético	Distrofia muscular de Duchenne
Casgevvy®*	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
Filspari®*	Sparsentan	Químico	Oral	Vifor France S.A.	abril-24	Uro-nefrología	Nefropatía IgA primaria
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)

*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 julio 2025

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Emcitate®	tiratricol	Químico	Oral	Rare Thyroid Therapeutics International AB	febrero-25	Tirotoxicosis, Trastornos Heredodegenerativos del Sistema Nervioso	Deficiencia de MCT8 (síndrome de Allan-Herndon-Dudley)
Rytelo®	Imetelstat	Biológico	Parenteral	Geron Corporation	marzo-25	Hematología	Anemia dependiente de transfusiones debida a síndromes mielodisplásicos de riesgo muy bajo, bajo o intermedio, cuando la médula ósea no produce suficientes células sanguíneas o plaquetas sanas
Vyjuvek®	beremagene geperpavec	Terapia avanzada	Tópica	Krystal Biotech Netherlands B.V.	abril-25	Úlceras y heridas crónicas	Heridas en pacientes con epidermólisis bullosa distrófica con mutaciones en el gen de la cadena alfa 1 del colágeno VII (COL7A1) desde el nacimiento
Duvyzat®*	givinostat	Químico	Oral	Italfarmaco S.p.A.	junio-25	Otros medicamentos para los trastornos del sistema músculo-esquelético	Tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en pacientes ambulatorios a partir de 6 años de edad y con tratamiento concomitante de corticoesteroides.
Sephience®	sepiapterin	Biológico	Oral	PTC Therapeutics International Limited	junio-25	Enfermedad rara	Hiperfenilalaninemia (HPA) en pacientes adultos y pediátricos con fenilcetonuria (PKU)

*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 julio 2025

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Cerdelga®	eliglustat	Químico	Oral	Sanofi B.V.	enero 2015	Enfermedad Gaucher
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Adultos: Cerdelga® está indicado para el tratamiento a largo plazo de pacientes adultos con enfermedad de Gaucher tipo 1 (GD1), que son metabolizadores lentos (PM) de CYP2D6, metabolizadores intermedios (IM) o metabolizadores extensos (EM). Población pediátrica: (de 6 a < 18 años) con un peso ≥ 15 kg. Cerdelga® está indicado para pacientes pediátricos con GD1 de 6 años o más con un peso corporal mínimo de 15 kg, que estén estables en terapia de reemplazo enzimático (ERT) y que sean CYP2D6 PM, IM o EM.				octubre 2024	diciembre 2024	-

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 reactivación y la enfermedad del citomegalovirus (CMV) en pacientes adultos y pediátricos que pesen al menos 15 kg y que sean receptores seropositivos al CMV [R+] de un trasplante alogénico de células madre hematopoyéticas (TCMH). Profilaxis de la enfermedad por CMV en adultos y pacientes pediátricos seronegativos para CMV que pesen al menos 40 kg y que hayan recibido un trasplante renal de un donante seropositivo para CMV [D+/R-].				febrero 25	abril 25	-



Sección 1: Horizon Scanning

D. Nuevas indicaciones autorizadas por la CE y pendientes de comercialización en España en julio 2025

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Vyvgart®	efgartigimod alfa	Biológico	Parenteral	Argenx	junio 2022	Enfermedad rara
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Extensión de la indicación: • Un complemento de la terapia estándar para el tratamiento de pacientes adultos con miastenia gravis generalizada (gMG) que son positivos para anticuerpos contra el receptor de acetilcolina (AChR). • Como monoterapia para el tratamiento de pacientes adultos con polineuropatía desmielinizante inflamatoria crónica activa (CIDP) progresiva o recidivante después de un tratamiento previo con corticosteroides o inmunoglobulinas.				abril 2025	junio 2025	-

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Cystadrops®	mercaptamine hydrochloride	Químico	Oftalmológica	Recordati Rare Diseases	octubre 2016	Enfermedades oftalmológicas
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Extensión de la indicación: Cystadrops® está indicado para el tratamiento de los depósitos de cristales de cistina corneal en adultos y niños a partir de los 6 meses de edad con cistinosis.				abril 2025	junio 2025	-



