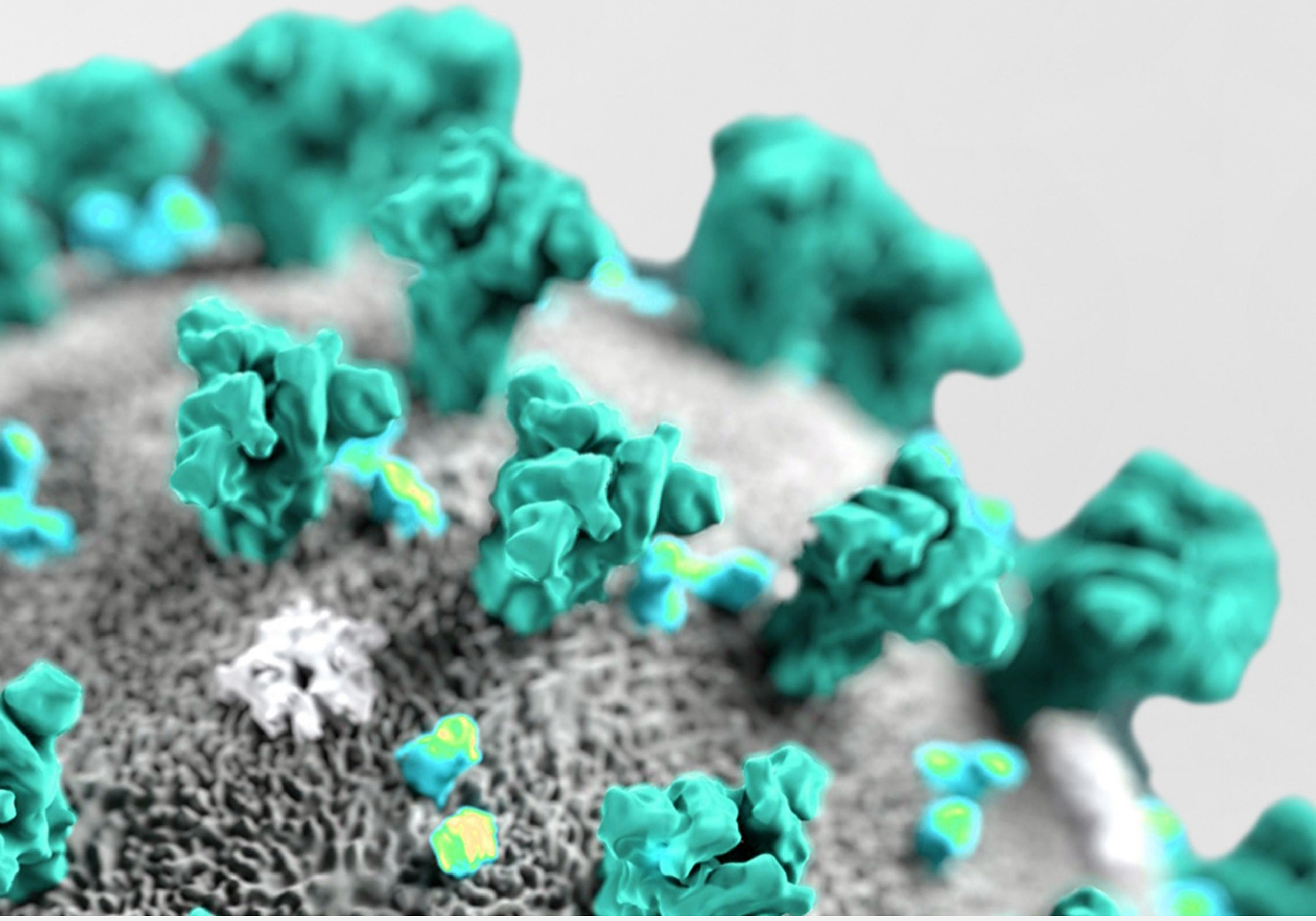


Horizon Scanning

Medicamentos Huérfanos NO Oncológicos

XII informe

DICIEMBRE 2025

orpharsefh

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

En colaboración con:

sanofi

ITALFARMACO

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

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

Introducción

Introducción

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

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

A continuación, se presenta el duodécimo informe Horizon Scanning, el cual incluye estos datos actualizados hasta diciembre 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

orpharsefh
Grupo de trabajo 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 diciembre 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

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

Metodología

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 18 de noviembre 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 4 de diciembre 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 16 de diciembre 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 CIPM. *Última actualización el 15 de diciembre 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.

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 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 CIPM.

