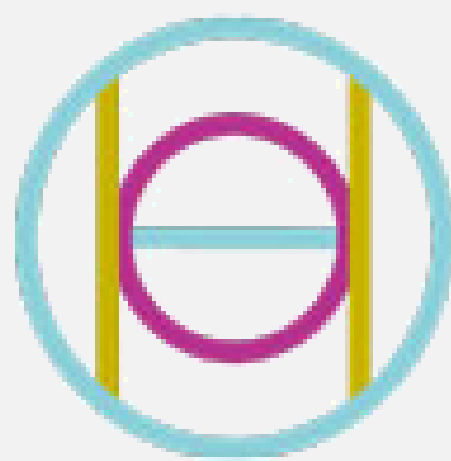


# Horizon Scanning

Medicamentos Huérfanos **NO** Oncológicos

*VII informe*

*Julio 2023*



**orpharsefh**

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

En colaboración con:

**sanofi**

 **OMAKASE**  
consulting

 **sefh**  
Sociedad Española  
de Farmacia Hospitalaria

# Contenidos



**Introducción**



**Metodología**



**Resultados**



**Sección 1: Horizon Scanning**



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



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



**Conclusiones**



**Referencias**



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



**orpharsefh**

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



# Introducción



## Introducción

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

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

Previamente se presentaron seis informes con los datos de estos medicamentos actualizados hasta junio de 2020, diciembre de 2020, junio de 2021, diciembre 2021, junio 2022 y diciembre 2022. A continuación, se presenta el séptimo informe Horizon Scanning, el cual incluye estos datos actualizados hasta junio de 2023.

Es 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.

José Luis Poveda Andrés

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



## Objetivos

1. Identificación de todos los **nuevos medicamentos huérfanos** no oncológicos y **nuevas indicaciones** en evaluación por la **Agencia Europea del Medicamento (EMA)**, hasta junio 2023 y que podrían ser comercializados a corto y medio plazo en España (*Horizon Scanning*).

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



# Metodología



## Metodología

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

**A.** Medicamentos en el programa PRIME de la EMA



**B.** Medicamentos en evaluación por el CHMP



**C.** Opinión positiva del CHMP



**D.** Autorización CE



Autorización en España  
(AEMPS)



**Comercialización en  
España**



### Identificación de medicamentos

Se clasifican los medicamentos en:

- ▶ **A. Medicamentos que están en el programa PRIME\* de la EMA (*Priority medicines*):** se ha comprobado la sección PRIME de la página web de la EMA. Esta sección contiene un documento en formato Excel donde se recogen los medicamentos seleccionados como PRIME que se actualiza mensualmente. *Última actualización el 30 de junio 2023*
- ▶ **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 por huérfanos y no huérfanos. *Última actualización el 30 de junio 2023*
- ▶ **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 30 de junio 2023*
- ▶ **D. Medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España:** se utilizó el buscador de la EMA filtrando por categoría (human), fecha de autorización de comercialización (último año) y por designación huérfana. Para completar con los medicamentos no comercializados en España con autorización CE anterior a ese periodo, se consultó la base de datos de medicamentos huérfanos de Omakase Consulting. Adicionalmente, se consultaron las agendas y resúmenes de las reuniones del CHMP. *Última actualización el 30 de junio 2023*

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





# Metodología

## Periodo temporal de búsqueda

El Orphar-SEFH Horizon Scanning incluye todos los medicamentos huérfanos en evaluación por la EMA hasta junio de 2023

## Criterios de inclusión y exclusión de medicamentos

**Se han incluido nuevos medicamentos huérfanos:**

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

**Se han incluido nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos no oncológicos:**

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

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

**Se han excluido:**

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



# 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.

The screenshot displays the EMA website interface. At the top, the logo and name 'EUROPEAN MEDICINES AGENCY' are visible. Below the navigation bar, the 'Medicines' section is active. A search bar is present with a magnifying glass icon and a 'Search' button. Below the search bar, there are filters for 'Medicines under evaluation', 'National registers', and 'Medicines for use outside the EU'. 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 on its authorization date and revision. The second result is 'Human medicine European public assessment report (EPAR): Abilify' with details on its authorization date and revision. The third result is 'Opinion/decision on a Paediatric investigation plan (PIP): Abilify, aripiprazole' with details on its decision type and PIP number. A magnifying glass icon is overlaid on the search results.



# Metodología

## Bases de datos empleadas

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

Principio activo o asociación \*

(+) Añadir Principio

Nombre o CN del medicamento

Situación de financiación

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

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

Tipo de medicamento

Desde Hasta

Desde Hasta

Genérico  Biosimilar  Huérfano  Biológico

Buscar Limpiar

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

ESPAÑOL ENGLISH

QUÉ ES CIMA NOMENCLÁTOR GLOSARIO Iniciar sesión

ENCUENTRA TU MEDICAMENTO AQUÍ

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

Buscador para profesionales sanitarios >>

Medicamentos y gluten

Info. Prospecto

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



## 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 **diciembre de 2022 a junio de 2023** aparecerán señalados en gris.