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 julio 2025

- En julio 2025, 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 diciembre 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 julio 2025

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Attrogy® (diflunisal)	Indicación: Attrogy® está indicado para el tratamiento de la amiloidosis hereditaria mediada por transtiretina (amiloidosis hATTR) en pacientes adultos con polineuropatía en fase 1 o fase 2. Eficacia: Los beneficios de Attrogy® son su capacidad para retrasar la progresión de la enfermedad, medida por la puntuación de deterioro de la neuropatía más 7 pruebas nerviosas (NIS + 7), a los 2 años de tratamiento frente al placebo, como se muestra en un ensayo clínico aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo. Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son gastrointestinales.
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-attrogy_en.pdf

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Alyftrek® (deutivacaftor / tezacaftor / vanzacaftor)	Indicación: Los comprimidos de Alyftrek® están indicados para el tratamiento de la fibrosis quística (FQ) en personas a partir de 6 años que presenten al menos una mutación no de clase I en el gen regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística (CFTR). Eficacia: Los beneficios de Alyftrek® son la mejora de la función pulmonar, medida por el porcentaje previsto de FEV1 (volumen espiratorio forzado en un segundo), tras 24 semanas de tratamiento. Dos estudios clínicos de fase 3, aleatorizados y a doble ciego demostraron que Alyftrek® es tan eficaz como Kaftrio® en pacientes con FQ y mutaciones no de clase I mayores de 12 años. También se presentó un estudio de apoyo, de un solo brazo y abierto en niños de 6 a 11 años. La mayoría de los niños presentaban una mutación F508del. Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son dolor de cabeza y diarrea.
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-alyftrek_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 julio 2025

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Maapliv® (amino acids)	Indicación: Maapliv® está indicado para el tratamiento de la enfermedad de orina con olor a jarabe de arce (EOJA) que cursa con un episodio de descompensación aguda en pacientes desde el nacimiento que no son aptos para una formulación oral y enteral sin aminoácidos de cadena ramificada (sin BCAA). Eficacia: El beneficio de Maapliv® es la normalización de la leucina en pacientes con descompensación de EOJA, como se muestra en cinco publicaciones científicas que informan sobre el uso parenteral de soluciones sin BCAA con la misma formulación que Maapliv®. Seguridad: El uso parenteral de soluciones sin BCAA en estas publicaciones se asoció a efectos secundarios poco frecuentes, que se indican la ficha técnica.
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-maapliv_en.pdf

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Tryngolza® (olezarsen)	Indicación: Tryngolza® está indicado como complemento de la dieta en pacientes adultos para el tratamiento del síndrome de quilomicronemia familiar (SQF) genéticamente confirmado. Eficacia: El beneficio de Tryngolza® es su capacidad para reducir los niveles de triglicéridos en ayunas en adultos con SQF después de 6 meses de tratamiento en comparación con placebo, como se observó en un estudio de fase 3 aleatorizado, multicéntrico, doble ciego y controlado con placebo. Seguridad: Los efectos secundarios más comunes de Tryngolza® incluyen eritema en el lugar de la inyección, dolor de cabeza, artralgia y vómitos.
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-tryngolza_en.pdf



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 julio 2025

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Emcitate [®] (tiratricol)	Indicación: Emcitate[®] es un medicamento que se utiliza para tratar la tirotoxicosis periférica (exceso de niveles en sangre de determinadas hormonas tiroideas) en pacientes con deficiencia del transportador 8 de monocarboxilato (MCT8). La deficiencia de MCT8 también se conoce como síndrome de Allan-Herndon Dudley, un trastorno que afecta al desarrollo cerebral. Eficacia: En un estudio principal en el que participaron 46 niños y adultos con una deficiencia de MCT8 que provoca síntomas de la enfermedad se observó que el tratamiento con Emcitate[®] reducía el nivel medio en sangre de T3 de 4,97 nmol/l a 1,82 nmol/l después de 12 meses de tratamiento. Los datos de apoyo también mostraron pequeñas mejoras en los signos de tirotoxicosis, como el aumento de la frecuencia cardíaca, la presión arterial elevada y las extrasístoles auriculares (latidos cardíacos adicionales). En el estudio, Emcitate[®] no se comparó con otro medicamento ni con un placebo (un tratamiento ficticio). Seguridad: Los efectos adversos más frecuentes de Emcitate[®] (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) son hiperhidrosis (sudoración excesiva), diarrea, irritabilidad, ansiedad y pesadillas. Estos efectos adversos suelen aparecer al inicio del tratamiento o cuando se aumenta la dosis, y tienden a mejorar al cabo de unos días. Emcitate[®] no debe utilizarse para tratar otras causas del hipertiroidismo. Tampoco debe tomarse durante el embarazo.
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/emcitate-epar-medicine-overview_es.pdf

