



Horizon Scanning

Medicamentos Huérfanos **NO** Oncológicos

*IX informe
Julio 2024*



orpharsefh

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

En colaboración con:

sanofi

OMAKASE
consulting

sefh
Sociedad Española
de Farmacia Hospitalaria

Contenidos



Introducción



Metodología



Resultados



Sección 1: Horizon Scanning



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



Sección 3: Descripción de los medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España



Conclusiones



Referencias



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



Introducción



Introducción

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

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

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, diciembre 2022, junio 2023 y diciembre 2023. A continuación, se presenta el noveno informe Horizon Scanning, el cual incluye estos datos actualizados hasta julio de 2024.

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.

Mónica Climente Martí

Coordinadora 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 2024 y que podrían ser comercializados a corto y medio plazo en España (*Horizon Scanning*).

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



Metodología



Metodología

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

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA



B. Medicamentos en evaluación por el CHMP



C. Opinión positiva del CHMP



D. Autorización CE



Autorización en España
(AEMPS)



**Comercialización en
España**



Identificación de medicamentos

Se clasifican los medicamentos en:

- ▶ **A. Medicamentos que están en el programa PRIME* de la EMA (*Priority medicines*):** se ha comprobado la sección PRIME de la página web de la EMA. Esta sección contiene un documento en formato Excel donde se recogen los medicamentos seleccionados como PRIME que se actualiza mensualmente. *Última actualización el 12 de julio 2024.*
- ▶ **B. Medicamentos en evaluación por el CHMP:** se utilizó la sección “*Medicines under evaluation*” de la página web de la EMA. La lista de solicitudes de nuevos medicamentos que están siendo evaluados se actualiza mensualmente y está dividida por huérfanos y no huérfanos. *Última actualización el 12 de julio 2024.*
- ▶ **C. Medicamentos con opinión positiva del CHMP pendientes de la decisión de la Comisión Europea (CE):** se han revisado todas las reuniones llevadas a cabo por el CHMP para identificar todos los nuevos medicamentos y nuevas indicaciones con opinión positiva del CHMP, identificando específicamente aquellos pendientes de decisión por la CE (*EC pending decision*). *Última actualización el 12 de julio 2024.*
- ▶ **D. Medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España:** se utilizó el buscador de la EMA filtrando por categoría (human), fecha de autorización de comercialización (último año) y por designación huérfana. Para completar con los medicamentos no comercializados en España con autorización CE anterior a ese periodo, se consultó la base de datos de medicamentos huérfanos de Omakase Consulting. Adicionalmente, se consultaron las agendas y resúmenes de las reuniones del CHMP. *Última actualización el 12 de julio 2024.*

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



Metodología

Periodo temporal de búsqueda

El Orphar-SEFH Horizon Scanning incluye todos los medicamentos huérfanos no oncológicos en evaluación por la EMA hasta junio del 2024.

Criterios de inclusión y exclusión de medicamentos

Se han incluido nuevos medicamentos huérfanos no oncológicos:

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

Se han incluido nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos no oncológicos:

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

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

Se han excluido:

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



Bases de datos empleadas

Se han identificado los **nuevos medicamentos huérfanos y nuevas indicaciones** que potencialmente puedan solicitar P&R en España a través de una revisión de las páginas web de la **Agencia Europea del Medicamento (EMA)**, la **Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios (AEMPS)**, el **Ministerio de Sanidad (MSCBS)** y la base de datos de medicamentos huérfanos de Omakase Consulting.

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

The screenshot displays the EMA website interface. At the top, the logo and name 'EUROPEAN MEDICINES AGENCY' are visible. Below the navigation bar, the 'Medicines' section is active. A search bar is present with a magnifying glass icon and a 'Search' button. 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)' for 'Insulin glargine, Diabetes Mellitus', with a date of authorisation of 09/09/2014. The second result is 'Human medicine European public assessment report (EPAR): Abilify' for 'Aripiprazole, Schizophrenia, Bipolar Disorder', with a date of authorisation of 04/06/2004. A magnifying glass icon is overlaid on the bottom right of the search results area.



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)

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.



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 2023 hasta julio 2024** aparecerán señalados en gris.

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

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



Resultados



Resultados

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA

33

Medicamentos en el programa PRIME

B. Medicamentos en evaluación por el CHMP

15

Medicamentos en evaluación por el CHMP

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

5

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

1

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

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

26

Medicamentos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España

9

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

2

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



Sección 1: Horizon Scanning



Sección 1: Horizon Scanning

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

- ▶ En julio 2024, hay un total de **33 medicamentos** en el programa PRIME de la EMA, **18 de ellos** están clasificados como **productos de terapia avanzada (ATMP)** ¹.