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

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



# Resultados



## Resultados

### A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA

29

Medicamentos en el programa PRIME

### B. Medicamentos en evaluación por el CHMP

13

Nuevos medicamentos en evaluación por el CHMP

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

1

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

1

Nuevas indicaciones con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión por la CE

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

27

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

6

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

4

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



# Sección 1: Horizon Scanning



## Sección 1: Horizon Scanning

### A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en junio 2023

- En junio 2023, hay un total de **29 medicamentos en el programa PRIME de la EMA**, **16 de ellos** están clasificados como **productos de terapia avanzada (ATMP)**<sup>1</sup>.

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Seladelpar (MBX-8025)	Químico	Oral	Cymabay Ireland Limited	octubre-16	Gastroenterología- Hepatología	Colangitis biliar primaria
Proteína de fusión de la región constante de la inmunoglobulina G1 humana con el dominio de unión al receptor de la ectodisplasina A1 humana	Biológico	Parenteral	Florence Porte Thomé, France	octubre-17	Dermatología	Displasia ectodermal hipohidráulica ligada al cromosoma X
Setrusumab (anticuerpo monoclonal humanizado IgG2 lambda recombinante contra la esclerostina humana, BPS804)	Biológico	Parenteral	Mereo Biopharma Ireland	noviembre-17	Otros	Osteogénesis imperfecta I, III y IV
Vector viral asociado a Adenovirus de serotipo 8 que contiene el gen CNGB3 humano (AAV2/8-hCARp.hCNGB3)	Terapia avanzada	Oftalmológica	MeiraGTx B.V.	febrero-18	Oftalmología	Acromatopsia asociada a defectos en CNGB3
Vector viral adeno asociado serotipo 8 que contiene el gen MTM1 humano (AT132) resamirigene bilparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	Audentes Therapeutics Netherlands B.V.	mayo-18	Otros	Miopatía miotubular ligada al cromosoma X
Tominersen (RO7234292)	Químico	Parenteral	Roche Registration GmbH	julio-18	Neurología	Enfermedad de Huntington
Células CD34+ autólogas transducidas con un vector lentiviral que codifica el gen de beta globina humana (OTL-300)	Terapia avanzada	Parenteral	Orchard Therapeutics Ltd	septiembre-18	Hematología- Hemostasia	Beta talasemia dependiente de transfusiones
Vector viral recombinante adeno-asociado serotipo S3 que contiene un casete de expresión optimizado en codones que codifica la variante del factor IX de coagulación humano (FLT180a)	Terapia avanzada	Parenteral	Freeline Therapeutics	febrero-19	Hematología- Hemostasia	Hemofilia B
Virus del herpes simple-1 genéticamente modificado e incompetente para la replicación que expresa colágeno VII (KB103)	Terapia avanzada	Transdérmica	IDEA Innovative Drug European Associates	marzo-19	Dermatología	Epidermolisis distrófica bullosa





## Sección 1: Horizon Scanning

### A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en junio 2023

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Sepofarsen (QR-110)	Químico	Oftalmológica	ProQR Therapeutics IV B.V.	julio-19	Oftalmología	Amaurosis congénita de Leber
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	diciembre-19	Hematología-Hemostasia	Anemia de Fanconi tipo A
Rebisufligene etisparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	Abeona Therapeutics Inc	diciembre-19	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Mucopolisacaridosis tipo IIIA (Síndrome A Sanfilippo)
Linfocitos T alogénicos multivíricos específicos contra el virus BK, el citomegalovirus, el virus del herpes humano 6, el virus de Epstein Barr y el adenovirus (ALVR-105)	Terapia avanzada	Parenteral	Allovir International DAC	enero-20	Enfermedades infecciosas	Tratamiento de infecciones graves por virus BK, citomegalovirus, virus del herpes humano 6, virus de Epstein Barr y / o adenovirus en receptores de TCMH alogénico
Vector viral asociado a adenovirus serotipo 5 que contiene el gen RPGR humano	Terapia avanzada	Subretinal	Janssen-Cilag International N.V.	febrero-20	Oftalmología	Retinitis pigmentosa ligada al cromosoma X
Sotatercept	Biológico	Parenteral	Acceleron Pharma	abril-20	Cardiovascular	Hipertensión arterial pulmonar (HAP)
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	Inmuno-reumatología trasplante	Tratamiento de la dermatomiositis



