



Horizon Scanning

Medicamentos Huérfanos **Oncológicos**

Diciembre 2022



En colaboración con:



Contenidos



Introducción



Metodología



Resultados



Sección 1: Horizon Scanning



Sección 2: Descripción de los medicamentos huérfanos oncológicos y nuevas indicaciones autorizados por la CE pendientes de comercialización en España



Conclusiones



Referencias



Introducción



Introducción

En el presente informe *Horizon Scanning* se hace una revisión tanto de los nuevos **medicamentos huérfanos oncológicos** como de sus indicaciones, desde el comienzo de su evaluación por la **Agencia Europea del Medicamento (EMA)** hasta **diciembre de 2022**, y que podrían comercializarse en España a corto y medio plazo.

Es un informe dirigido a los decisores y profesionales sanitarios del Sistema Nacional de Salud (SNS) 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.

En este marco, esperamos que esta nueva información con su adecuado análisis, pueda favorecer la rápida evaluación, así como las decisiones de financiación pública en el SNS.

La ***Asociación para la innovación en la atención y cuidados a pacientes con Enfermedades Raras (AINEERR)*** está comprometida con la generación de información y conocimiento actualizados sobre Medicamentos Huérfanos y Enfermedades Minoritarias en España y compartirlo a través de la plataforma ObserveMHe.

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

José Luis Poveda Andrés
Director de ObserveMHe



Objetivos

1. Identificación de todos los nuevos medicamentos huérfanos oncológicos y nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos oncológicos, desde el comienzo de su evaluación por la EMA hasta diciembre de 2022, y que podrían ser comercializados a corto y medio plazo en España (*Horizon Scanning*).

2. Proporcionar un informe dirigido a los decisores y profesionales sanitarios a nivel nacional y regional para permitir anticiparse a la innovación inmediata que pueda introducirse en el SNS a corto y medio plazo.



Metodología



Metodología

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

A. Medicamentos huérfanos oncológicos en el programa PRIME de la EMA



B. Medicamentos huérfanos oncológicos en evaluación por el CHMP



C. Opinión positiva del CHMP



D. Autorización CE



Autorización en España
(AEMPS)



Comercialización en
España



Identificación de medicamentos huérfanos oncológicos (I)

Se clasifican los medicamentos huérfanos oncológicos en:

- ▶ **A. Medicamentos huérfanos oncológicos 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. Se filtró por área terapéutica Oncología y Hematología – Hemostasia. *Última actualización 31 diciembre 2022.*
- ▶ **B. Medicamentos huérfanos oncológicos en evaluación por el CHMP:** se utilizó la sección “*Medicines under evaluation*” en la página web de la EMA. La lista de solicitudes de nuevos medicamentos que están siendo evaluados se actualiza mensualmente y está dividida por huérfanos y no huérfanos. *Última actualización 31 diciembre 2022.*

*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

Identificación de medicamentos huérfanos oncológicos (II)

- ▶ **C. Medicamentos huérfanos oncológicos con opinión positiva del CHMP pendientes de la decisión de la Comisión Europea (CE):** se utilizó la sección “*pending EC decisions*” en la página web de la EMA para identificar todos los nuevos medicamentos y nuevas indicaciones con opinión positiva del CHMP, identificando específicamente aquellos pendientes de decisión de la CE. *Última actualización 31 diciembre 2022.*
- ▶ **D. Medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España:** se utilizó el buscador de la EMA filtrando por categoría (human) y por designación huérfana. *Última actualización 31 diciembre 2022.*



Metodología

Periodo temporal de búsqueda

El Horizon Scanning incluye todos los **medicamentos huérfanos oncológicos** en evaluación por la EMA hasta diciembre de 2022.

Criterios de inclusión y exclusión

Se han incluido nuevos medicamentos **huérfanos oncológicos**:

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

Se han incluido nuevas indicaciones de medicamentos **huérfanos oncológicos**:

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

Se han excluido:

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



Metodología

Bases de datos empleadas

Se han identificado los **nuevos medicamentos huérfanos oncológicos y nuevas indicaciones** que potencialmente puedan solicitar P&F 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)** y el **Ministerio de Sanidad (MSCBS)**.

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

The screenshot displays the EMA website interface. At the top, the logo and name 'EUROPEAN MEDICINES AGENCY' are visible. Below the logo is a navigation bar with links for 'Medicines', 'Human regulatory', 'Veterinary regulatory', 'Committees', 'News & events', 'Partners & networks', and 'About us'. The main heading is 'Medicines'. There are three columns of links: 'Search', 'Download', and 'What we publish and when'. Below these are 'Medicines under evaluation', 'National registers', and 'Medicines for use outside the EU'. A search bar is present with a magnifying glass icon and a 'Search' button. Below the search bar, there is a link to 'search tips'. The search results section shows '8859 results' and a 'Sort by' dropdown menu set to 'Medicine name (A-Z)'. The first result is 'Human medicine European public assessment report (EPAR): Abasaglar (previously Abasria)' with details: 'Insulin glargine, Diabetes Mellitus', 'Date of authorisation: 09/09/2014', 'Revision: 6, Authorised, Last updated: 21/03/2018'. The second result is 'Human medicine European public assessment report (EPAR): Abilify' with details: 'Aripiprazole, Schizophrenia, Bipolar Disorder', 'Date of authorisation: 04/06/2004', 'Revision: 43, Authorised, Last updated: 27/05/2019'. The third result is 'Opinion/decision on a Paediatric investigation plan (PIP): Abilify, aripiprazole' with details: '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...'. A magnifying glass icon is overlaid on the search results.