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Setrusumab (anticuerpo monoclonal humanizado IgG2 lambda recombinante contra la esclerostina humana, BPS804)	Biológico	Parenteral	Mereo Biopharma Ireland	noviembre-17	Otros	Osteogénesis imperfecta I, III y IV
Vector viral asociado a Adenovirus de serotipo 8 que contiene el gen CNGB3 humano (AAV2/8-hCARp.hCNGB3)	Terapia avanzada	Oftalmológica	MeiraGTx B.V.	febrero-18	Oftalmología	Acromatopsia asociada a defectos en CNGB3
Vector viral adeno asociado serotipo 8 que contiene el gen MTM1 humano (AT132) resamirigene bilparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	Audentes Therapeutics Netherlands B.V.	mayo-18	Otros	Miopatía miotubular ligada al cromosoma X
Tominersen (RO7234292)	Químico	Parenteral	Roche Registration GmbH	julio-18	Neurología	Enfermedad de Huntington
Células CD34+ autólogas transducidas con un vector lentiviral que codifica el gen de beta globina humana (OTL-300)	Terapia avanzada	Parenteral	Orchard Therapeutics Ltd	septiembre-18	Hematología-Hemostasia	Beta talasemia dependiente de transfusiones
Sepofarsen (QR-110)	Químico	Oftalmológica	ProQR Therapeutics IV B.V.	julio-19	Oftalmología	Amaurosis congénita de Leber
Rebisufligene etisparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	Abeona Therapeutics Inc	diciembre-19	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Mucopolisacaridosis tipo IIIA (Síndrome A Sanfilippo)



Sección 1: Horizon Scanning

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

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Linfocitos T alogénicos multivíricos específicos contra el virus BK, el citomegalovirus, el virus del herpes humano 6, el virus de Epstein Barr y el adenovirus (ALVR-105)	Terapia avanzada	Parenteral	Allovir International DAC	enero-20	Enfermedades infecciosas	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	Parenteral	Janssen-Cilag International N.V.	febrero-20	Oftalmología	Retinitis pigmentosa ligada al cromosoma X
OTL-203 (células madre y progenitoras hematopoyéticas CD34 + autólogas modificadas genéticamente con el vector lentiviral (IDUA LV) que codifica el gen de la alfa-L-iduronidasa)	Terapia avanzada	Parenteral	Orchad Therapeutics	septiembre-20	Endocrinología- Ginecología- Fertilidad- Metabolismo	Mucopolisacaridosis tipo I (MPS-1)
PF-06823859	Biológico	Parenteral	Pfizer Europe MA EEIG	octubre-20	Inmuno-reumatología transplante	Tratamiento de la dermatomiositis
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 transplante	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 transplante	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



Sección 1: Horizon Scanning

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

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Inaxaplin	Químico	Oral	Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited	mayo-22	Uro-nefrología	Tratamiento de la enfermedad renal mediada por la apolipoproteína L1
Pariglasgene brecaparvovec (DTX401)	Terapia avanzada	Parenteral	Ultragenyx Germany GmbH	septiembre-22	Endocrinología- Ginecología- Fertilidad- Metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de almacenamiento de glucógeno tipo Ia (GSDIa, enfermedad de von Gierke)
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	Parenteral	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
RP-L301	Terapia avanzada	Parenteral	Rocket Pharmaceuticals, Inc.	julio-23	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Tratamiento del déficit de piruvato quinasa
ARN mensajero que codifica Cas9, ARN guía único dirigido al gen humano KLKB1	Terapia avanzada	Parenteral	Pharma Gateway AB	octubre-23	Enfermedades cardiovasculares	Tratamiento del angioedema hereditario
elsunersen (PRAX-222)	Químico		Praxis Precision Medicines, Inc.	noviembre-23	Neurología	Tratamiento de la encefalopatía epiléptica y del desarrollo SCN2A (SCN2A-DEE)