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Rytelo [®] (imetelstat)	Indicación: Rytelo[®] es un medicamento que se utiliza para tratar la anemia (niveles bajos de glóbulos rojos) en adultos con síndromes mielodisplásicos, un grupo de enfermedades en las que la médula ósea produce células sanguíneas anómalas y muy pocas sanas. Eficacia: En un estudio principal participaron 178 adultos con síndromes mielodisplásicos que requerían transfusiones sanguíneas regulares; los pacientes recibieron Rytelo[®] o un placebo (un tratamiento ficticio) además de un tratamiento de apoyo. El estudio demostró que 36 de 118 pacientes (30,5 %) a los que se administró Rytelo[®] no necesitaron una transfusión de sangre durante al menos 8 semanas, en comparación con 6 de 60 (10 %) pacientes que recibieron placebo. Seguridad: Los efectos adversos más frecuentes de Rytelo[®] (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son trombocitopenia (niveles bajos de plaquetas sanguíneas, componentes que ayudan a que la sangre se coagule), neutropenia (niveles bajos de neutrófilos, un tipo de glóbulo blanco que combate las infecciones), aumento de los niveles de enzimas hepáticas (un signo de posibles problemas hepáticos), cansancio y dolor de cabeza. Algunos efectos adversos pueden ser graves. Los efectos adversos graves más frecuentes (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) son sepsis (cuando las bacterias y sus toxinas circulan en la sangre, lo que provoca daños en los órganos), infección de las vías urinarias (infección de las partes del cuerpo que recogen y eliminan la orina), fibrilación auricular (contracciones irregulares y no coordinadas de las cavidades superiores del corazón), hemorragia de los varices esofágicos (sangrado de venas inflamadas en el revestimiento del esófago, el tubo que conduce de la boca al estómago), síncope (desmayo) y trombocitopenia.
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/rytelo-epar-medicine-overview_en.pdf



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 julio 2025

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Vyjuvek® (beremagene geperpavec)	Indicación: Vyjuvek® es un medicamento que se utiliza para tratar heridas en pacientes con epidermólisis ampollosa distrófica. La epidermólisis ampollosa distrófica es una enfermedad hereditaria de la piel que hace que la piel sea muy frágil y provoca la formación de ampollas y cicatrices graves. Vyjuvek® está indicado para pacientes con epidermólisis ampollosa distrófica que presentan mutaciones que afectan al gen COL7A1 (cadena de colágeno tipo VII alfa 1). Eficacia: En un estudio principal en el que participaron 31 pacientes de entre 1 y 44 años de edad con epidermólisis ampollosa distrófica se observó que Vyjuvek® era eficaz en la cicatrización de las heridas. Cada paciente recibió tratamiento para dos heridas: una herida fue tratada con Vyjuvek® y la otra con un placebo (un tratamiento ficticio). A los 6 meses, el 67 % (21 de 31) de las heridas tratadas con Vyjuvek® estaban completamente cicatrizadas, en comparación con el 22 % (7 de 31) de las tratadas con placebo. Seguridad: Los efectos adversos más frecuentes de Vyjuvek® (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) son escalofríos y prurito (picor).
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/vyjuvek-epar-medicine-overview_es.pdf