Metodología

Bases de datos empleadas

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

Principio activo o asociación *

(+) Añadir Principio

Nombre o CN del medicamento

Situación de financiación

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

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

GOBIERNO DE ESPAÑA MINISTERIO DE SANIDAD agencia española de medicamentos y productos sanitarios cima

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.



Metodología

Presentación de los resultados

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

- ▶ **A. Medicamentos huérfanos oncológicos en el programa PRIME de la EMA**
- ▶ **B. Medicamentos huérfanos oncológicos en evaluación por el CHMP**
- ▶ **C. Nuevos medicamentos huérfanos oncológicos y nuevas indicaciones con opinión positiva del CHMP pendientes de la decisión de la CE**
- ▶ **D. Nuevos medicamentos huérfanos oncológicos y nuevas indicaciones con autorización por la CE pendientes de comercialización y/o actualmente no financiados en España.**

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

La parte final del informe incluye la **descripción del EPAR de los D. Autorizados por la CE pendientes de comercialización en España.**

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



Resultados



Resultados

A. Medicamentos huérfanos oncológicos en el programa PRIME de la EMA

14

B. Medicamentos huérfanos oncológicos en evaluación por el CHMP

15

C. Medicamentos y nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos oncológicos con opinión positiva CHMP pendientes de decisión de la CE

0

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

14

Nuevos medicamentos oncológicos

5

Nuevas indicaciones



Sección 1: Horizon Scanning



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos huérfanos oncológicos en el programa PRIME de la EMA (I)

- En diciembre de 2022 hay un total de **14 medicamentos huérfanos oncológicos** en el programa PRIME de la EMA, 8 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
Autologous CD4 and CD8 T cells transduced with lentiviral vector containing an affinity-enhanced T cell receptor to target the cancer-testis tumour antigen NY-ESO-1 (NY-ESO-1c259T)	Terapia avanzada	Parenteral	Adaptimmune	julio-16	Oncología	Tratamiento de pacientes con alelos HLA-A*0201, HLA-A*0205 o HLA-A*0206 positivos con sarcoma sinovial inoperable o metastásico que han recibido quimioterapia previa y cuyo tumor expresa el antígeno tumoral NY-ESO-1
Tasadenoturev (Adenovirus serotype 5 containing partial E1A deletion and an integrin-binding domain, DNX-2401)	Terapia avanzada	Parenteral	DNATRIX	julio-16	Oncología	Tratamiento del glioblastoma recidivante en pacientes en los que no es posible o aconsejable una resección total macroscópica, o en aquellos que rechazan una nueva cirugía
Asunercept	Biológico	Parenteral	Apogenix AG	mayo-17	Oncología	Tratamiento del glioblastoma
Fully human anti-BCMA autologous CAR T Cell (CT053)	Terapia avanzada	Parenteral	CARsgen Therapeutics	septiembre-19	Oncología	Tratamiento de pacientes con mieloma múltiple (MM) en recaída y/o refractario cuyos regímenes anteriores incluían un inhibidor del proteasoma, un agente inmunomodulador y un anticuerpo monoclonal anti-CD38



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos huérfanos oncológicos en el programa PRIME de la EMA (II)

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Autologous anti-CD19/CD20 CAR T transduced cells (MB-CART2019.1)	Terapia avanzada	Parenteral	Miltenyi Biotec GmbH	octubre-19	Oncología	Tratamiento de pacientes con linfoma difuso de células B grandes recidivante y refractario después de la terapia de primera línea y que no son elegibles para el trasplante autólogo de células madre
ADP-A2M4 (células CD4+ y CD8+ transductoras)	Terapia avanzada	Parenteral	Adaptimmune Therapeutics plc (ADAP)	julio-20	Oncología	Tratamiento de pacientes HLA-A*02 positivos con sarcoma sinovial inoperable o metastásico que han recibido quimioterapia previa y cuyo tumor expresa el antígeno tumoral MAGE-A4
Bomedemstat	Químico	Oral	Imago BioSciences	julio-20	Hematología - Hemostasia	Trombocitemia esencial
Magrolimab	Biológico	Parenteral	Gilead	octubre-20	Oncología	Síndromes mielodisplásicos
Lacutamab	Biológico	Parenteral	Innate Pharma	noviembre-20	Oncología	Tratamiento de pacientes con síndrome de Sézary que han recibido al menos dos terapias sistémicas previas
ECT-001-CB	Terapia avanzada	Parenteral	ExCellThera	diciembre-20	Oncología	Trasplantes urgentes de células madre hematopoyéticas alogénicas



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos huérfanos oncológicos en el programa PRIME de la EMA (III)