Sección 1: Horizon Scanning

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

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
RGX-121	Terapia avanzada	Parenteral	REGENXBIO Inc	diciembre-23	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Tratamiento de la mucopolisacaridosis tipo II
GTX 102	Químico	Parenteral	Ultragenyx Pharmaceutical Inc	enero-24	Trastornos congénitos, familiares y genéticos	Tratamiento del síndrome de Angelman
Isaralgagene civaparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	Sangamo Therapeutics	enero-24	Trastornos congénitos, familiares y genéticos	Tratamiento de la enfermedad de Fabry
BJT-778 (mAb anti-HBsAg)	Biológico	Parenteral	Bluejay Therapeutics, Inc.	marzo-24	Enfermedades infecciosas	Tratamiento de la infección por el virus de la hepatitis D crónica
FLT201	Terapia avanzada	Parenteral	Freeline Therapeutics	abril-24	Endocrinology - Gynaecology - Fertility - Metabolism	Tratamiento de la enfermedad de Gaucher
JNT-517	Químico	Oral	Jnana Therapeutics	abril-24	Endocrinología - Ginecología - Fertilidad - Metabolismo	Tratamiento de la hiperfenilalaninemia



Sección 1: Horizon Scanning

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

- ▶ En julio 2024, hay un total de **15 medicamentos en evaluación por el CHMP**, 2 de ellos está clasificado como **producto de terapia avanzada (ATMP)**².

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Leriglitazone (hydrochloride)	Químico	Oral	Minoryx Therapeutics S.L.	agosto-22	Neurología	Tratamiento de la ataxia de Friedreich
Givinostat	Químico	Oral	Italfarmaco S.p.A.	agosto-23	Neurología	Tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne
Elafibranor	Químico	Oral	Ipsen Pharma	octubre-23	Gastroenterología-Hepatología	Tratamiento de la colangitis biliar primaria
Eplontersen	Químico	Parenteral	AstraZeneca AB	octubre-23	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Tratamiento de la amiloidosis mediada por transtiretina
Marstacimab	Biológico	Parenteral	Pfizer Europe MA EEIG	octubre-23	Hematología-Hemostaseología	Tratamiento de la hemofilia congénita A y B
Troriluzole	Químico	Oral	Biohaven Bioscience Ireland Limited	octubre-23	Otros medicamentos del sistema nervioso	Tratamiento de la ataxia espinocerebelosa
Beremagene geperpavec	Terapia avanzada	Tópica	Krystal Biotech, Inc.	noviembre-23	Dermatología	Tratamiento de la epidermólisis bullosa distrófica
Garadacimab	Biológico	Parenteral	CSL Behring GmbH	noviembre-23	Hematología-Hemostaseología	Prevención de los ataques de angioedema hereditario



Sección 1: Horizon Scanning

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

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Govorestat	Químico	Oral	Versitat Spain SL	diciembre-23	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de Charcot-Marie-Tooth
Leniolisib	Químico	Oral	Pharming Technologies B.V.	Febrero-24	Inmunología-Reumatología-Trasplantes	Tratamiento del síndrome de la fosfoinositida 3-cinasa delta activada (APDS)
Acoramidis	Químico	Oral	BridgeBio Pharma	febrero-24	Cardiología	Tratamiento de la polineuropatía amiloide por transtiretina sintomática
Diflunisal	Químico	Oral	AO Pharma AB	febrero-24	Analgésico	Tratamiento de la amiloidosis ATTR
Seladelpar (MBX-8025)	Químico	Oral	Cymabay Ireland Limited	febrero-24	Gastroenterología-Hepatología	Colangitis biliar primaria
Mozafancogene autotemcel - Células autólogas enriquecidas con CD34+ transducidas ex vivo con un vector lentiviral portador del gen FANCA, PGK-FANCA-WPRE (RP-L102)	Terapia avanzada	Parenteral	Rocket Pharmaceuticals	marzo-24	Hematología-Hemostasia	Anemia de Fanconi tipo A
Sepiapterin	Químico	Oral	PTC Therapeutics	mayo-24	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Fenilcetonuria



Sección 1: Horizon Scanning

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

- ▶ En julio 2024, hay 5 nuevos medicamentos con opinión positiva CHMP que están pendientes de decisión por parte de la CE³.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Opinión positiva CHMP	Área terapéutica	Indicación
Altuvoct	Efanesoctocog alfa	Biológico	Parenteral	Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)	abril-24	Hematología-Hemostaseología	Tratamiento de la hemofilia A
Adzynma	Apadamtase alfa / Cinaxadamtase alfa (Recombinant human ADAMTS-13)	Biológico	Parenteral	Takeda Manufacturing Austria AG	mayo-24	Hematología	Tratamiento de la púrpura trombótica trombocitopénica
Durveqtix	Fidanacogene elaparvovec (PF-06838435/SPK-9001)	Terapia avanzada	Parenteral	Pfizer Europe MA EEIG	mayo-24	Hematología-Hemostasia	Hemofilia B
Akantior	Polihexanide	Químico	Oftalmológica	S.I.F.I. Società Industria Farmaceutica Italiana S.p.A.	mayo-24	Oftalmología	Tratamiento de la queratitis por acanthamoeba
Winrevair	Sotatercept	Biológico	Parenteral	Acceleron Pharma	Junio-24	Cardiovascular	Hipertensión arterial pulmonar (HAP)