Se han excluido:

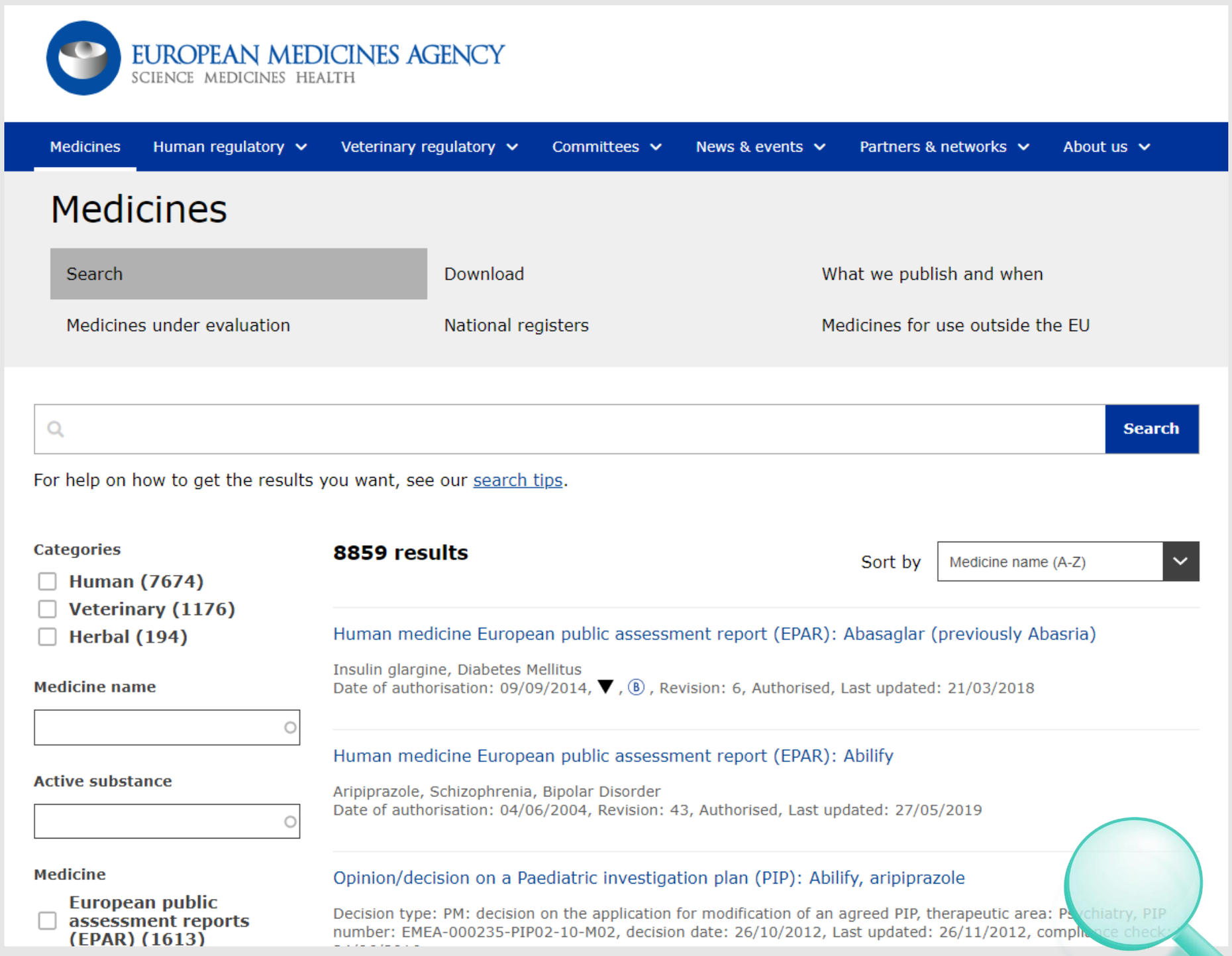
1. Medicamentos **oncológicos**.
2. Medicamentos **genéricos**.
3. Medicamentos **biosimilares**.
4. Medicamentos con **CHMP negativo o que han sido retirados del proceso de evaluación.**
5. Medicamentos **con resolución de financiación.**
6. Medicamentos **con resolución de no financiación.**

Metodología

Bases de datos empleadas

Se han identificado los **nuevos medicamentos huérfanos y nuevas indicaciones** que potencialmente puedan solicitar P&R en España a través de una revisión 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.



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

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.

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

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

Metodología

Presentación de los resultados

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

- A. Medicamentos 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 2025 hasta diciembre 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

37 Medicamentos en el programa PRIME

B. Medicamentos en evaluación por el CHMP

17 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

4 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

16 Medicamentos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España

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

1 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 (CIPM)

Sección 1:
Horizon Scanning

Sección 1: Horizon Scanning

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

- En diciembre 2025, hay un total de **37 medicamentos en el programa PRIME de la EMA**, **19 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	Músculo-esquelético/Metabolismo óseo	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	Neurología	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)

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

Sección 1: Horizon Scanning

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
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	Mucopolisacaridosis tipo I (MPS-1)
PF-06823859	Biológico	Parenteral	Pfizer Europe MA EEIG	octubre-20	Reumatología/Inmunología	Dermatomiositis
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
Pabinafusp alfa (JR-141)	Biológico	Parenteral	JCR Pharmaceuticals Co	octubre-21	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Mucopolisacaridosis tipo II (MPS II)
DNL310	Biológico	Parenteral	Denali Therapeutics Inc	mayo-22	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Mucopolisacaridosis tipo II
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