## Sección 1: Horizon Scanning

### A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en junio 2023

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Apitegromab	Biológico	Parenteral	Yes Pharmaceutical Development Services GmbH	marzo-21	Neurología	Tratamiento de la atrofia muscular espinal
RP-L201	Terapia avanzada	Parenteral	Rocket Pharmaceuticals Inc	marzo-21	Inmuno-reumatología trasplante	Tratamiento de la deficiencia de adhesión de leucocitos-I
CTI-1601	Biológico	Parenteral	YES Pharmaceutical Development Services GmbH	mayo-21	Neurología	Tratamiento de la Ataxia de Friedreich
MB-107	Terapia avanzada	Parenteral	Mustang Bio	julio-21	Inmuno-reumatología trasplante	Tratamiento de la inmunodeficiencia combinada grave ligada al cromosoma X (XSCID) en lactantes recién diagnosticados
Pabinafusp alfa (JR-141)	Biológico	Parenteral	JCR Pharmaceuticals Co	octubre-21	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Tratamiento de la mucopolisacaridosis tipo II (MPS II)
BCX9250	Químico	Oral	BioCryst Pharmaceuticals, Inc.	abril-22	Trastornos musculoesqueléticos y del tejido conectivo	Tratamiento de la fibrodisplasia osificante progresiva
DNL310	Biológico	Parenteral	Denali Therapeutics Inc	mayo-22	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Tratamiento de la mucopolisacaridosis tipo II
Pariglasgene breca parvovec (DTX401)	Terapia avanzada	Parenteral	Ultragenyx Germany GmbH	septiembre-22	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de almacenamiento de glucógeno tipo Ia (GSD Ia, enfermedad de von Gierke)



## Sección 1: Horizon Scanning

### A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en junio 2023

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Nicardipine	Químico	Parenteral	Bit Pharma GmbH	octubre-22	Neurología	Tratamiento de la hemorragia subaracnoidea no traumática en pacientes sometidos a cirugía
FBX-101	Terapia avanzada	Parenteral	Propharma Group The Netherlands B.V.	diciembre-22	Neurología	Tratamiento de la enfermedad de Krabbe/leucodistrofia de células globoides
AGTC-501 (laruparetigene zovaparvovec)	Terapia avanzada	Subretinal	Beacon Therapeutics	abril-23	Oftalmología	Tratamiento de la retinitis pigmentosa ligada al cromosoma X
RP-A501	Terapia avanzada	Parenteral	Rocket Pharmaceuticals	mayo-23	Cardiovascular	Tratamiento de la enfermedad de Danon



## Sección 1: Horizon Scanning

### B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en junio 2023

- ▶ En junio 2023, hay un total de **13 medicamentos en evaluación por el CHMP**, 3 de ellos está clasificado como **producto de terapia avanzada (ATMP)**<sup>2</sup>.

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Polihexanide	Químico	Oftalmológica	S.I.F.I. Società Industria Farmaceutica Italiana S.p.A.	mayo-22	Oftalmología	Tratamiento de la queratitis por acanthamoeba
Leriglitzone (hydrochloride)	Químico	Oral	Minoryx Therapeutics S.L.	agosto-22	Neurología	Tratamiento de la ataxia de Friedreich
Pegzilarginase	Biológico	Parenteral	Immedica Pharma AB	agosto-22	Endocrinología, ginecología-fertilidad, metabolismo	Tratamiento de la hiperargininemia
Rezafungin (acetate)	Químico	Parenteral	Mundipharma GmbH	agosto-22	Enfermedades infecciosas	Tratamiento de la candidiasis invasiva
Sparsentan	Químico	Oral	Vifor France S.A.	agosto-22	Uro-nefrología	Tratamiento de la nefropatía IgA primaria
Vamorolone	Químico	Oral	Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH	octubre-22	Otros medicamentos para los trastornos del sistema músculo-esquelético	Tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne
Palopegteriparatide	Químico	Parenteral	Ascendis Pharma Bone Diseases A/S	diciembre-22	Homeostasis del calcio	Hipoparatiroidismo
Tofersen	Químico	Parenteral	Biogen Netherlands B.V.	diciembre-22	Neurología	Tratamiento de la esclerosis lateral amiotrófica
Exagamglogene autotemcel - CTX001 (Células madre hematopoyéticas CD34+ autólogas con una región potenciadora eritroide del gen BCL11A editada por CRISPR)	Terapia avanzada	Parenteral	Vertex Pharmaceuticals	enero-23	Hematología-Hemostasia	Anemia de células falciformes
Exagamglogene autotemcel - CTX001 (Células madre hematopoyéticas CD34+ autólogas con una región potenciadora eritroide del gen BCL11A editada por CRISPR)	Terapia avanzada	Parenteral	Vertex Pharmaceuticals	enero-23	Hematología-Hemostasia	Tratamiento de la beta-talasemia dependiente de transfusiones