Sección 1: Horizon Scanning

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

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

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Opinión positiva CHMP	Área terapéutica	Indicación
Livmarli®	Maralixibat (cloruro)	Químico	Oral	Mirum Pharmaceuticals International B.V.	Mayo-24	Otros medicamentos para la bilis	Colestasis intrahepática familiar progresiva (CIFP) en pacientes a partir de los 3 meses de edad.



Sección 1: Horizon Scanning

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

- ▶ En julio 2024, hay **26 medicamentos huérfanos** autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España, **5 de ellos con aprobación condicional**, **5 con autorización en circunstancias excepcionales** y **16 con aprobación normal**^{3,4,5}.

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Dovprela® *	Pretomanid	Químico	Oral	Mylan Ireland Limited	julio-20	Antimicobacterias	Tuberculosis en combinación con bedaquiline y linezolid
Arikayce liposomal®	Amikacina (sulfate)	Químico	Inhalatoria	Insméd Netherlands B.V.	octubre-20	Antibacterianos de uso sistémico	Enfermedad pulmonar por micobacterias no tuberculosa causada por el complejo Mycobacterium avium (MAC)
Nyxthracis® **	Obiltoximab	Biológico	Parenteral	SFL Pharmaceu-ticals Deutschland GmbH	noviembre-20	Sueros inmunes e inmunoglobulinas	Ántrax por inhalación debido al Bacillus anthracis
Artesunate Amivas®	Artesunate	Químico	Parenteral	Amivas Ireland Limited	noviembre-21	Antiprotozoarios	Malaria severa
Skytrofa®	Lonapegsomatropin	Biológico	Parenteral	Ascendis Pharma Endocrinology Division A/S	enero-22	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas y análogos	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

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

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



Sección 1: Horizon Scanning

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

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Filsuvez®	Extracto seco de Birch bark	Biológico	Tópica	Amryt Pharmaceutica Is DAC	junio-22	Preparados para el tratamiento de heridas y úlceras	Epidermólisis bullosa distrófica y de unión
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
Roctavian® *	Valoctocogena roxaparovec	Terapia avanzada	Parenteral	BioMarin International Limited	agosto-22	Antihemorrágicos	Tratamiento de la hemofilia A grave
Nulibry®	Fosdenopterin	Químico	Parenteral	TMC Pharma (EU) Limited	septiembre-22	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la deficiencia de molibdenocofactor tipo A
Pyrukynd®	Mitapivat (sulfate)	Químico	Oral	Agios Netherlands B.V.	noviembre-22	Otros agentes 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)
Ebvallo® **	Tabelecleucel (Linfocitos T citotóxicos alogénicos específicos del virus Epstein-Barr, ATA129)	Terapia avanzada	Parenteral	Pierre Fabre Medicament	diciembre-22	Trastornos linfoproliferativos	Virus Epstein-Barr asociado a enfermedad linfoproliferativa post-trasplante

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

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



Sección 1: Horizon Scanning

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

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Ztalmy®	Ganaxolone	Químico	Oral	Marinus Pharmaceuticals Inc.	julio-23	Antiepilépticos	Tratamiento del trastorno por deficiencia de CDKL5
Yorvipath®	Palopegteriparatide	Químico	Parenteral	Ascendis Pharma Bone Diseases A/S	noviembre-23	Homeostasis del calcio	Hipoparatiroidismo
Agamree®	Vamorolone	Químico	Oral	Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH	diciembre-23	Otros medicamentos para los trastornos del sistema músculo-esquelético	Tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne
Loargys® **	Pegzilarginase	Biológico	Parenteral	Immedica Pharma AB	diciembre-23	Endocrinología, ginecología-fertilidad, metabolismo	Tratamiento de la hiperargininemia
Rezzayo®	Rezafungin (acetate)	Químico	Parenteral	Mundipharma GmbH	diciembre-23	Enfermedades infecciosas	Tratamiento de la candidiasis invasiva