Sección 1: Horizon Scanning

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
RP-A501	Terapia avanzada	Parenteral	Rocket Pharmaceuticals	mayo-23	Cardiología	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	Alergología/Inmunología	Angioedema hereditario
Elsunersen (PRAX-222)	Químico	Parenteral	Praxis Precision Medicines, Inc.	noviembre-23	Neurología	Encefalopatía epiléptica y del desarrollo SCN2A (SCN2A-DEE)
RGX-121	Terapia avanzada	Parenteral	REGENXBIO Inc	diciembre-23	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Mucopolisacaridosis tipo II
GTX 102	Químico	Parenteral	Ultragenyx Pharmaceutical Inc	enero-24	Neurología	Síndrome de Angelman
Isaralgagene civaparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	Sangamo Therapeutics	enero-24	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	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	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Enfermedad de Gaucher
JNT-517	Químico	Oral	Jnana Therapeutics	abril-24	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Hiperfenilalaninemia

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

Sección 1: Horizon Scanning

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Gallium (68Ga) boclatixafortide	Químico	Parenteral	Pentixapharm	octubre-24	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Diagnóstico del aldosteronismo primario
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	Inmunología	Inmunodeficiencia combinada grave (IDCG) con deficiencia de RAG1
UCB3491	Químico	Oral	UCB	marzo-25	Neurología	Trastorno del neurodesarrollo relacionado con GRIN
NGN-401	Terapia avanzada	Parenteral	Neurogene	febrero-25	Neurología	Síndrome de Rett
ELA 026	Biológico	Parenteral	Electra Therapeutics	junio-25	Inmunología, reumatología, transplante	Linfohistiocitosis hemofagocítica secundaria (sHLH)
Resecabtagene autoleucel	Terapia avanzada	Parenteral	Cabaletta Bio	septiembre-25	Inmunología/Reumatología	Miopatía inflamatoria idiopática resistente al tratamiento
Taladegib	Químico	Oral	Orphix Consulting GmbH	octubre-25	Neumología, alergología	Fibrosis pulmonar idiopática

Sección 1: Horizon Scanning

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

- En diciembre 2025, hay un total de **17 medicamentos en evaluación por el CHMP**, **2 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)
Doxecitine / Doxribtimine	Químico	Oral	UCB Pharma	noviembre-24	Neurología	Deficiencia de timidina quinasa 2
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	Endocrinología/Neurología	Prader-Willi syndrome (PWS)

Sección 1: Horizon Scanning

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	Neurología	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
Leriglitazone	Químico	Oral	Minoryx Therapeutics	julio-25	Neurología	Adrenoleucodistrofia
Narsoplimab (Anticuerpo monoclonal humano dirigido a MASP-2)	Biológico	Parenteral	Omeros Corporation	julio-25	Hematología	Microangiopatía trombótica asociada a trasplante de células madre hematopoyéticas
Ácido norucólico	Químico	Oral	Dr. Falk Pharma GmbH	julio-25	Hepatología	Colangitis esclerosante primaria
Arimoclomol	Químico	Oral	Zevra Therapeutics	agosto-25	Neurología	Enfermedad de Niemann-Pick tipo C
Navepegritide	Químico	Parenteral	Ascendis Pharma	octubre-25	Enfermedades metabólicas y óseas	Acondroplasia
Zopapogene imadenovec	Terapia avanzada	Parenteral	Precigen	noviembre-25	Neumología	Tratamiento de la papilomatosis respiratoria en adultos

Sección 1: Horizon Scanning

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

- En diciembre 2025, hay **4 nuevos medicamentos con opinión positiva CHMP** que están **pendientes de decisión** por parte de la **CE**[3].

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Opinión positiva CHMP	Área terapéutica	Indicación
Wayrilz®	Rilzabrutinib	Químico	Oral	Sanofi	octubre-25	Hematología	Trombocitopenia Inmune primaria
Aqneursa®	L-Acetylleucine	Químico	Oral	Intrabio Ireland Limited	noviembre-25	Neurología	Manifestaciones neurológicas de la enfermedad de Niemann-Pick tipo C (NPC)
Waskyra®	Células madre hematopoyéticas CD34+ autólogas transducidas ex vivo con un vector lentiviral que codifica la proteína humana del síndrome de Wiskott-Aldrich.	Terapia avanzada	Parenteral	Fondazione Telethon ETS	noviembre-25	Hematología/ Inmunología	Síndrome de Wiskott-Aldrich (WAS)
Dawnzera®	Donidalorsen	Químico	Parenteral	Otsuka Pharmaceutical Europe Ltd.	noviembre-25	Alergología/ Inmunología	Prevención rutinaria de los ataques recurrentes de angioedema hereditario (AEH)

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

Sección 1: Horizon Scanning

C. Nuevas indicaciones con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en diciembre 2025

- En diciembre 2025, hay 4 **nuevas indicaciones con opinión positiva CHMP** que están **pendiente de decisión** por parte de la **CE**[3].