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Duvyzat® (givinostat)	Indicación: Duvyzat® está indicado para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en pacientes ambulatorios a partir de 6 años de edad y con tratamiento concomitante de corticosteroides. Eficacia: La seguridad y la eficacia de Duvyzat® en pacientes con DMD se evaluó en el estudio EPIDYS. Este ensayo clínico fue un estudio en fase III, de 18 meses de duración, aleatorizado en una proporción 2:1, doble ciego y controlado con placebo de 179 pacientes ambulatorios con DMD a partir de 6 años de edad. Givinostat o el placebo se administraron además de una dosis estable de corticoesteroides a lo largo del estudio. La variable primaria se cumplió: givinostat redujo de forma significativa ($p = 0,035$) la disminución de la prueba 4SC, en comparación con el placebo según el análisis logarítmico especificado previamente. Cuando se analizaron los resultados en una escala no logarítmica, el 4SC medio aumentó 1,25 segundos en el grupo de givinostat, frente a los 3,03 segundos en el grupo de placebo. Por tanto, el efecto terapéutico (variación respecto al valor basal, givinostat menos placebo) fue de $-1,78$ segundos ($p = 0,037$). Seguridad: El perfil de seguridad de Duvyzat® se basa en un estudio en fase III, doble ciego, controlado con placebo y de 18 meses de duración, llevado a cabo en un total de 179 pacientes con DMD ambulatorios, a partir de 6 años de edad y en tratamiento concomitante con corticoesteroides. De ellos, 118 recibieron givinostat hasta 62 mg, dos veces al día, y 61 recibieron placebo (estudio EPIDYS). Los acontecimientos adversos que se produjeron con mayor frecuencia en el estudio controlado con placebo (basado en términos agregados cuando corresponda) fueron diarrea (38,1 %), dolor abdominal (33,9 %), trombocitopenia (32,2 %), vómitos (28,8 %) e hipertrigliceridemia (22,9 %).
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/es/documents/product-information/duvyzat-epar-product-information_es.pdf



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 julio 2025

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Sephience® (sepiapterin)	Indicación: Sephience® es un medicamento indicado para el tratamiento de la hiperfenilalaninemia (HPA, concentraciones excesivas de fenilalanina en sangre) en pacientes adultos y pediátricos con fenilcetonuria (PKU). La PKU es una enfermedad hereditaria en la que el aminoácido fenilalanina (un componente básico de las proteínas) se acumula en la sangre hasta concentraciones anómalamente elevadas, lo que provoca problemas en el sistema nervioso. Eficacia: En un estudio principal se ha demostrado que Sephience® reduce las concentraciones de fenilalanina en la sangre. En la primera parte del estudio participaron 157 pacientes con PKU que recibieron Sephience® durante 14 días. Se consideró que los pacientes de al menos 2 años de edad que presentaron una reducción del 15 % o más en sus concentraciones de fenilalanina en sangre (110 pacientes) respondían al tratamiento y se les hizo participar en la segunda parte del estudio, en la que recibieron Sephience® o placebo (un tratamiento ficticio) durante 6 semanas. El criterio de valoración principal de la eficacia fue un mayor cambio en las concentraciones de fenilalanina en sangre en los pacientes que ya habían experimentado una disminución del 30 % o más de sus concentraciones de fenilalanina en sangre en la primera parte del estudio. En los pacientes que recibieron Sephience®, la reducción de las concentraciones de fenilalanina en sangre fue de alrededor de 410 micromol por litro (reducción del 63 % con respecto a la concentración inicial) en comparación con unos 16 micromol por litro (reducción del 1,4 %) en los que recibieron placebo. Asimismo, el estudio mostró que los pacientes de los que se sabía que no respondían a la sapropterina (otro medicamento para la hiperfenilalaninemia) lograron una reducción de sus concentraciones de fenilalanina en sangre del 30 % o más con Sephience®. Los datos de un estudio en curso también indicaron que los beneficios del tratamiento se mantienen a lo largo del tiempo y permiten a los pacientes aumentar la ingesta de fenilalanina en su dieta. Asimismo, otros datos indicaron que las reducciones de las concentraciones de fenilalanina en sangre en pacientes menores de 2 años eran similares a las observadas en niños mayores. Seguridad: Los efectos adversos más frecuentes de Sephience® (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son infección de las vías respiratorias superiores (infección de nariz y garganta), dolor de cabeza, diarrea y dolor abdominal. Las heces con cambio de color y la hipofenilalaninemia (concentraciones bajas de fenilalanina) también pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes.
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/overview/sephience-epar-medicine-overview_es.pdf