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

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



Sección 1: Horizon Scanning

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

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Rystiggo®	Rozanolixizumab	Biológico	Parenteral	UCB Pharma	enero-24	Agente antineoplásico	Tratamiento de la Miastenia Gravis
Casgevy® *	Exagamglogene autotemcel - CTX001 (Células madre hematopoyéticas CD34+ autólogas con una región potenciadora eritroide del gen BCL11A editada por CRISPR)	Terapia avanzada	Parenteral	Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited	febrero-24	Hematología-Hemostasia	Anemia de células falciformes
Casgevy® *	Exagamglogene autotemcel - CTX001 (Células madre hematopoyéticas CD34+ autólogas con una región potenciadora eritroide del gen BCL11A editada por CRISPR)	Terapia avanzada	Parenteral	Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited	febrero-24	Hematología-Hemostasia	Tratamiento de la beta-talasemia dependiente de transfusiones
Skyclarys®	Omaveloxolone	Químico	Oral	Reata Ireland Limited	febrero-24	Neurología	Ataxia de Friedreich
Filspari® *	Sparsentan	Químico	Oral	Vifor France S.A.	abril-24	Uro-nefrología	Tratamiento de la nefropatía IgA primaria
Voydeya®	Danicopan	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	abril-24	Hematología-Hemostasia	Hemoglobinuria paroxística nocturna
Qalsody® **	Tofersen	Químico	Parenteral	Biogen Netherlands B.V.	Mayo-24	Neurología	Tratamiento de la esclerosis lateral amiotrófica
Falhalta®	Iptacopan	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	Mayo-24	Endocrinología -Ginecología- Fertilidad- Metabolismo	Glomerulopatía C3 (nefropatía inducida por el complemento)

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

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



Sección 1: Horizon Scanning

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

- ▶ En julio 2024, hay **9** nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos autorizadas por la CE sin resolución de financiación actualmente en España^{3,4}.

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 pediátricos (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, niños y bebés con un peso corporal de al menos 10 kg 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
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 no dependiente de transfusión				Enero 2023	Febrero 2023	-



Sección 1: Horizon Scanning

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

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

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Soliris®	Eculizumab	Biológico	Parenteral	Alexion Europe SAS	Junio 2007	Inmunosupresores
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Tratamiento de miastenia gravis generalizada (MGg) refractaria en pacientes de 6 años en adelante con anticuerpos positivos frente a receptores de la acetilcolina (AChR)				Junio 2023	Julio 2023	-

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Voxzogo®	Vosoritide	Biológico	Parenteral	BioMarin International Limited	Agosto 2021	Fármacos para el tratamiento de enfermedades óseas
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Tratamiento de niños a partir de 4 meses de edad con acondroplasia				Septiembre 2023	Octubre 2023	-



Sección 1: Horizon Scanning

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

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

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

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Kaftrio®	elexacaftor / tezacaftor / ivacaftor	Químico	Oral	Vertex Pharmaceuticals	Agosto-20	Neumología
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Kaftrio® granulado está indicado en una pauta de administración combinada con ivacaftor para el tratamiento de la fibrosis quística (FQ) en pacientes pediátricos de 2 años a menos de 6 años con al menos una mutación F508del en el gen regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística (CFTR)				Septiembre 2023	Mayo 2024	-



Sección 1: Horizon Scanning

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

- En julio 2024, hay **2 nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos** autorizadas por la CE, pendiente de comercialización en España y en estudio de financiación con una propuesta de resolución de precio por parte de la CIMP^{6,7}, respecto a diciembre 2023.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Propuesta a resolución CIMP	Área terapéutica	Indicación
Voxzogo®	Vosoritida	Biológico	Parenteral	BioMarin International Limited	Noviembre-23	Negativa Abril-24	Fármacos para el tratamiento de enfermedades óseas	Voxzogo está indicado para el tratamiento de la acondroplasia en pacientes mayores de 4 meses de edad y cuyas epífisis no se han cerrado.
Kaftrio	elexacaftor / tezacaftor / ivacaftor	Químico	Oral	Vertex Pharmaceuticals	Mayo-24	Negativa Abril-24	Neumología	Kaftrio granulado está indicado en una pauta de administración combinada con ivacaftor para el tratamiento de la fibrosis quística (FQ) en pacientes pediátricos de 2 años a menos de 6 años con al menos una mutación F508del en el gen regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística (CFTR)