## Sección 1: Horizon Scanning

### B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en junio 2023

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Danicopan	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	marzo-23	Hematología-Hemostasia	Hemoglobinuria paroxística nocturna
Fidanacogene elaparvovec (PF-06838435/SPK-9001)	Terapia avanzada	Parenteral	Pfizer Europe MA EEIG	mayo-23	Hematología-Hemostasia	Hemofilia B
Iptacopan	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	mayo-23	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Glomerulopatía C3 (nefropatía inducida por el complemento)



## Sección 1: Horizon Scanning

### C. Medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en junio 2023

- ▶ En junio 2023, hay **1 nuevo medicamento con opinión positiva CHMP** que están **pendientes de decisión** por parte de la CE<sup>3</sup>.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Opinión positiva CHMP	Área terapéutica	Indicación
Ztalmy®	Ganaxolone	Químico	Oral	Marinus Pharmaceuticals Inc.	mayo-23	Antiepilépticos	Tratamiento del trastorno por deficiencia de CDKL5

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

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



## Sección 1: Horizon Scanning

### C. Nuevas indicaciones con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en junio 2023

- ▶ En junio 2023 hay **1 nueva indicación con opinión positiva CHMP** que está **pendientes de decisión** por parte de la **CE**<sup>3</sup>.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Opinión positiva CHMP	Área terapéutica	Indicación
Soliris®	Eculizumab	Biológico	Parenteral	Alexion Europe SAS	jun-23	Inmunosupresores	Tratamiento para la miastenia gravis generalizada (MMG) refractaria <b>en pacientes mayores de 6 años</b>

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

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



## Sección 1: Horizon Scanning

### D. Medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2023

- ▶ En junio 2023, hay **27 nuevos medicamentos huérfanos** autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España, **3** de ellos con **aprobación condicional**, **6** con **autorización en circunstancias excepcionales** y **18** con **aprobación normal**<sup>3,4,5</sup>.

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Dovprela®*	pretomanid	Químico	Oral	Mylan Ireland Limited	julio-20	Antimicrobianas	Tuberculosis en combinación con bedaquiline y linezolid
Arikayce liposomal®	amikacin (sulfate)	Químico	Inhalatoria	Insmed Netherlands B.V.	octubre-20	Antibacterianos de uso sistémico	Enfermedad pulmonar por micobacterias no tuberculosa causada por el complejo Mycobacterium avium (MAC)
Nyxthracis®**	obiltoxaximab	Biológico	Parenteral	SFL Pharmaceuticals Deutschland GmbH	noviembre-20	Sueros inmunes e inmunoglobulinas	Ántrax por inhalación debido al Bacillus anthracis
Libmeldy®	atidarsagene autotemcel	Terapia avanzada	Parenteral	Orchard Therapeutics	diciembre-20	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Leucodistrofia metacromática
Sogroya®	Somapacitan	Biológico	Parenteral	Novo Nordisk A/S	marzo-21	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas y análogos	Deficiencia de hormona de crecimiento (AGHD)
Bylvay®**	Odevixibat (A4250)	Químico	Oral	Albireo	julio-21	Terapia de la bilis y del hígado	Colestasia intrahepática progresiva familiar
Imcivree®	Setmelanotide	Químico	Parenteral	Rhythm Pharmaceuticals Netherlands B.V.	julio-21	Preparaciones contra la obesidad, excepto productos dietéticos	Obesidad y el control del hambre asociados a la deficiencia de pro-opiomelanocortin y del receptor leptina

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

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





## Sección 1: Horizon Scanning

### D. Medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2023

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Artesunate Amivas®	Artesunate	Químico	Parenteral	Amivas Ireland Limited	noviembre-21	Antiprotozoarios	Malaria severa
Tavneos®	Avacopan	Químico	Oral	Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma France	enero-22	Inmunosupresores	Granulomatosis con poliangeítis grave y activa o poliangeítis microscópica.
Skytrofa®	Lonapegsomatropin	Biológico	Parenteral	Ascendis Pharma Endocrinology Division A/S	enero-22	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas y análogos	Tratamiento de la deficiencia de hormona del crecimiento
Oxbryta®	Voxelotor (GBT440)	Químico	Oral	Pfizer Europe MA EEIG	febrero-22	Otros agentes hematológicos	Anemia de células falciformes
Filsuvez®	Extracto seco de Birch bark	Biológico	Tópica	Amryt Pharmaceuticals DAC	junio-22	Preparados para el tratamiento de heridas y úlceras	Epidermolísis bullosa distrófica y de unión
Xenpozyme®	Olipudase alfa	Biológico	Parenteral	Sanofi B.V.	junio-22	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de las manifestaciones no relacionadas con el Sistema Nervioso Central (SNC) de la Deficiencia de Esfingomielinasa Ácida (ASMD)
Upstaza®**	Eladocagene exuparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	PTC Therapeutics International Limited	julio-22	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Deficiencia de Laminoácido decarboxilasa aromática (AADC)
Zokinvy®**	Lonafarnib	Químico	Oral	EigerBio Europe Limited	julio-22	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Síndrome de progeria de Hutchinson-Gilford Laminopatías progeroides con deficiencia de procesamiento