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Opinión positiva CHMP	Área terapéutica
Pyrukynd®	Mitapivat (sulfate)	Químico	Oral	Agios Netherlands B.V.	octubre-25	Hematología
Indicación						**Financiada en España**
La indicación de Pyrukund® comprimidos recubiertos con película de 5, 20 y50 mg, es la siguiente: • Pyrukynd® está indicado para el tratamiento del déficit en pacientes adultos. El CHMP adoptó una **nueva indicación asociada a una nueva concentración**, **comprimidos recubiertos con película de 100 mg**, como sigue: • **Pyrukynd® está indicado en adultos para el tratamiento de la anemia asociada a talasemia alfa o beta dependiente o no dependiente de transfusiones.**						-

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Opinión positiva CHMP	Área terapéutica
Koselugo®	selumetinib	Químico	Oral	AstraZeneca AB	octubre-25	Neurología/Oncología
Indicación						**Financiada en España**
La indicación de Koselugo® cápsulas duras de 10 y 25mg, es la siguiente: • Koselugo® en monoterapia está indicado para el tratamiento de pacientes pediátricos de 3 años en adelante con neurofibromatosis de tipo 1 (NF1) que presenten neurofibromas plexiformes (NP) sintomáticos e inoperables. El CHMP adoptó una **nueva forma farmacéutica**, **gránulos en cápsulas para abrir, en dos concentraciones (5 mg y 7,5 mg), asociada a una extensión de la indicación existente**, como sigue: • **Koselugo®, como monoterapia, está indicado para el tratamiento de neurofibromas plexiformes (PN) sintomáticos e inoperables en pacientes con neurofibromatosis tipo 1 (NF1) de 1 año hasta menos de 7 años de edad y en pacientes mayores con dificultades para tragar.**						-

Sección 1: Horizon Scanning

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Opinión positiva CHMP	Área terapéutica
Dovprela®	pretomanid	Químico	Oral	Mylan Ireland Limited	diciembre-25	Enfermedades infecciosas
Indicación						**Financiada en España**
• Dovprela® está indicado en combinación con bedaquilina y linezolid para el tratamiento de adultos con TB pulmonar causada por M. tuberculosis resistente a rifampicina y a una fluoroquinolona, con o sin resistencia a isoniazida. El CHMP adoptó una **extensión de la indicación** en la que se incluye lo siguiente: • **Dovprela® está indicado en combinación con bedaquilina, linezolid y moxifloxacino para el tratamiento de adultos con tuberculosis pulmonar (TB) causada por Mycobacterium tuberculosis resistente a rifampicina, con o sin resistencia a isoniazida.**						-

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Opinión positiva CHMP	Área terapéutica
Aspaveli®	Pegcetacoplan	Químico	Parenteral	Swedish Orphan Biovitrum AB	diciembre-25	Hematología/Nefrología
Indicación						**Financiada en España**
• Aspaveli® está indicado como monoterapia para el tratamiento de pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) que presentan anemia hemolítica. El CHMP adoptó una **extensión de la indicación** en la que se incluye lo siguiente: • **Aspaveli® está indicado para el tratamiento de pacientes adultos y adolescentes de 12 a 17 años con glomerulopatía C3 (C3G) o glomerulonefritis membranoproliferativa primaria mediada por complejos inmunes (IC-MPGN), en combinación con un inhibidor del sistema renina-angiotensina (SRA), salvo que el tratamiento con inhibidores del SRA no sea tolerado o esté contraindicado.**						-

*En negrita se resalta la extensión de la indicación

Sección 1: Horizon Scanning

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

- En diciembre 2025, hay **16 medicamentos huérfanos** autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España, **2** de ellos con **aprobación condicional**, **3 con autorización en circunstancias excepcionales** y **11** con aprobación normal[3,4,5].

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Arikayce liposomal®	amikacin (sulfate)	Químico	Inhalatoria	Insmed Netherlands B.V.	octubre-20	Enfermedades infecciosas	Enfermedad pulmonar por micobacterias no tuberculosa causada por el complejo Mycobacterium avium
Skytrofa®	Lonapegsomatropin	Biológico	Parenteral	Ascendis Pharma Endocrinology Division A/S	enero-22	Endocrinología	Deficiencia de hormona del crecimiento
Zokinvy®**	Lonafarnib	Químico	Oral	EigerBio Europe Limited	julio-22	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Síndrome de progeria de Hutchinson-Gilford Laminopatías progeroides con deficiencia de procesamiento
Nulibry®	Fosdenopterin	Químico	Parenteral	TMC Pharma (EU) Limited	septiembre-22	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Deficiencia de molibdeno-cofactor tipo A
Enjaymo®	Sutimlimab	Biológico	Parenteral	Sanofi B.V.	noviembre-22	Hematología	Anemia hemolítica en pacientes adultos con enfermedad de la aglutinina fría
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