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

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

CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.html>

Consultado el 12 de julio 2024

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



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



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

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

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Altuvoct® (efanesoctocog alfa)	<p>Indicación: Tratamiento y profilaxis de las hemorragias en pacientes con hemofilia A (deficiencia congénita del factor VIII). Altuvoct puede utilizarse en todos los grupos de edad.</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Altuvoct son su capacidad para prevenir y controlar las hemorragias cuando se utiliza a demanda y durante intervenciones quirúrgicas, como se ha observado en ensayos clínicos en adultos y niños con hemofilia A.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes de Altuvoct son dolor de cabeza, vómitos, eczema, erupción cutánea, urticaria, artralgia, dolor en las extremidades, dolor de espalda y pirexia.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-altuvoct_en.pdf

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Adzynma® (apadamtase alfa/cinaxadamtase alfa)	<p>Indicación: ADZYNMA es una terapia de sustitución enzimática (TRE) indicada para el tratamiento de la deficiencia de ADAMTS13 en niños y adultos con púrpura trombótica trombocitopénica congénita.</p> <p>Eficacia: En comparación con las terapias basadas en plasma, el beneficio de Adzynma es la reducción de los episodios agudos y subagudos de púrpura trombocitopénica trombótica (PTT) (como trombocitopenia, anemia hemolítica microangiopática) y las manifestaciones de PTT (signos y síntomas específicos de órganos, incluidos síntomas neurológicos, disfunción renal y dolor abdominal), así como la incidencia de dosis suplementarias provocadas por episodios subagudos de PTT.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes de Adzynma son infección de las vías respiratorias superiores, trombocitosis, cefalea, mareo, migraña, somnolencia, diarrea, náuseas, estreñimiento, distensión abdominal, astenia, sensación de calor y actividad anormal de ADAMTS13.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-adzynma_en.pdf



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

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

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

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Akantior® (polihexanide)	<p>Indicación: Akantior está indicado para el tratamiento de la queratitis por Acanthamoeba en adultos y niños a partir de 12 años.</p> <p>Eficacia: El beneficio de Akantior es una mayor tasa de resolución clínica (definida como ausencia de inflamación corneal que requiera tratamiento, ausencia de inflamación conjuntival o inflamación leve, ausencia de limbitis, escleritis o inflamación de la cámara anterior, y ausencia de recaída en los 30 días siguientes a la interrupción de todo tratamiento tópico) en comparación con los datos históricos en pacientes que no recibieron tratamiento antiinflamatorio.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes de Akantior son dolor ocular e hiperemia ocular.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-summary-positive-opinion-akantior_en.pdf



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

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

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Winrevair® (sotatercept)	<p>Indicación: Winrevair, en combinación con otros tratamientos de la hipertensión arterial pulmonar (HAP), está indicado para el tratamiento de la HAP en pacientes adultos con clase funcional (CF) II a III de la OMS, para mejorar la capacidad de ejercicio.</p> <p>Eficacia: El beneficio de Winrevair en pacientes con HAP en tratamiento de fondo es una mejora de la distancia recorrida en 6 minutos (6MWD) en comparación con placebo, según se observó en un estudio aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo. En general, Sotatercept fue bien tolerado y presentó un perfil de seguridad manejable; sin embargo, el tratamiento se asoció a un aumento de la hemoglobina (eritrocitosis) y a una disminución del recuento de plaquetas (trombocitopenia), ambos controlables mediante la modificación de la dosis.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son dolor de cabeza y hemorragias nasales.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/documents/smop-initial/chmp-initial-authorisation-summary-positive-opinion-winrevair_en.pdf



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



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

D. Nuevos medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en julio 2024

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Agamree® (vamorolone)	<p>Indicación: Agamree está indicado para el tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne (DMD) en pacientes a partir de 4 años de edad.</p> <p>Eficacia: El tratamiento con vamorolona 6 mg/kg/día y 2 mg/kg/día produjo una mejoría estadísticamente significativa del cambio en la velocidad TTSTAND y del cambio en la distancia 6MWT entre el valor basal y la semana 24 en comparación con placebo (véase la tabla 2).</p> <p>Seguridad: Las reacciones adversas notificadas con mayor frecuencia para la vamorolona 6 mg/kg/día son rasgos cushingoides (28,6%), vómitos (14,3%), aumento de peso (10,7%) e irritabilidad (10,7%). Estas reacciones dependen de la dosis, suelen notificarse en los primeros meses de tratamiento y tienden a disminuir o estabilizarse con el tiempo con un tratamiento continuado.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/agamree