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Area terapéutica	Indicación
Talquetamab	Biológico	Parenteral	Janssen	enero-21	Oncología	Tratamiento de pacientes adultos con mieloma múltiple en recaída o refractario, que hayan recibido previamente ≥ 3 líneas previas de terapia
Obecabtagene autoleucel/ AUTO1	Terapia avanzada	Parenteral	Autolus Therapeutics	marzo-21	Oncología	Tratamiento de la leucemia linfoblástica aguda de células B en recaída o refractaria
PF-06863135 (Elranatamab)	Biológico	Parenteral	Pfizer	marzo-21	Oncología	Tratamiento del mieloma múltiple
CT041 (CAR-CLDN18.2 T cells)	Terapia avanzada	Parenteral	CARsgen Therapeutics	noviembre -21	Oncología	Tratamiento de pacientes con cáncer gástrico avanzado en los que han fracasado al menos 2 líneas previas de terapia sistémica



Sección 1: Horizon Scanning

B. Medicamentos huérfanos oncológicos en evaluación por el CHMP en diciembre 2022 (I)

- En diciembre de 2022 hay un total de **15 medicamentos huérfanos oncológicos en evaluación por el CHMP**. Ninguno de ellos está clasificado como **producto de terapia avanzada (ATMP)²**.

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Ivosidenib	Químico	Oral	Les Laboratoires Servier	marzo-22	Agente antineoplásico	Leucemia mieloide aguda
Tislelizumab	Biológico	Parenteral	Novartis Europharm Limited	marzo-22	Agente antineoplásico	Cáncer de esófago
Futibatinib	Químico	Oral	Taiho Pharma Netherlands B.V.	mayo-22	Agente antineoplásico	Colangiocarcinoma (Cáncer del tracto biliar)
Glofitamab	Biológico	Parenteral	Roche Registration GmbH	mayo-22	Agente antineoplásico	Linfoma difuso de células grandes
Pirtobrutinib	Químico	Oral	Eli Lilly Nederland B.V.	junio-22	Agente antineoplásico	Linfoma de células del manto
Alpelisib	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	julio-22	Agente antineoplásico	Síndromes de Sobrecrecimiento Asociados a PIK3CA (PROS)
Ivosidenib	Químico	Oral	Les Laboratoires Servier	julio-22	Agente antineoplásico	Colangiocarcinoma (cáncer de las vías biliares)
Decitabine / cedazuridine	Químico	Oral	Otsuka Pharmaceutical Netherlands B.V.	agosto-22	Agente antineoplásico	Leucemia mieloide aguda
Masitinib (mesilate)	Químico	Oral	AB Science	agosto-22	Agente antineoplásico	Cáncer de páncreas



Sección 1: Horizon Scanning

B. Medicamentos huérfanos oncológicos en evaluación por el CHMP en diciembre 2022 (II)

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Quizartinib (dihydrochloride)	Químico	Oral	Daiichi Sankyo Europe GmbH	agosto-22	Agente antineoplásico	Leucemia mieloide aguda
Dabrafenib (mesylate)	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	septiembre-22	Agente antineoplásico	Glioma
Trametinib (dimethyl sulfoxide)	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	septiembre-22	Agente antineoplásico	Glioma
Epcoritamab	Biológico	Parenteral	AbbVie Deutschland GmbH & Co. KG	octubre-22	Agente antineoplásico	Linfoma difuso de células B grandes
Leniolisib (phosphate)	Químico	Oral	Pharming Technologies B.V.	octubre-22	Agente antineoplásico	Síndrome de fosfoinositid o 3-quinasa δ activada (APDS)
Momelotinib (dihydrochloride monohydrate)	Químico	Oral	Sierra Oncology Inc.	diciembre-22	Agente antineoplásico	Mielofibrosis primaria



Sección 1: Horizon Scanning

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

- ▶ En diciembre 2022 no hay **nuevos medicamentos huérfanos oncológicos ni nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos oncológicos con opinión positiva CHMP** que estén **pendientes de decisión** por parte de la **CE³**.



Sección 1: Horizon Scanning

D. Medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España (I)

- En diciembre 2022, hay 14 **nuevos medicamentos huérfanos oncológicos** autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España, **6** de ellos con **aprobación condicional***, **2** con **autorización en circunstancias excepcionales**** y **6** con **aprobación normal⁴**.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Autorización CE	Área terapéutica	Indicación
Xaluprine® (antes Mercaptopurine Nova Laboratories)	Mercaptopurina	Químico	Oral	Nova Laboratories Ireland Limited	marzo-12	Agentes antineoplásicos	Leucemia linfoblástica aguda (LLA)
Ayvakyt®	Avapritinib	Químico	Oral	Blueprint Medicines (Netherlands) B.V.	septiembre-20	Otros agentes antineoplásicos, inhibidor de la proteína cinasa	Tumores del estroma gastrointestinal (TEGI) irresecables o metastásicos
Elzonris®**	Tagraxofusp	Biológico	Parenteral	Stemline Therapeutics B.V.	enero-21	Agentes antineoplásicos, otros medicamentos antineoplásicos	Neoplasia de células dendríticas plasmocitoides blásticas (NCDPB)
Inrebic®	Fedratinib dihydrochloride monohydrate	Químico	Oral	Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG	febrero-21	Agentes antineoplásicos, inhibidores de la proteína cinasa	Mielofibrosis
Koselugo®*	Selumetinib	Químico	Oral	AstraZeneca AB	junio-21	Agentes antineoplásicos, inhibidores de la proteína cinasa	Neurofibromatosis de tipo 1 (NF1)

*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 oncológicos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España (II)