*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

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
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
Emcitate®	tiratricol	Químico	Oral	Rare Thyroid Therapeutics International AB	febrero-25	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Deficiencia de MCT8 (síndrome de Allan-Herndon-Dudley)
Rytelo®	Imetelstat	Biológico	Parenteral	Geron Corporation	marzo-25	Hematologia	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	Dermatología	Heridas en pacientes con epidermólisis bullosa distrófica con mutaciones en el gen de la cadena alfa 1 del colágeno VII (COL7A1) desde el nacimiento
Sephience®	sepiapterin	Químico	Oral	PTC Therapeutics International Limited	junio-25	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Hiperfenilalaninemia (HPA) en pacientes adultos y pediátricos con fenilcetonuria (PKU)
Alyftrek®	deutivacaftor / tezacaftor / vanzacaftor	Químico	Oral	Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited	junio-25	Neurología	Fibrosis quística
Attrogy®	diflunisal	Químico	Oral	Purpose Pharma International AB	julio-25	Neurología	Amiloidosis ATTR
Maapliv®**	amino acids	Biológico	Parenteral	Recordati Rare Diseases	julio-25	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Episodios de descompensación en pacientes con MSUD
Tryngolza®	Olezarsen	Químico	Parenteral	Ionis Ireland Limited	septiembre-25	Endocrinología	Adultos con síndrome de quilomicronemia familiar (FCS)

Sección 1: Horizon Scanning

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

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	Enfermedades infecciosas
Indicación				**Opinión + CHMP**	**Aut. CE**	**Financiada en España**
Extensión de la indicación: 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	-

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Cystadrops®	mercaptamine hydrochloride	Químico	Oftalmológica	Recordati Rare Diseases	octubre 2016	Oftalmología
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	-

*En negrita y subrayado se resalta la extensión de la indicación

CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/precios/comisionInteministerial/acuerdosNotasInformativas/home.htm Consultado el 18 de diciembre 2025

BIFIMED. https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do. Consultado el 18 de diciembre 2025

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

Sección 1: Horizon Scanning

D. Nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos autorizadas por la CE pendientes de comercialización en España y en estudio de financiación en diciembre 2025

- En diciembre 2025, hay una nueva indicación para 1 **medicamento huérfano** autorizadas por la CE, pendiente de comercialización en España y en estudio de financiación respecto a julio 2025.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Vyvgart®	efgartigimod alfa	Biológico	Parenteral	Argenx	junio 2022	Neurología
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	En estudio

*En negrita y subrayado se resalta la extensión de la indicación

CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/precios/comisionInteministerial/acuerdosNotasInformativas/home.htm Consultado el 18 de diciembre 2025

BIFIMED. https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do. Consultado el 18 de diciembre 2025

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

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 2025

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Wayrilz® (Rilzabrutinib)	**Indicación**: Wayrilz® está indicado para el tratamiento de la trombocitopenia inmunitaria (ITP) en pacientes adultos que son refractarios a otros tratamientos. **Eficacia**: Los beneficios de Wayrilz® incluyen una tasa significativamente mayor de respuesta plaquetaria duradera en adultos con ITP refractaria a otros tratamientos en comparación con placebo, especialmente cuando se utiliza en combinación con corticosteroides y/o agonistas del receptor de trombopoyetina, según lo demostrado en un estudio fase 3 multicéntrico, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo. **Seguridad**: Los efectos adversos más frecuentes con Wayrilz® incluyen diarrea, náuseas, cefalea, COVID-19, dolor abdominal, artralgia y nasofaringitis.
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-wayrilz_en.pdf

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Aqneursa® (L-Acetylleucine)	**Indicación**: Aqneursa® está indicado para el tratamiento de las manifestaciones neurológicas de la enfermedad de Niemann-Pick tipo C (NPC), en combinación con miglustat, o como monoterapia en pacientes que no toleren miglustat, en adultos y niños de 6 años o más y con un peso mínimo de 20 kg. **Eficacia**: Los beneficios de Aqneursa® consisten en una mejoría de los signos, síntomas y la función neurológica en pacientes con enfermedad NPC tras 12 semanas de tratamiento, medida mediante la escala de evaluación y puntuación de la ataxia (SARA), en comparación con placebo, según lo observado en un estudio fase 3 aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo y con diseño cruzado de 2 períodos. **Seguridad**: El efecto adverso más frecuente con Aqneursa® es la flatulencia.
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-aqneursa_en.pdf