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Loargys® (pegzilarginase)	<p>Indicación: Loargys está indicado para el tratamiento del déficit de arginasa 1 (ARG1 D), también conocido como hiperargininemia, en adultos, adolescentes y niños a partir de 2 años.</p> <p>Eficacia: El tratamiento con pegzilarginasa produjo una reducción estadísticamente significativa de la arginina plasmática en comparación con el placebo ($p < 0,0001$) tras 24 semanas de tratamiento. Se alcanzaron niveles de arginina plasmática por debajo del objetivo recomendado por las directrices y dentro del intervalo normal en el 90,5% de los sujetos tratados con pegzilarginasa, en comparación con el 0% de los sujetos del grupo placebo.</p> <p>Seguridad: La reacción adversa notificada con más frecuencia en los pacientes de los ensayos clínicos fue la hipersensibilidad (12,5%).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/loargys



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

D. Nuevos medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en julio 2024

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Rezzayo® (rezafungin)	<p>Indicación: Rezzayo está indicado para el tratamiento de la candidiasis invasora en adultos.</p> <p>Eficacia: En los grupos de tratamiento con rezafungina y caspofungina, el 70,0 % y el 68,7 % de los pacientes, respectivamente, tenían un diagnóstico final de candidemia únicamente. La mayoría de ellos tenían una puntuación APACHE II modificada < 20, lo que representaba el 84,0 % y el 81,8 % de los sujetos tratados con rezafungina y caspofungina, respectivamente. En los grupos de tratamiento con rezafungina y caspofungina, el 88,0 % y el 93,9 % de los pacientes, respectivamente, tenían un CNA $\geq 500/\text{mm}^3$ al inicio del estudio.</p> <p>Seguridad: Las reacciones adversas más frecuentemente notificadas para la rezafungina fueron hipopotasemia, pirexia y diarrea (reacciones adversas muy frecuentes).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/rezzayo

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Rystiggo® (rozanolixizumab)	<p>Indicación: Rystiggo está indicado como complemento de la terapia estándar para el tratamiento de la miastenia grave generalizada (GMG) en pacientes adultos con anticuerpos anti-receptor de acetilcolina (AChR) o anti-músculo tirosina quinasa específica (MuSK) positivos.</p> <p>Eficacia: En total, el 71,9 % y el 31,3 % de los pacientes de los grupos de rozanolixizumab y placebo, respectivamente, cumplieron los criterios de respuesta MG-ADL.</p> <p>Seguridad: Las reacciones adversas notificadas con mayor frecuencia fueron cefalea (48,4 %), diarrea (25,0 %) y pirexia (12,5 %).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/rystiggo



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

D. Nuevos medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en julio 2024

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Casgevy® (exagamglogene autotemcel)	<p>Indicación: Casgevy está indicado para el tratamiento de la anemia de células falciformes y beta-talasemia.</p> <p>Eficacia: Beta-talasemia: el 86,7% de los pacientes tratados con Casgevy incluidos en el estudio 111 y el 92,9% de los pacientes perfundidos con Casgevy en dicho estudio alcanzaron la independencia transfusional durante 12 meses consecutivos. Anemia de células falciformes: el 60,9% de los pacientes tratados con Casgevy incluidos en el estudio 121 y el 92,9% de los pacientes perfundidos con Casgevy en dicho estudio no presentaron ninguna crisis vasoclusiva grave durante al menos 12 meses consecutivos en cualquier momento dentro de los primeros 24 meses tras la perfusión de Casgevy en el estudio 121.</p> <p>Seguridad: La seguridad de Casgevy se evaluó en dos estudios abiertos de un solo grupo (estudio 111 y estudio 121) y en un estudio de seguimiento a largo plazo (estudio 131), en los que 97 pacientes adolescentes y adultos con TDT o ACF fueron tratados con Casgevy. Se produjeron reacciones adversas graves atribuidas a Casgevy en 2 (3,7 %) pacientes con TDT: 1 (1,9 %) paciente con linfocitosis hemofagocítica, síndrome de dificultad respiratoria aguda, síndrome de neumonía idiopática y cefalea; 1 (1,9 %) paciente con retraso del injerto y trombocitopenia. Ningún paciente con ACF presentó reacciones adversas graves atribuidas a Casgevy. Se produjo una reacción adversa grave potencialmente mortal de hemorragia cerebelosa en 1 (1,9 %) paciente con TDT y se atribuyó al acondicionamiento mieloablativo con busulfán. Un paciente (2,3 %) con ACF falleció debido a una infección por COVID-19 y posterior insuficiencia respiratoria. El episodio no estaba relacionado con Casgevy.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/casgevy