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Autorización CE	Área terapéutica	Indicación
Abecma®*	Idecabtagene vicleucel	Terapia avanzada	Parenteral	Bristol-Myers Squibb Pharma EEIG	agosto-21	Agentes antineoplásicos	Mieloma múltiple en recaída y refractario
Minjuvi®*	Tafasitamab	Biológico	Parenteral	Incyte Biosciences Distribution B.V.	agosto-21	Agentes antineoplásicos anticuerpos monoclonales	Linfoma difuso de células B grandes (DLBCL)
Qinlock®	Ripretinib	Químico	Oral	Deciphera Pharmaceuticals (Netherlands) B.V.	noviembre-21	Agentes antineoplásicos otros inhibidores de la proteína quinasa	Tumor avanzado del estroma gastrointestinal (GIST)
Kimmtrak®	Tebentafusp	Biológico	Parenteral	Immunocore Ireland Limited	abril-22	Agentes antineoplásicos	Melanoma uveal irrecsectable o metastásico
Carvykti®*	Ciltacabtagene autoleucel	Terapia avanzada	Parenteral	Janssen-Cilag International NV	mayo-22	Otros agentes antineoplásicos	Mieloma múltiple en recaída y refractario
Lunsumio®*	Mosunetuzumab	Biológico	Parenteral	Roche Registration GmbH	junio-22	Agentes antineoplásicos	Linfoma folicular (LF) en recaída o refractario
Tecvayli®*	Teclistamab	Biológico	Parenteral	Janssen-Cilag International N.V.	agosto-22	Agentes antineoplásicos	Tratamiento de pacientes adultos con mieloma múltiple en recaída o refractario, que hayan recibido previamente ≥3 líneas previas de terap
Scemblix®	Asciminib (hydrochloride)	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	agosto-22	Agentes antineoplásicos inhibidores de la proteína cinasa	Leucemia mieloide crónica en fase crónica con cromosoma Filadelfia positivo (LMC-FC Ph+)
Ebvallo®**	Tabelecleucel	Terapia avanzada	Parenteral	Atara Biotherapeutics Ireland Limited	diciembre-22	Otros agentes antineoplásicos	Enfermedad linfoproliferativa postrasplante asociado al virus de Epstein-Barr (EBV+ PTLD)



Sección 1: Horizon Scanning

D. Nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos oncológicos autorizadas por la CE y actualmente no financiadas en España (I)

- En diciembre 2022, hay 5 nuevas indicaciones de 4 medicamentos huérfanos oncológicos autorizadas por la CE y actualmente no financiadas en España. Algunas de ellas ya están comercializadas en España y otras no^{5,6,7}.

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Tecartus®	Brexucabtagene autoleucel	Terapia avanzada	Parenteral	Kite Pharma EU B.V.	diciembre - 2020	Agentes antineoplásicos

Indicación	Opinión + CHMP	Aut. CE	Comercializada en España
Tecartus® está indicado en el tratamiento de pacientes adultos con leucemia linfoblástica aguda (LLA) de precursores de células B refractaria o en recaída.	julio - 2022	septiembre - 2022	No



Sección 1: Horizon Scanning

D. Nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos oncológicos autorizadas por la CE y actualmente no financiadas en España (II)

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Yescarta®	Axicabtagene ciloleucel	Terapia avanzada	Parenteral	Kite Pharma EU B.V.	agosto-18	Agentes antineoplásicos

Indicación	Opinión + CHMP	Aut. CE	Comercializada en España
Yescarta® está indicado para el tratamiento de pacientes adultos con linfoma B difuso de células grandes (LBDCG) y linfoma B de alto grado (LBAG) refractario o en recaída en los 12 meses después de haber completado inmunoterapia de primera línea.	septiembre - 2022	octubre - 2022	No
Yescarta® está indicado para el tratamiento de pacientes adultos con linfoma folicular (LF) refractario o en recaída después de tres o más líneas de tratamiento sistémico.	abril - 2022	junio - 2022	No



Sección 1: Horizon Scanning

D. Nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos oncológicos autorizadas por la CE y actualmente no financiadas en España (III)

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Kymriah®	Tisagenlecleucel	Terapia avanzada	Parenteral	Novartis Europharm Limited	agosto-18	Agentes antineoplásicos

Indicación	Opinión + CHMP	Aut. CE	Comercializada en España
Kymriah® está indicado en el tratamiento del linfoma folicular (LF) en recaída o refractario después de dos o más líneas de tratamiento sistémico en pacientes adultos.	marzo - 2022	abril - 2022	Sí



Sección 1: Horizon Scanning

D. Nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos oncológicos autorizadas por la CE y actualmente no financiadas en España (IV)

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Blinicyto®	Blinatumomab	Biológico	Parenteral	Amgen Europe B.V.	noviembre - 2015	Agentes antineoplásicos

Indicación	Opinión + CHMP	Aut. CE	Comercializada en España
Blinicyto® está indicado para el tratamiento de pacientes pediátricos a partir de 1 año de edad en monoterapia con LLA de precursores B con cromosoma Filadelfia negativo, CD19 positivo en primera recaída de alto riesgo como parte del tratamiento de consolidación.	mayo - 2021	junio - 2021	No



Sección 2: Descripción de los nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España



Sección 2: Descripción de los nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE

D. Nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en diciembre 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Ebvallo® (Tabelecleucel)	<p>Indicación: Ebvallo® está indicado en monoterapia para el tratamiento de pacientes adultos y pediátricos de 2 años de edad y mayores con enfermedad linfoproliferativa postrasplante positiva asociada al virus de Epstein-Barr (EBV+ PTLD) en recaída o refractaria que han recibido al menos un tratamiento previo. En el caso de los pacientes con trasplante de órganos sólidos, el tratamiento previo incluye quimioterapia, a menos que no sea adecuada.</p> <p>Eficacia: Ebvallo® demostró su eficacia en el control de la ELPT EBV+ en un estudio principal en el que participaron 43 pacientes que desarrollaron la enfermedad tras recibir un trasplante de órganos o de médula ósea, y en los que había fracasado al menos un tratamiento previo. En el grupo de pacientes que desarrollaron EBV+ PTLD después de un trasplante de órgano, 15 de 29 pacientes lograron una respuesta completa o parcial, lo que significa que los signos de cáncer desaparecieron o disminuyeron. En el grupo de pacientes que desarrollaron EBV+ PTLD después de un trasplante de médula ósea, 7 de 14 pacientes tuvieron una respuesta completa o parcial con Ebvallo®. Se observó una duración de la respuesta superior a 6 meses en 4 pacientes del grupo de trasplante de órganos y en 6 pacientes del grupo de trasplante de médula ósea.</p> <p>Seguridad: Las reacciones adversas más frecuentes fueron fiebre (31,1%), diarrea (26,2%), cansancio (23,3%), náuseas (18,4%), anemia (16,5%), disminución del apetito (15,5%), hiponatremia (15,5%), dolor abdominal (14,6%), disminución del recuento de leucocitos (14,6%), disminución del recuento de neutrófilos (14,6%), aumento de aspartato aminotransferasa (13,6%), estreñimiento (12,6%), aumento de alanina aminotransferasa (11,7%), aumento de fosfatasa alcalina en sangre (11,7%), hipoxia (11,7%), deshidratación (10,7%), hipotensión (10,7%), congestión nasal (10,7%) y exantema (10,7%).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/ebvallo-epar-public-assessment-report_en.pdf

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Scemblix® (Asciminib)	<p>Indicación: Scemblix® está indicado en el tratamiento de pacientes adultos con leucemia mieloide crónica en fase crónica con cromosoma Filadelfia positivo (LMC-FC Ph+) previamente tratado con dos o más inhibidores de la tirosina cinasa.</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Scemblix® se evaluaron en un estudio principal realizado en 233 adultos con LMC Ph+ en fase crónica tratados previamente con dos o más inhibidores de la tirosina quinasa. En este estudio, Scemblix® fue más eficaz que bosutinib: tras 24 semanas de tratamiento, el 25% (40 de 157) de los pacientes que recibieron Scemblix® presentaron una respuesta molecular importante (lo que significa que el número de células con el gen BCR::ABL1 había disminuido hasta 1.000 veces por debajo del valor basal estandarizado), en comparación con el 13% (10 de 76) de los pacientes que recibieron bosutinib. Tras 96 semanas de tratamiento, el 38% (59 de 157) de los pacientes tratados con Scemblix® y el 16% (12 de 76) de los pacientes tratados con bosutinib presentaron una respuesta molecular importante.</p> <p>Seguridad: Las reacciones adversas graves sucedieron en el 12,4 % de los pacientes que recibieron Scemblix®. Las reacciones adversas graves más frecuentes (incidencia ≥1 %) fueron derrame pleural (2,5 %), infecciones respiratorias de vías bajas (2,2 %), trombocitopenia (1,7 %), pirexia (1,4 %), pancreatitis (1,1 %), dolor torácico no-cardíaco (1,1 %) y vómitos (1,1 %).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/scemblix-epar-public-assessment-report_en.pdf



Sección 2: Descripción de los nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE

D. Nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en diciembre 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Tecvayli® (Teclistamab)	<p>Indicación: TECVAYLI® está indicado en monoterapia para el tratamiento de pacientes adultos con mieloma múltiple en recaída y refractario, que han recibido al menos tres tratamientos previos, incluidos un agente inmunomodulador, un inhibidor del proteasoma y un anticuerpo anti-CD38 y han presentado progresión de la enfermedad al último tratamiento.</p> <p>Eficacia: La eficacia de Tecvayli® se ha investigado en un estudio en curso en el que participaron 165 pacientes con mieloma múltiple que habían recibido al menos tres tratamientos previos (incluidos un agente inmunomodulador, un inhibidor del proteasoma y un anticuerpo anti-CD38) y cuya enfermedad no había mejorado (refractaria) o había reaparecido (recaída) tras el último tratamiento. En este estudio, el 63% (104 de 165) de los pacientes respondieron al tratamiento con Tecvayli® y vivieron una media de 18 meses sin que su enfermedad empeorara.</p> <p>Seguridad: Se notificaron reacciones adversas graves en el 65 % de los pacientes tratados con Tecvayli®, incluyendo neumonía (16 %), COVID-19 (15 %), síndrome de liberación de citocinas (8 %), sepsis (7 %), fiebre (5 %), dolor musculoesquelético (5 %), lesión renal aguda (4,8 %), diarrea (3,0 %), celulitis (2,4 %), hipoxia (2,4 %), neutropenia febril (2,4 %) y encefalopatía (2,4 %).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/tecvayli-epar-public-assessment-report_en.pdf