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

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Waskyra® (Células madre hematopoyéticas CD34+ autólogas transducidas ex vivo con un vector lentiviral que codifica la proteína humana del síndrome de Wiskott-Aldrich)	**Indicación**: Waskyra® está indicado para el tratamiento de pacientes de 6 meses de edad o mayores con síndrome de Wiskott-Aldrich (WAS) que presentan una mutación en el gen *WAS*, para quienes el trasplante de células madre hematopoyéticas (HSC) es apropiado y no se dispone de un donante de células madre hematopoyéticas relacionado, compatible por antígeno leucocitario humano (HLA). **Eficacia**: Los beneficios de Waskyra® incluyen una disminución de la tasa anualizada de infecciones graves desde 2,00 por persona-año en los 12 meses previos a la infusión de Waskyra®, a 0,15 en los 1 a 2 años posteriores a la infusión, y a 0,12 en los 2 a 3 años posteriores, según lo observado en un ensayo fase 3 de un solo brazo. La tasa anualizada de episodios hemorrágicos moderados y graves también disminuyó de 2,00 eventos por persona-año en los 12 meses previos a la infusión de Waskyra® a 0,16 en los 2 a 3 años posteriores a la infusión. En conjunto, el 96% de los pacientes sobrevivió (IC 95%: 82–99%) tras el tratamiento con Waskyra®. **Seguridad**: Los efectos adversos más frecuentes con Waskyra® se atribuyeron a los procedimientos previos al tratamiento (incluyendo movilización y leucoféresis), al régimen de acondicionamiento y a condiciones relacionadas con el lugar de administración (informándose muy frecuentemente de infecciones relacionadas con el dispositivo y hemorragias en el sitio del catéter).
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-waskyra_en.pdf

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

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Dawnzera® (donidalorsen)	**Indicación**: Dawnzera® está indicado para la prevención rutinaria de los ataques recurrentes de angioedema hereditario (HAE) en adultos y adolescentes de 12 años o más. **Eficacia**: El beneficio de Dawnzera® es una reducción significativa en la tasa de ataques de HAE en comparación con placebo. Un estudio fase 3, doble ciego y controlado con placebo mostró una reducción del 81% en la tasa de ataques de HAE por cada 4 semanas desde el inicio hasta la semana 24 con donidalorsen administrado cada 4 semanas, en comparación con placebo. Se observó una respuesta sostenida, con descensos medios desde el inicio en la tasa de ataques de HAE, a lo largo de todo el periodo de tratamiento en los grupos tratados con Dawnzera®. **Seguridad**: Los efectos adversos más frecuentes con Dawnzera® incluyen reacciones en el lugar de la inyección, aumento de enzimas hepáticas e hipersensibilidad (incluida la anafilaxia).
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-dawnzera_en.pdf

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

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 2025

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Alyftrek® (deutivacaftor / tezacaftor / vanzacaftor)	**Indicación**: Alyftrek® es un medicamento que se utiliza en adultos a partir de los 6 años para tratar la fibrosis quística, una enfermedad hereditaria que afecta gravemente a los pulmones, el sistema digestivo y otros órganos. **Eficacia**: Alyftrek® fue tan eficaz como otro medicamento, Kaftrio®, para mejorar la función pulmonar en dos estudios principales realizados en personas mayores de 12 años con fibrosis quística. Kaftrio®, que contiene ivacaftor, tezacaftor y elexacaftor, se administra siempre junto con un medicamento que contiene ivacaftor solo. Kaftrio® se utiliza en personas con fibrosis quística causada por al menos una mutación que no es una mutación de clase I en el gen CFTR. En ambos estudios, los participantes mayores de 12 años recibieron tratamiento con Kaftrio® durante cuatro semanas y, a continuación, se les administró Alyftrek® o continuaron el tratamiento con Kaftrio®. El criterio principal de valoración de la eficacia en ambos estudios fue la variación del ppFEV1, que es la cantidad máxima de aire que una persona puede espirar en un segundo, en comparación con los valores de una persona media con características similares (como edad, altura y sexo). Un ppVEF1 normal suele estar cerca de 100 puntos porcentuales cuando los pulmones funcionan correctamente. En el primer estudio participaron 405 personas con una mutación F508del y una mutación de «función mínima». Las mutaciones funcionales mínimas producen (casi) ninguna proteína CFTR o una proteína CFTR defectuosa que no responde a los moduladores CFTR. Tras las primeras 4 semanas de tratamiento con Kaftrio®, los pacientes del estudio presentaron un promedio del ppVEF1 de 67,1 puntos porcentuales. Tras 24 semanas de tratamiento, el ppFEV1 se mantuvo tanto en los participantes a los que se administró Alyftrek® como en los que recibieron Kaftrio®. En el segundo estudio participaron 573 participantes con y sin una mutación F508del. Los pacientes sin una mutación F508del presentaban al menos una mutación que respondía al tratamiento con Kaftrio®. Tras las primeras 4 semanas de tratamiento con Kaftrio®, los participantes en el estudio presentaron un promedio del ppVEF1 de 66,8 puntos porcentuales. Tras 24 semanas de tratamiento, el ppFEV1 se mantuvo tanto en los participantes a los que se administró Alyftrek® como en los que recibieron Kaftrio®. La lista completa de efectos adversos y restricciones de Alyftrek® se puede consultar en el prospecto. Los efectos adversos más frecuentes de Alyftrek® (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son dolor de cabeza y diarrea. Algunos efectos adversos pueden ser graves. El efecto adverso más frecuente de Alyftrek® (puede afectar hasta a 1 de cada 100 pacientes) es el aumento de las enzimas hepáticas, que puede ser un signo de problemas hepáticos.
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/es/documents/overview/alyftrek-epar-medicine-overview_es.pdf