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

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



## Sección 1: Horizon Scanning

### D. Medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2023

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Vyvgart®	Efgartigimod alfa	Biológico	Parenteral	Argenx	agosto-22	Inmunosupresores	Miastenia Grave Generalizada con anticuerpos antireceptor de acetilcolina (AChR) positivos.
Roctavian®*	Valoctocogene roxaparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	BioMarin International Limited	agosto-22	Antihemorrágicos	Tratamiento de la hemofilia A grave
Amvuttra®	Vutrisiran (sodium)	Químico	Parenteral	Alnylam Netherlands B.V.,	septiembre-22	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Amiloidosis hereditaria mediada por transtiretina con polineuropatía
Nulibry®	Fosdenopterin	Químico	Parenteral	Zydus France S.A.S.	septiembre-22	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la deficiencia de molibdeno-cofactor tipo A
Livtency®	Maribavir	Químico	Oral	Takeda Pharmaceuticals International AG Ireland Branch	noviembre-22	Antivirales de uso sistémico	Tratamiento de la infección y/o enfermedad por citomegalovirus (CMV) refractaria
Pyrukynd®	Mitapivat (sulfate)	Químico	Oral	Agios Netherlands B.V.	noviembre-22	Otros medicamentos hematológicos	Tratamiento de la deficiencia de piruvato quinasa
Enjaymo®	Sutimlimab	Biológico	Parenteral	Sanofi B.V.	noviembre-22	Inmunosupresores	anemia hemolítica en pacientes adultos con enfermedad de la aglutinina fría (EAC)
Livmarli®**	Maralixibat (cloruro)	Químico	Oral	Mirum Pharmaceuticals International B.V.	diciembre-22	Otros medicamentos para la bilis	Tratamiento para el Síndrome de Alagille
Ebvallo®**	Tabelecleucel (Linfocitos T citotóxicos alogénicos específicos del virus Epstein-Barr, ATA129)	Terapia avanzada	Parenteral	Pierre Fabre Medicament	diciembre-22	Otros medicamentos terapéuticos	Virus Epstein-Barr asociado a enfermedad linfoproliferativa post-trasplante

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

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



## Sección 1: Horizon Scanning

### D. Medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2023

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Hemgenix®*	Etranacogene dezaparvovec (AMT-060, AMT-061)	Terapia avanzada	Parenteral	CSL Behring GmbH	febrero-23	Otros agentes hematológicos	Hemofilia B
Pombiliti®	Cipaglicosidase alfa	Biológico	Parenteral	Amicus Therapeutics Europe Limited	marzo-23	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de almacenamiento de glucógeno tipo II (enfermedad de Pompe)
Elfabrio®	Pegunigalsidase alfa	Biológico	Parenteral	Chiesi Farmaceutici S.P.A.	mayo-23	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de Fabry

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

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



## Sección 1: Horizon Scanning

### D. Nuevas indicaciones autorizadas por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2023

- En junio 2023, hay 6 nuevas indicaciones de 6 medicamentos huérfanos autorizadas por la CE y sin resolución de financiación actualmente en España<sup>3,4</sup>.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Sirturo®	Bedaquiline fumarate	Químico	Oral	Janssen-Cilag International N.V.	Marzo 2014	E. Infecciosas
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Sirturo en pacientes adultos y <b>pediátricos</b> (de 5 a menos de 18 años y un peso de al menos 15 kg) para ser utilizado como parte de un adecuado tratamiento combinado de la tuberculosis pulmonar multirresistente (MDR-TB) cuando un régimen de tratamiento efectivo no puede instaurarse por motivos de resistencia o tolerabilidad				Enero 2021	Marzo 2021	-

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Delyba®	Delamanid	Químico	Oral	Otsuka Novel Products GmbH	Abril 2014	E. Infecciosas
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Delyba como parte de un régimen de combinación adecuado para la tuberculosis pulmonar multirresistente a medicamentos (TB-MR) en pacientes adultos, adolescentes, <b>niños y bebés con un peso corporal de al menos 10 kg</b> cuando no es posible establecer un régimen de tratamiento eficaz por razones de resistencia o tolerabilidad				Julio 2021	Septiembre 2021	-

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Crysvita®	Burosumab	Biológico	Parenteral	Kyowa Kirin Holdings B.V.	Febrero 2018	Hipofosfatemia
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Crysvita para el tratamiento de la <b>hipofosfatemia relacionada con el FGF23 en la osteomalacia inducida por tumores</b> (TIO) asociada a tumores mesenquimales fosfatúricos que no pueden ser resecaados o localizados de forma curativa en niños y adolescentes de 1 a 17 años y en adultos				Junio 2022	Julio 2022	No