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Lunsumio®(Mosunetuzumab)	<p>Indicación: Lunsumio® como monoterapia está indicado para el tratamiento de pacientes adultos con linfoma folicular (LF) en recaída o refractario que han recibido al menos dos terapias sistémicas previas.</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Lunsumio® se evaluaron en un estudio en adultos con linfoma folicular en recaída o refractario que habían recibido al menos dos terapias sistémicas previas. En este estudio, Lunsumio® no se comparó con otros medicamentos. En respuesta al tratamiento, el cáncer se redujo o desapareció en el 80 % de los pacientes (72 de 90), mientras que el 60% de los pacientes (54 de 90) alcanzaron una respuesta completa. La duración de la respuesta fue, en promedio, de al menos 12 meses en el 62 % de los pacientes.</p> <p>Seguridad: Las reacciones adversas observadas más frecuentes (≥ 20%) fueron síndrome de liberación de citoquinas, neutropenia, pirexia, hipofosfatemia y cefalea. Las reacciones adversas graves observadas más frecuentes (≥ 2%) incluyeron síndrome de liberación de citoquinas (SLC) (21% según el sistema de graduación ASTCT), pirexia (5%), y neumonía (3%). Nueve de 218 pacientes (4,1%) interrumpieron Lunsumio® debido a un efecto adverso. El SLC fue el único efecto adverso que condujo a la interrupción en más de un paciente (2 pacientes [0,9%]).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/lunsumio-epar-public-assessment-report_en.pdf



Sección 2: Descripción de los nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE

D. Nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en diciembre 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Carvykti® (Ciltacabtagene autoleucel)	<p>Indicación: CARVYKTI® está indicado para el tratamiento de pacientes adultos con mieloma múltiple en recaída y refractario que han recibido al menos tres tratamientos previos, incluidos un agente inmunomodulador, un inhibidor del proteosoma y un anticuerpo anti-CD38 y han presentado progresión de la enfermedad al último tratamiento.</p> <p>Eficacia: Un estudio principal demostró que una única perfusión de Carvykti® era eficaz para eliminar las células cancerosas en pacientes con mieloma múltiple que había reaparecido y no habían respondido a tres o más tratamientos anteriores. Al cabo de un año y medio, alrededor del 84 % de los pacientes (95 de 113) presentaron una buena respuesta al tratamiento y en el 69 % (78 de 113) los signos de cáncer habían desaparecido (respuesta completa). En este estudio no se comparó Carvykti® con otro medicamento. Estos resultados fueron mejores que los observados en otros estudios de pacientes que recibieron los tratamientos estándar para el mieloma múltiple.</p> <p>Seguridad: Los efectos adversos graves más frecuentes son síndrome de liberación de citocinas, trombocitopenia, neutropenia febril (niveles bajos de neutrófilos con fiebre), neumonía (infecciones pulmonares), sepsis (intoxicación sanguínea) y un trastorno 2 neurológico denominado ICANS (síndrome de neurotoxicidad asociada a células efectoras inmunitarias) que puede incluir problemas de habla y escritura, confusión y disminución del nivel de consciencia. Las personas que no pueden recibir quimioterapia para eliminar los glóbulos blancos existentes no deben recibir Carvykti®.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/carvykti-epar-public-assessment-report_en.pdf

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Kimtrak® (Tebentafusp)	<p>Indicación: KIMMTRAK® está indicado en monoterapia para el tratamiento del melanoma uveal irreseccable o metastásico en pacientes adultos con antígeno leucocitario humano (HLA)-A*02:01 positivo.</p> <p>Eficacia: Un estudio realizado en 378 adultos con melanoma uveal avanzado investigó la eficacia de Kimtrak® frente a otros medicamentos (dacarbazina, ipilimumab o pembrolizumab). Los pacientes tratados con Kimtrak® sobrevivieron 21,7 meses, frente a los 16,0 meses de los pacientes tratados con los comparadores. Los pacientes tratados con Kimtrak® vivieron una media de 3,3 meses antes de que el cáncer reapareciera, apareciera un nuevo melanoma o fallecieran, frente a los 2,9 meses de los pacientes tratados con los comparadores.</p> <p>Seguridad: Las reacciones adversas conllevaron la suspensión permanente del tratamiento con KIMMTRAK® en el 4 % de los pacientes. La reacción adversa más frecuente que dio lugar a la suspensión del tratamiento fue el síndrome de liberación de citocinas. Las reacciones adversas que conllevaron la interrupción de al menos una dosis se produjeron en el 26 % de los pacientes tratados con KIMMTRAK® (con dosis semanales). Las reacciones adversas que requirieron interrupción de la pauta posológica en ≥ 2 % de los pacientes fueron fatiga (3 %; grado 1-3), pirexia (2,7 %; grado 1-3), alanina aminotransferasa elevada (2,4 %; grado 1-4), aspartato aminotransferasa elevada (2,4 %; grado 1-3), dolor abdominal (2,1 %; grado 1-3) y lipasa elevada (2,1 %; grado 1-3). Las reacciones adversas que conllevaron la modificación de al menos una dosis se produjeron en el 4,2 % de los pacientes del grupo de tratamiento con KIMMTRAK®. Las reacciones adversas que requirieron la modificación de la dosis en ≥ 1 % de los pacientes fueron síndrome de liberación de citocinas (1,9 %; grado 1-3) e hipotensión (1,1 %; grado 2-4).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/kimtrak-epar-public-assessment-report_en.pdf