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

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

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Attrogy® (diflunisal)	**Indicación**: Attrogy® se utiliza en adultos en los dos primeros estadios de la lesión nerviosa (estadio 1, en el que el paciente presenta debilidad en las piernas, pero es capaz de caminar sin ayuda, y estadio 2, en el que el paciente puede caminar, pero con ayuda). **Eficacia**: En un estudio principal en el que participaron 130 pacientes con ATTRh y lesiones nerviosas en estadio 1 o 2, Attrogy® demostró ser más eficaz que el placebo a la hora de ralentizar la progresión de las lesiones nerviosas causadas por la enfermedad. El criterio principal de valoración de la eficacia fue el cambio en los síntomas de lesión nerviosa de los pacientes, medidos mediante una escala estándar llamada mNIS+7, en la que una puntuación más alta indica un empeoramiento. Al cabo de 24 meses de tratamiento, la puntuación media de mNIS+7 fue de 8,2 puntos en los pacientes que tomaron Attrogy®, en comparación con 26,2 puntos en los que tomaron placebo. **Seguridad**: La lista completa de efectos adversos y restricciones de Attrogy® se puede consultar en el prospecto. Los efectos adversos más frecuentes de Attrogy® (pueden afectar hasta a 1 de cada 10 pacientes) son indigestión y ardor de estómago.
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/es/documents/overview/attrogy-epar-medicine-overview_es.pdf

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Maapliv® (amino acids)	**Indicación**: Maapliv® es un medicamento que se utiliza para tratar un episodio agudo de descompensación de la enfermedad de la orina con olor a jarabe de arce. La enfermedad de la orina con olor a jarabe de arce es un trastorno hereditario en el que el organismo es incapaz de descomponer determinados componentes de una proteína conocidos como aminoácidos de cadena ramificada (BCAA), como la leucina, la isoleucina y la valina. Como consecuencia de ello, estos aminoácidos se acumulan en el organismo, incluido el cerebro, donde la leucina, en particular, puede provocar daños cerebrales. Maapliv® está indicado en pacientes que no pueden recibir aminoácidos libres de BCAA por vía oral o a través de una sonda de alimentación. **Eficacia**: La compañía presentó datos de 5 estudios publicados en la bibliografía científica. En los estudios participaron un total de 88 pacientes con enfermedad de la orina con olor a jarabe de arce y se examinó el uso de una mezcla de aminoácidos sin BCAA para tratar el empeoramiento repentino de la enfermedad basado en niveles elevados de leucina. Los aminoácidos eran los mismos que los de Maapliv® y se administraron mediante perfusión, por vía oral o por sonda de alimentación. En los estudios se observó que las mezclas de aminoácidos sin BCAA habían reducido los niveles de leucina a la normalidad cuando los pacientes abandonaron el hospital. **Seguridad**: La lista completa de efectos adversos y restricciones de Maapliv® se puede consultar en el prospecto. Los efectos adversos de las mezclas de aminoácidos sin BCAA notificados en la bibliografía (pueden afectar hasta a 1 de cada 100 pacientes) incluyen reacciones anafilácticas o anafilactoides, hipersensibilidad, hiperamonemia, tromboembolia pulmonar, tromboembolia venosa, dificultad respiratoria, aumento de los niveles sanguíneos de bilirrubina, aumento de los niveles de enzimas hepáticas, colestasis, colecistitis, colelitiasis, azotemia, tromboflebitis en el lugar de perfusión e irritación venosa.
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/es/documents/overview/maapliv-epar-medicine-overview_es.pdf

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

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

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Tryngolza® (olezarsen)	**Indicación**: Tryngolza® es un medicamento que se utiliza junto con la dieta para tratar a adultos con síndrome de quilomicronemia familiar (SQF), una enfermedad genética que da lugar a niveles elevados de grasas denominadas triglicéridos en la sangre. El exceso de grasa se acumula en varias partes del organismo y provoca la aparición de síntomas como dolor abdominal, depósitos de grasa bajo la piel y pancreatitis. Tryngolza® se utiliza para tratar el SQF que se ha confirmado mediante pruebas genéticas. **Eficacia**: En un estudio principal en el que participaron 66 adultos con SQF, se demostró que Tryngolza® era eficaz para reducir los niveles de triglicéridos en la sangre. Todos los pacientes del estudio recibieron una dieta controlada además de Tryngolza® o un placebo. Al cabo de 6 meses de tratamiento, los pacientes que recibieron Tryngolza® presentaron una reducción media del nivel de triglicéridos de la sangre del 32 %, en comparación con un aumento medio del 12 % en los pacientes que recibieron placebo. Este efecto se mantuvo y mejoró al cabo de un año de tratamiento; el estudio también demostró que hubo muchos menos casos de pancreatitis aguda en pacientes que utilizaron Tryngolza® en comparación con aquellos que utilizaron placebo. **Seguridad**: La lista completa de efectos adversos y restricciones de Tryngolza® se puede consultar en el prospecto. Los efectos adversos más frecuentes de Tryngolza® (pueden afectar a más de 1 de cada 10 pacientes) son eritema en el lugar de la inyección, dolor de cabeza, dolor articular y vómitos.
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/es/documents/overview/tryngolza-epar-medicine-overview_es.pdf