## Sección 1: Horizon Scanning

### D. Nuevas indicaciones autorizadas por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2023

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Imcivree®	Setmelanotide	Químico	Parenteral	Rhythm Pharmaceuticals, Netherlands B.V.	Julio 2021	Preparaciones contra la obesidad, excepto productos dietéticos
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Imcivree para el tratamiento de la obesidad y el control del hambre asociado con el <b>síndrome de Bardet-Biedl (BBS)</b> confirmado genéticamente. (BBS)				Julio 2022	Septiembre 2022	No

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Reblozyl®	luspatercept	Biológico	Parenteral	Bristol Myers Squibb Pharma EEIG	Junio 2020	Otros preparados antianémicos
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Tratamiento de la anemia asociada a la beta talasemia <b>no dependiente de transfusión</b>				Enero 2023	Febrero 2023	-

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



## Sección 1: Horizon Scanning

### D. Medicamentos huérfanos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España y en estudio de financiación con propuesta de resolución de precio por parte de la CIMP en junio 2023

- ▶ En junio 2023, hay **4 nuevos medicamentos huérfanos** autorizados por la CE, pendiente de comercialización en España y en estudio de financiación con una propuesta de resolución de precio por parte de la CIMP<sup>6,7</sup>.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Propuesta resolución CIMP	Área terapéutica	Indicación
Bylvay <sup>®**</sup>	Odevixibat (A4250)	Químico	Oral	Albireo	julio-21	<b>Negativa</b> Octubre 2022	Terapia de la bilis y del hígado	Colestasia intrahepática progresiva familiar
Libmeldy <sup>®</sup>	atidarsagene autotemcel	Terapia avanzada	Parenteral	Orchard Therapeutics	diciembre-20	<b>Negativa</b> Marzo 2023	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Leucodistrofia metacromática
Upstaza <sup>®</sup>	Eladocagene exuparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	PTC Therapeutics International Limited	julio-22	<b>Negativa</b> Mayo 2023	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Deficiencia de Laminoácido decarboxilasa aromática (AADC)
Tavneos <sup>®</sup>	Avacopan	Químico	Oral	Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma France	enero-22	<b>Positiva</b> Junio 2023	Inmunosupresores	Granulomatosis con poliangeítis grave y activa o poliangeítis microscópica.

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

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

CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 14/07/2023

BIFIMED. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 14/07/2023



## **Sección 2:**

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



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

### C. Nuevo medicamento huérfano con opinión positiva del CHMP pendientes de autorización CE en junio 2023

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Ztalmy® (ganaxolone) <sup>8</sup>	<p><b>Indicación:</b> Ztalmy® está indicado para el tratamiento adyuvante de las crisis epilépticas asociadas al trastorno por déficit de quinasa dependiente del ciclo 5 (CDKL5) en pacientes de 2 a 17 años de edad.</p> <p><b>Eficacia:</b> Los beneficios de Ztalmy® residen en su capacidad para reducir la frecuencia de las convulsiones asociadas al trastorno por déficit de CDKL5, como se demostró en un estudio doble ciego, aleatorizado y controlado con placebo en niños y adolescentes.</p> <p><b>Seguridad:</b> Los efectos secundarios más frecuentes son somnolencia y pirexia.</p>
<b>Disponible en:</b>	<a href="https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/ztalmy">https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/ztalmy</a>





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



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

### D. Nuevos medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2023

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Hemgenix® (etranacogene dezaparvovec) <sup>9</sup>	<p><b>Indicación:</b> Hemgenix® está indicado para el tratamiento de la Hemofilia B grave y moderadamente grave (deficiencia congénita del Factor IX) en pacientes adultos sin antecedentes de inhibidores del Factor IX.</p> <p><b>Eficacia:</b> Los beneficios de Hemgenix® son la inducción de niveles plasmáticos relevantes de factor IX y la reducción de los episodios hemorrágicos. En el ensayo clínico presentado, la mayoría de los pacientes tratados con Hemgenix® presentaron un aumento significativo de los niveles de actividad del factor IX y experimentaron menos hemorragias que antes del tratamiento con la profilaxis estándar con FIX. La mayoría de los pacientes ya no necesitaron terapia de sustitución del factor IX hasta dos años después de la administración.</p> <p><b>Seguridad:</b> Los efectos secundarios más frecuentes de Hemgenix® son cefalea, alteraciones hepáticas hepáticas (aumento de ALT y AST) y gripe</p>
<b>Disponible en:</b>	<a href="https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hemgenix">https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hemgenix</a>