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 julio 2025 según cuatro categorías:**

- ▶ A. La EMA está evaluando a través de su programa **PRIME** un **total de 36 medicamentos huérfanos** no oncológicos, de los cuales **18 son terapias avanzadas, 8 productos biológicos y 10 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 (28%) medicamentos.**
 - ❖ En este informe de julio 2025, se encuentran **4 nuevos medicamentos huérfanos en el programa PRIME.**
- ▶ B. De los **18 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP**, **4 son terapias avanzadas, 12 son sustancias químicas y 2 es producto biológico.**
 - ❖ En el informe de diciembre 2024 se encontraban 16 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP, de los cuales **2 están autorizados por la Comisión Europea.**
- ▶ C. De los **4 medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP** pendiente de decisión por la CE, **2 son productos químicos, 1 es producto biológico y otro es terapia avanzada.**
 - ❖ En el informe de diciembre 2024, había **5 medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP**, de los cuales **3 ya están aprobados por la CE y pendientes de comercialización en España.**
- ▶ D. De los **19 nuevos medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España** en julio 2025, **2 son terapias avanzadas, 6 son sustancias biológicas y 11 químicas.** Además, **4 de los 19** recibieron la **aprobación de manera condicional, y 2 autorización en circunstancias excepcionales.**
 - ❖ En el informe de diciembre 2024, había **30 medicamentos autorizados por la CE** pendientes de comercialización en España, de los cuales **6 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: 25 de julio 2025
2. EMA. Medicines under evaluation. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-under-evaluation> Consultado el: 25 de julio 2025
3. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 25 de julio 2025
4. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 25 de julio 2025
5. Base de datos interna de medicamentos huérfanos de Omakase Consulting. Consultado el 25 de julio 2025
6. BIFIMED. Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 25 de julio 2025
7. Resoluciones CIMP. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm>. Consultado el 25 de julio 2025



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 julio 2025, hay un total de **22 medicamentos** que estaban incluidos en el informe actualizado hasta diciembre de 2024 y han sido **excluidos en este informe**, por los motivos que se exponen a continuación:

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Área terapéutica	Indicación	Motivo y fecha de exclusión nuevo medicamento
MB-107	MB-107	Terapia avanzada	Parenteral	Mustang Bio	Inmuno-reumatología trasplante	Inmunodeficiencia combinada grave ligada al cromosoma X (XSCID) en lactantes recién diagnosticados	Retirada la designación de huérfano (octubre-24)
Nugalviq®	Govorestat	Químico	Oral	Veristat Spain S.L.	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de Charcot-Marie-Tooth. Tratamiento de la galactosemia.	Aplicación retirada (diciembre-24)
Crysvita®	Burosumab	Biológico	Parenteral	Kyowa Kirin Holdings B.V.	Hipofosfatemia	Hipofosfatemia ligada al cromosoma X en niños y adolescentes de 1 a 17 años con signos radiográficos de enfermedad ósea, y adultos	Financiado (diciembre-24)
Hympavzi®	Marstacimab	Biológico	Parenteral	Pfizer	Hemofilia A y B	Profilaxis rutinaria de episodios hemorrágicos en pacientes con hemofilia grave A y B	Retirada la designación de huérfano (diciembre-24)
Takhzyro®	Ianadelumab	Biológico	Parenteral	Shire Pharmaceuticals Ireland Ltd	Inmunología y trastornos alérgicos	Angioedema hereditario	Financiado (febrero-25)
Artesunate Amivas®	Artesunate	Químico	Parenteral	Amivas Ireland Limited	Antiprotozoarios	Malaria severa	Financiado (febrero-25)
Loargys®	Pegzilarginase	Biológico	Parenteral	Immedica Pharma AB	Endocrinología, ginecología-fertilidad, metabolismo	Tratamiento de la hiperargininemia	Financiado (febrero-25)
Ebvallo®	Tabelecleucel (Linfocitos T citotóxicos alogénicos específicos del virus Epstein-Barr, ATA129)	Terapia avanzada	Parenteral	Pierre Fabre Medicament	Trastornos linfoproliferativos	Virus Epstein-Barr asociado a enfermedad linfoproliferativa post-trasplante	No financiado (febrero-25)