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

Conclusiones

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 2025 según cuatro categorías:**

- A. La EMA está evaluando a través de su programa **PRIME** un **total de 37 medicamentos huérfanos** no oncológicos, de los cuales **19 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** (27%) **medicamentos**.
  - En este informe de diciembre 2025, se encuentran **4 nuevos medicamentos huérfanos en el programa PRIME.**
- B. De los **17 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP**, **2** son **terapias avanzadas**, **12** son sustancias **químicas** y **3** es producto **biológico**.
  - En el informe de julio 2025 se encontraban 18 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP, de los cuales **ninguno ha sido autorizado por la Comisión Europea.**
- C. De los **4 medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP** pendiente de decisión por la CE, 3 son productos químicos y 1 es terapia avanzada.
  - En el informe de julio 2025, había **4 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 **16 nuevos medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España** en diciembre 2025, **2 son terapias avanzadas, 5** son sustancias **biológicas** y **9 químicas**. Además, **2 de los 16** recibieron la **aprobación de manera condicional**, y **3 autorización en circunstancias excepcionales**.
  - En el informe de julio 2025, había **19 medicamentos autorizados por la CE** pendientes de comercialización en España, de los cuales **4 ya han 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: 18 de diciembre 2025

2. EMA. Medicines under evaluation. Disponible en: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-under-evaluation Consultado el: 18 de diciembre 2025

3. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data Consultado el 18 de diciembre 2025

4. Base de datos interna de medicamentos huérfanos de Omakase Consulting. Consultado el 19 de diciembre 2025

5. BIFIMED. Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos: https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do. Consultado el 18 de diciembre 2025

6. Resoluciones CIPM. https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/precios/comisionInteministerial/acuerdosNotasInformativas/home.htm Consultado el 18 de diciembre 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 diciembre de 2025, hay un total de **12 medicamentos** que estaban incluidos en el informe actualizado hasta julio de 2025 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
ALVR-105	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	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	**Elegibilidad PRIME retirada a solicitud del solicitante**
BCX9250	BCX9250	Químico	Oral	BioCryst Pharmaceuticals, Inc.	Trastornos musculo-esqueléticos y del tejido conectivo	Fibrodisplasia osificante progresiva	**Elegibilidad PRIME retirada a solicitud del solicitante**
Povetacicept®	ALPN-303 (dual APRIL/BAFF antagonist)	Biológico	Parenteral	Alpine Immune Sciences	Uronefrología	Nefropatía membranosa primaria (mMN)	**No es huérfano**
Akantior®	Polihexanide	Químico	Oftalmológica	S.I.F.I. Società Industria Farmaceutica Italiana S.p.A.	Oftalmología	Queratitis por acanthamoeba	**Financiado** (agosto-2025)
Winrevair®	Sotatercept	Biológico	Parenteral	Acceleron Pharma	Cardiovascular	Hipertensión arterial pulmonar (HAP)	**Financiado** (agosto-2025)
Fanskya®	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	Hematología-Hemostasia	Anemia de Fanconi tipo A	**Aplicación retirada** (agosto-2025)

Anexo: Descripción de medicamentos excluidos desde el último Horizon Scanning

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Área terapéutica	Indicación	Motivo y fecha de exclusión nuevo medicamento
Cerdelga®	eliglustat	Químico	Oral	Sanofi B.V.	Endocrinología/ Metabolismo	Extensión de indicación: Tratamiento a largo plazo de pacientes pediátricos con enfermedad de Gaucher de tipo 1 a partir de 6 años de edad con un peso corporal mínimo de 15 kg, que se encuentran estables con terapia de reemplazo enzimático, y que son metabolizadores lentos, metabolizadores intermedios o metabolizadores rápidos del CYP2D6	**Financiada extensión de la indicación** (septiembre-2025)
Elevidys®	Delandistrogene moxeparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	Sarepta Therapeutics	Neurología	Distrofia muscular de Duchenne	**No autorizado por la CE** (septiembre-2025)
Ztalmy®	Ganaxolone	Químico	Oral	Marinus Pharmaceuticals Inc.	Neurología	Trastorno por deficiencia de CDKL5	**No financiado** (octubre-2025)
Rezurock®	Belumosudil	Químico	Oral	Sanofi	Trastornos del sistema inmunológico	Enfermedad de injerto contra huésped	**Opinión CHMP negativa** (octubre-2025)
Duvyzat®	givinostat	Químico	Oral	Italfarmaco S.p.A.	Neurología	Tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en pacientes ambulantes a partir de 6 años de edad y con tratamiento concomitante de corticoesteroides.	**Financiado** (diciembre-2025)
Agamree®	Vamorolone	Químico	Oral	Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH	Neurología	Distrofia muscular de Duchenne	**No financiado** (diciembre-2025)

1. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data Consultado el 18 de diciembre 2025

2. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/precios/comisionInteministerial/acuerdosNotasInformativas/home.htm Consultado el 18 de diciembre 2025