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Pombiliti® (cipaglucosidase alfa) <sup>10</sup>	<p><b>Indicación:</b> Pombiliti® (cipaglucosidasa alfa) es una terapia de sustitución enzimática a largo plazo que se utiliza en combinación con el estabilizador enzimático miglustat para el tratamiento de adultos con enfermedad de Pompe de aparición tardía (deficiencia de <math>\alpha</math>-glucosidasa ácida [GAA]).</p> <p><b>Eficacia:</b> El beneficio de Pombiliti® es su capacidad para mejorar la función motora (distancia de seis minutos andando) de los pacientes con enfermedad de Pompe de inicio tardío cuando se utiliza en combinación con miglustat.</p> <p><b>Seguridad:</b> Los efectos secundarios más frecuentes son las reacciones asociadas a la infusión, como escalofríos, mareos, urticaria, sofocos, somnolencia, anafilaxia, molestias torácicas, tos, inflamación del lugar de infusión y dolor..</p>
<b>Disponible en:</b>	<a href="https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/pombiliti">https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/pombiliti</a>



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

### D. Nuevos medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2023

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Elfabrio® (pegunigalsidase alfa) 11	<p><b>Indicación:</b> Elfabrio está indicado para la terapia de sustitución enzimática a largo plazo en pacientes adultos con diagnóstico confirmado de enfermedad de Fabry (deficiencia de alfa-galactosidasa).</p> <p><b>Eficacia:</b> El beneficio de Elfabrio es su capacidad para reducir los sustratos renales de la enfermedad de Fabry, lo que parece traducirse en un menor deterioro de la función renal en adultos con enfermedad de Fabry.</p> <p><b>Seguridad:</b> Los efectos secundarios más frecuentes son las reacciones relacionadas con la infusión, la hipersensibilidad y la astenia.</p>
<b>Disponible en:</b>	<a href="https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/elfabrio">https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/elfabrio</a>



## 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 junio 2023 según cuatro categorías:**

- ▶ A. La EMA está evaluando a través de su programa **PRIME un total de 29 medicamentos huérfanos** no oncológicos, de los cuales **16 son terapias avanzadas, 8 productos biológicos y 5 son sustancias químicas.**
  - El **área terapéutica con más medicamentos huérfanos en el programa PRIME** de la EMA es el área de **Neurología** con un **total de 5 (17,24%)** medicamentos y **Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo** con un **total de 5 (17,24%)**.
  - ❖ En este informe de junio 2023, se encuentran dos nuevos medicamentos huérfanos en el programa PRIME. Sin embargo, **a dos medicamentos se le ha retirado la elegibilidad del PRIME a petición de la compañía y cinco medicamentos están en evaluación por el CHMP.**
- ▶ B. De los **13 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP, 3 son terapias avanzadas, 9 son sustancias químicas y 1 es un producto biológico.**
  - ❖ En el informe de diciembre 2022 se encontraban 14 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP, de los cuales **1 ha obtenido opinión + y 1 ya está autorizado por la Comisión Europea. Además, 2 han obtenido opinión - del CHMP, y a otros 2 se les ha retirado la solicitud de autorización de comercialización.**
- ▶ C. El **medicamento huérfano con opinión positiva del CHMP** pendiente de decisión por la CE es una sustancia química. El medicamento con una **nueva indicación con CHMP+** es un **producto biológico.**
  - ❖ En el informe de diciembre 2022, había **3 medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP, los cuales ya están aprobados por la CE y pendientes de comercialización en España.**
- ▶ D. De los **27 nuevos medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España en junio 2023, 5 son terapias avanzadas, 9 son sustancias biológicas y 13 químicas. Además, 3 de los 27 recibieron la aprobación de manera condicional, y 6 autorización en circunstancias excepcionales.**
  - ❖ De los **6 medicamentos huérfanos con nuevas indicaciones autorizadas por la CE pendientes de comercialización en España en junio 2023, 3 son sustancias químicas y 3 biológicas.**
  - ❖ De los **4 medicamentos en estudio de financiación con propuesta de resolución de precio por la CIMP, 3 tienen una resolución negativa y 1 resolución positiva.**
  - ❖ En el informe de diciembre 2022, había 35 medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España, de los cuales **9 ya han obtenido financiación en España y 1 no ha sido financiado.**



## Referencias



## Referencias

1. EMA. PRIME: priority medicines. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines> Consultado el: 30/06/2023
2. EMA. Medicines under evaluation. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-under-evaluation> Consultado el: 30/06/2023
3. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 30/06/2023
4. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 30/06/2023
5. Base de datos interna de medicamentos huérfanos de Omakase Consulting. Consultado el 30/06/2023
6. BIFIMED. Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 30/06/2023
7. Resoluciones CIMP. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm>. Consultado el 30/06/2023
8. EMA Ztalmy. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/ztalmy>
9. EMA Hemgenix. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/hemgenix>
10. EMA Pombiliti. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/pombiliti>
11. EMA Elfabrio. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/elfabrio>