Sección 2: Descripción de los nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE

D. Nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en diciembre 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Minjuvi® (Tafasitamab)	<p>Indicación: Minjuvi® está indicado en combinación con lenalidomida seguido de Minjuvi® en monoterapia para el tratamiento de pacientes adultos con linfoma difuso de células B grandes en recaída o refractario que no son elegibles para un trasplante autólogo de células madre.</p> <p>Eficacia: Tafasitamab en combinación con lenalidomida mostró resultados alentadores con una elevada tasa de respuesta global con larga duración de la respuesta y mejoras en la supervivencia libre de progresión y la supervivencia global en un entorno con un pronóstico desalentador.</p> <p>Seguridad: El estudio pivotal L-MIND mostró una alta incidencia de efectos adversos (todos los grados) en los SOC Infecciones e Infecciones (72,8%), trastornos de la sangre y del sistema linfático (65,4%), especialmente neutropenia, y trastornos gastrointestinales (64,2%). Estos eventos adversos son los esperables en las enfermedades hematológicas en un contexto de recaída/refractario y se consideran manejables.</p> <p>El CHMP considera necesarias diversas medidas para abordar los datos de seguridad que faltan en el contexto de una autorización de comercialización condicional.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/minjuvi-epar-public-assessment-report_en.pdf

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Qinlock® (Ripretinib)	<p>Indicación: Qinlock® está indicado para el tratamiento de pacientes adultos con tumor del estroma gastrointestinal gastro intestinal avanzado (GIST) que hayan recibido tratamiento con tres o más inhibidores de la quinasa incluido el imatinib.</p> <p>Eficacia: Ripretinib se desarrolló como un inhibidor pan-KIT y PDGFRA con capacidad para inhibir ampliamente la actividad quinasa de KIT y PDGFRA, incluyendo el tipo salvaje y las mutaciones primarias y secundarias.</p> <p>Seguridad: Existen tasas elevadas de notificación de efectos adversos debido al tratamiento, eventos de grado 3/4 y eventos adversos graves. Sin embargo, existe una baja tasa de interrupciones del tratamiento debido a los efectos adversos y de pacientes que necesitaron una reducción de la dosis debido a los efectos adversos.</p>
Disponible en:	ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/qinlock-epar-public-assessment-report_en.pdf



Sección 2: Descripción de los nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE

D. Nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en diciembre 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Abecma® (Idecabtagene vicleucel)	<p>Indicación: Abecma® está indicado para el tratamiento de pacientes adultos con mieloma múltiple que hayan recibido al menos tres terapias previas, incluyendo un inmunomodulador, un inhibidor del proteasoma y un anticuerpo anti CD38.</p> <p>Eficacia: Abecma® mostró tasas de respuesta consideradas clínicamente significativas y muy por encima de las registradas con el tratamiento estándar actual. Los resultados de los criterios de valoración secundarios fueron coherentes con el criterio de valoración principal. Sin embargo, se consideran necesarias medidas adicionales para garantizar el seguimiento de la eficacia, así como medidas para abordar los datos de eficacia que faltan en el contexto de una autorización de comercialización condicional</p> <p>Seguridad: El perfil de seguridad es coherente con el mecanismo de acción y con lo que se conoce de otros productos de células CAR T. Las principales preocupaciones son la RSC, la neurotoxicidad, las citopenias y las infecciones. En general, los EA fueron manejables en el rango de dosis de 150 a 450 x 10⁶ células CAR T.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/abecma-epar-public-assessment-report_en.pdf

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Koselugo® (Selumetinib)	<p>Indicación: 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.</p> <p>Eficacia: El estudio principal demostró que Koselugo® es eficaz en el tratamiento de neurofibromas plexiformes en niños con NF1 al reducir el tamaño de estos tumores. En el estudio, el tamaño del tumor disminuyó al menos un 20% en 33 de 50 (66%) niños de 3 años o más con NF1 y neurofibromas plexiformes que no podían extirparse mediante cirugía.</p> <p>Seguridad: Las reacciones adversas graves más frecuentes de Koselugo® son diarrea, anemia (recuento bajo de glóbulos rojos), fiebre, aumento de la creatina fosfoquinasa en sangre y aumento de la creatinina en sangre (signo de problemas renales). Koselugo® no debe utilizarse en pacientes con enfermedad hepática grave.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/koselugo-epar-public-assessment-report_en.pdf



Sección 2: Descripción de los nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE

D. Nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en diciembre 2022

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

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Elzonris® (Tagraxofusprato)	<p>Indicación: Elzonris® está indicado en monoterapia para el tratamiento de pacientes adultos con neoplasia de células dendríticas plasmocitoides blásticas</p> <p>Eficacia: Los resultados de eficacia obtenidos para la población de células dendríticas plasmocitoides blásticas de primera línea, incluyendo pacientes de todos los estadios, mostraron una tasa aceptable de respuestas completas (72,4%, sin alcanzar la duración media) con pacientes que logran una respuesta completa de la médula ósea.</p> <p>Seguridad: Tagraxofusp mostró un perfil de seguridad desfavorable con una elevada incidencia y un alto nivel de gravedad de los acontecimientos notificados, principalmente relacionados con la hepatotoxicidad, el síndrome de fuga capilar y las anomalías hematológicas. Las reacciones de hipersensibilidad, la fatiga, la pirexia y el dolor fueron también reacciones adversas frecuentes reacciones adversas al tagraxofusp.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/elzonris-epar-public-assessment-report_en.pdf



Sección 2: Descripción de los nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE

D. Nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en diciembre 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Ayvakyt® (Avapritinib)	<p>Indicación: Ayvakyt® está indicado como monoterapia para el tratamiento de pacientes adultos con tumores del estroma gastrointestinal resecables o metastásicos que albergan la mutación D842V del receptor del factor de crecimiento derivado de las plaquetas (PDGFRA).</p> <p>Eficacia: Avapritinib ha demostrado una tasa de respuesta global extraordinaria y duradera en pacientes que expresan la mutación D842V del PDGFRA independientemente de la línea de tratamiento anterior, lo que no tiene precedentes en un subconjunto de población que tradicionalmente no responde al tratamiento con TKI. Aun reconociendo las limitaciones asociadas al bajo número de pacientes número de pacientes tratados, se ha demostrado el beneficio clínico de este tratamiento en la población objetivo prevista.</p> <p>Seguridad: Basándose en la totalidad de las pruebas disponibles, se concluye que avapritinib presenta una toxicidad sustancial, como demuestra la elevada incidencia de acontecimientos adversos graves, incluso mortales y que ponen en peligro la vida. No obstante, el perfil de seguridad es coherente con el observado en otros TKI, con importantes toxicidades gastrointestinales y hematológicas.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/ayvakyt-epar-public-assessment-report_en.pdf

Medicamento	Descripción de resultados según EPAR
Xaluprine® (mercaptopurina)	<p>Indicación: Xaluprine® está indicado para el tratamiento de la leucemia linfoblástica aguda en adultos, adolescentes y niños.</p> <p>Eficacia: No se proporcionaron más estudios de eficacia clínica con mercaptopurina porque hay suficiente experiencia clínica a partir de los datos actualmente disponibles, ya que la 6-MP oral en forma de comprimidos ya está autorizada en la UE para el tratamiento de la leucemia linfoblástica aguda.</p> <p>El estudio de bioequivalencia sugirió que los dos productos tienen una biodisponibilidad similar (AUC), pero que la absorción era más rápida a partir de la suspensión, con una C_{máx} considerablemente mayor.</p> <p>Seguridad: El perfil de seguridad de la mercaptopurina se deriva de 50 años de uso clínico. Las reacciones adversas más frecuentes incluyen estomatitis, náuseas, vómitos, anorexia, úlceras gastrointestinales y hemorragias.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/assessment-report/mercaptopurine-nova-laboratories-epar-public-assessment-report_en.pdf



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 oncológicos** desde el comienzo de su evaluación por procedimiento centralizado en la EMA hasta **diciembre 2022, según cuatro categorías:**

- ▶ **A.** La EMA está evaluando a través de su programa **PRIME un total de 14 medicamentos huérfanos oncológicos**, de los cuales **8 son terapias avanzadas, 1 es sustancia química y 5 productos biológicos.**
- ▶ **B.** De los **15 medicamentos huérfanos oncológicos en evaluación por el CHMP, 12 son sustancias químicas y 3 son productos biológicos.**
- ▶ **C.** En diciembre 2022 no hay **nuevos medicamentos huérfanos oncológicos ni nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos oncológicos con opinión positiva CHMP que estén pendientes de decisión por parte de la CE.**
- ▶ **D.** De los **14 nuevos medicamentos huérfanos oncológicos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España en diciembre 2022, 3 son terapias avanzadas, 6 son sustancias químicas y 5 biológicos.** Además, **6 de los 14 recibieron la aprobación de manera condicional, y 2 autorización en circunstancias excepcionales.**
 - Hay **5 nuevas indicaciones de 4 medicamentos huérfanos oncológicos autorizadas por la CE y actualmente no financiadas en España. De las cuales, 4 no están comercializadas actualmente en España y 1 sí.**
 - De los **4 medicamentos huérfanos oncológicos con nuevas indicaciones autorizadas por la CE en este periodo y actualmente no financiadas en España, 3 son terapias avanzadas y 1 es un producto biológico.**



Referencias



Referencias

1. EMA. PRIME: priority medicines. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines> Consultado el: 31/12/2022
2. EMA. Medicines under evaluation. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-under-evaluation> Consultado el: 31/12/2022
3. EMA. Medicines pending EC decision. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data#pending-ec-decisions:-summaries-of-opinion-section> Consultado el 31/12/2022
4. EMA. Medicines Medicine Download EPAR [https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data#european-public-assessment-reports-\(epar\)-section](https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data#european-public-assessment-reports-(epar)-section) Consultado el: 31/12/2022
5. EMA. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en> Consultado 31/12/2022
6. CIMA. Disponible en <https://cima.aemps.es/cima/publico/home.html> Consultado 31/12/2022
7. BIFIMED. Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 31/12/2022