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 medicamentos excluidos desde el último Horizon Scanning

- En julio 2025, hay un total de **22 medicamentos** que estaban incluidos en el informe actualizado hasta diciembre de 2024 y han sido **excluidos en este informe**, por los motivos que se exponen a continuación:

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Área terapéutica	Indicación	Motivo y fecha de exclusión nuevo medicamento
Wainzua®	eplontersen sodium	Biológico	Parenteral	AstraZeneca AB	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Amiloidosis hereditaria mediada por transtiretina (ATTRv)	Retirada la designación de huérfano (marzo-25)
Beyonttra®	Acoramidis	Biológico	Parenteral	BridgeBio Europe B.V.	Terapia cardíaca	Amiloidosis por transtiretina de tipo salvaje o variante en pacientes adultos con miocardiopatía (ATTR-MC).	Retirada la designación de huérfano (marzo-25)
Dazluma®	Troriluzole	Químico	Oral	Biohaven Bioscience Ireland Limited	Otros medicamentos del sistema nervioso	Tratamiento de la ataxia espinocerebelosa	Aplicación retirada (marzo-25)
Seladelpar Gilead®	Seladelpar lisina dihidratado	Químico	Oral	Gilead Sciences Ireland UC.	Medicamento para la terapia biliar	Colangitis biliar primaria	Financiado (mayo-25)
Rystiggo®	Rozanolixizumab	Biológico	Parenteral	UCB Pharma	Agente antineoplásico	Miastenia Gravis	Financiado (mayo-25)
Kinpeygo®	Budesonide	Químico	Oral	Stada Arzneimittel AG	Antidiarreicos, agentes antiinflamatorios y antiinfecciosos intestinales	Tratamiento de la nefropatía primaria por inmunoglobulina A (IgA)	Financiado (mayo-25)
Durveqtix/ Beqvez®	Fidanacogene elaparvovec (PF-06838435/SPK-9001)	Terapia avanzada	Parenteral	Pfizer Europe MA EEIG	Hematología-Hemostasia	Hemofilia B	Autorización retirada (mayo-25)
Voydeya®	Danicopan	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	Hematología-Hemostasia	Hemoglobinuria paroxística nocturna	Financiado (junio-25)
yorvvo®	Elafibranor	Químico	Oral	Ipsen Pharma	Terapia biliar e hígado	Colangitis biliar primaria	Financiado (junio-25)

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 medicamentos excluidos desde el último Horizon Scanning

- En julio 2025, hay un total de **22 medicamentos** que estaban incluidos en el informe actualizado hasta diciembre de 2024 y han sido **excluidos en este informe**, por los motivos que se exponen a continuación:

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Área terapéutica	Indicación	Motivo y fecha de exclusión nuevo medicamento
Yorvipath®	Palopegteriparatide	Químico	Parenteral	Ascendis Pharma Bone Diseases A/S	Homeostasis del calcio	Hipoparatiroidismo	Financiado (julio-25)
Qalsody®	Tofersen	Químico	Parenteral	Biogen Netherlands B.V.	Neurología	Tratamiento de la esclerosis lateral amiotrófica	Financiado (julio-25)
Fabhalta®	Iptacopan	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Glomerulopatía C3 (nefropatía inducida por el complemento)	Financiado (julio-25)
Skyclarys®	Omaveloxolone	Químico	Oral	Reata Ireland Limited	Neurología	Ataxia de Friedreich	No financiado (julio-25)
Nurzigma®	Pridopidine hydrochloride	Químico	Oral	Prilenia Therapeutics B.V.	Enfermedad de Huntington	Enfermedad de Huntington	Opinión negativa CHMP (julio-25)

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