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





## Anexo: Descripción de nuevos medicamentos excluidos desde el último Horizon Scanning

- ▶ En junio 2023, hay un total de **16 nuevos medicamentos** que estaban incluidos en el informe actualizado hasta diciembre de 2022 y han sido **excluidos en este informe**, por los motivos que se exponen a continuación:

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Laboratorio	Área terapéutica	Indicación	Motivo y fecha de exclusión nuevo medicamento
-	BAY2599023	Terapia avanzada	Bayer HealthCare LLC	Hematología-Hemostasia	Hemofilia A	Retirada de la elegibilidad del PRIME por petición del MAH
-	AT-GTX-501	Terapia avanzada	Amicus Therapeutics	Neurología	Enfermedad de Batten	Retirada de la elegibilidad del PRIME por petición del MAH
-	Bardoxolone	Químico	Reata Ireland Limited	Inmunosupresores	Tratamiento del síndrome de Alport	Retirada de la solicitud de autorización de comercialización (Noviembre 2022)
-	Lenadogene nolparvovec	Terapia avanzada	GenSight Biologics S.A.	Oftalmología	Neuropatía Óptica Hereditaria de Leber	Retirada de la solicitud de autorización de comercialización (Abril 2023)
-	Palovarotene	Químico	Ipsen pHarma	Aparato músculo esquelético	Fibrodisplasia osificante progresiva	Opinión CHMP negativa (26/01/2023)
-	Sodium phenylbutyrate / ursodoxicoltaurine	Químico	Amylyx Pharmaceutical EMEA B.V., Netherlands	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Esclerosis lateral amiotrófica	Opinión CHMP negativa (22/06/2023)
Evrysdi®	Risdiplam	Químico	Roche Registration GmbH	Aparato músculo esquelético	Atrofia muscular espinal 5q	Financiado (01/01/2023)
Voxzogo®	Vosoritide	Biológico	BioMarin International Limited	Fármacos para el tratamiento de enfermedades óseas	Acondroplasia	Financiado (01/01/2023)
Ngenla®	Somatrogon	Biológico	Pfizer Europe MA EEIG	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas y análogos	Tratamiento de la deficiencia de hormona del crecimiento	Financiado (01/02/2023)
Idefirix®	imlifidase	Químico	Hansa Biopharma AB	Inmunosupresores	Sensibilización para el trasplante renal	Financiado (01/03/2023)

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 30/06/2023
2. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 30/06/2023
3. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscls.gov.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 30/06/2023



## Anexo: Descripción de nuevos medicamentos excluidos desde el último Horizon Scanning

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Laboratorio	Área terapéutica	Indicación	Motivo y fecha de exclusión nuevo medicamento
Inrebic®	fedratinib dihydrochloride monohydrate	Químico	Bristol Myers Squibb Pharma EEIG	Agentes antineoplásicos	Esplenomegalia o síntomas relacionados con la enfermedad	Financiado (01/04/2023)
Enspryng®	Satralizumab	Biológico	Roche Registration GmbH	Inmunosupresores	Trastorno del espectro de la neuromielitis óptica	Financiado (01/05/2023)
Aspaveli®	Pegcetacoplan	Químico	Swedish Orphan Biovitrum AB	Inmunosupresores	Hemoglobinuria Paroxística Nocturna	Financiado (01/05/2023)
Hepcludex®	bulevirtide (acetate)	Químico	Gilead Sciences Ireland UC	Antivirales de uso sistémico	Virus de la hepatitis delta	No financiado (01/05/2023)
Fintepla®	fenfluramine	Químico	UCB Pharma S.A.	Antiepilépticos	Síndrome de Dravet	Financiado (01/06/2023)
Voraxaze®	Glucarpidase	Biológico	SERB SAS	Agente desintoxicante para el tratamiento antineoplásico	Reducción de la concentración plasmática tóxica de MTX en adultos y niños con eliminación retardada de MTX o con riesgo de toxicidad por MTX	Financiado (01/06/2023)

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 30/06/2023
2. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 30/06/2023
3. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscls.gov.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 30/06/2023



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

- ▶ En junio 2023, hay 1 **nueva indicación de un medicamento huérfano** que estaba incluida en el informe actualizado hasta diciembre 2022 y ha sido **excluida en este informe**, por el motivo que se expone a continuación:

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Laboratorio	Área terapéutica	Indicación	Motivo y fecha de exclusión nuevo medicamento
Fintepla®	fenfluramine	Químico	UCB Pharma S.A.	Antiepilépticos	Síndrome de Lennox-Gastaut	Financiada

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 30/06/2023
2. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 30/06/2023
3. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscls.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 30/06/2023