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Skyclaris® (omaveloxolone)	<p>Indicación: Tratamiento de la ataxia de Friedreich en adultos y adolescentes mayores de 16 años.</p> <p>Eficacia: El tratamiento con Skyclaris mejoró significativamente las puntuaciones de la mFARS, con una diferencia media de mínimos cuadrados de -2,40 (error estándar 0,956) en relación con placebo (p = 0,0141) (Tabla 3). Todos los componentes de evaluación de la mFARS, incluida la capacidad para tragar (bulbar), la coordinación de los miembros superiores, la coordinación de los miembros inferiores y la estabilidad vertical, favorecieron a Skyclaris frente a placebo.</p> <p>Seguridad: Las reacciones adversas más frecuentes observadas con Skyclaris son ALT elevada y cefalea (37,3 % cada una); peso disminuido (34,0 %); náuseas (33,3 %); AST elevada y fatiga (21,6 % cada una); diarrea (19,6 %); dolor orofaríngeo (17,6 %); vómitos (15,7 %), dolor de espalda, espasmos musculares y gripe (13,7 % cada uno); y apetito disminuido (11,8 %).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/skyclaris



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

D. Nuevos medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en julio 2024

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Filspari® (sparsentan)	<p>Indicación: Filspari está indicado para el tratamiento de adultos con nefropatía primaria por inmunoglobulina A (NlgA) con una excreción de proteínas en orina > 1,0 g/día (o relación proteínas/creatinina en orina > 0,75 g/g).</p> <p>Eficacia: El cambio porcentual de las medias geométricas por mínimos cuadrados en la UP/C en la semana 36 fue -49,8 % (intervalo de confianza [IC] del 95 %: -54,98; -43,95) en el grupo de esparsentán frente a -15,1 % (IC del 95 %: -23,72; 5,39) en el grupo de irbesartán (p < 0,0001). En el análisis final, esparsentán demostró un efecto terapéutico antiproteinúrico rápido y duradero a lo largo de 2 años, con una media geométrica en la UP/C en la semana 110 de 0,64 g/g en el grupo de esparsentán frente a 1,09 g/g en el grupo de irbesartán, lo que representa una reducción media del 43 % con respecto al valor inicial (IC del 95 %: -49,75, -34,97) frente a solo el 4,4 % del irbesartán (IC del 95 %: -15,84; 8,70). Se observó de manera coherente una mejoría en la reducción de la proteinuria con esparsentán en apenas 4 semanas y se mantuvo hasta la semana 110 (Figura 1).</p> <p>Seguridad: Las reacciones adversas a medicamentos notificadas con más frecuencia fueron hipotensión (9 %), hipercalemia (7 %), mareos (7 %) y edema periférico (5 %). La reacción adversa grave más frecuente notificada fue lesión renal aguda (1 %).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/filspari

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Voydeya® (danicopan)	<p>Indicación: Voydeya está indicado como complemento de ravulizumab o eculizumab para el tratamiento de pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) con anemia hemolítica residual.</p> <p>Eficacia: Danicopán de forma complementaria al tratamiento con ravulizumab o eculizumab fue superior al placebo de forma complementaria al mismo tratamiento para la variable principal, y dio lugar a un aumento estadísticamente significativo en la hemoglobina (Hgb) desde el inicio hasta la semana 12. El cambio en la media 8 mínimo-cuadrática de la Hgb desde el inicio fue de 2,94 g/dl (1,82 mmol/l) en el grupo de danicopán en comparación con 0,50 g/dl (0,31 mmol/l) en el grupo de placebo. La diferencia entre grupos de tratamiento fue de 2,44 g/dl (1,51 mmol/l) (IC del 95 %: 1,69 [1,05]; 3,20 [1,99]); p < 0,0001).</p> <p>Seguridad: Las reacciones adversas más frecuentes son pirexia (25,0 %), cefalea (19,8 %), niveles de enzimas hepáticas elevados (11,5 %) y dolor en las extremidades (11,5 %).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/voydeya



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

D. Nuevos medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en julio 2024

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Qalsody® (tofersen)	<p>Indicación: Qalsody está indicado para el tratamiento de adultos con esclerosis lateral amiotrófica (ELA), asociada a una mutación en el gen de la superóxido dismutasa 1 (SOD1).</p> <p>Eficacia: Numéricamente se observaron diferencias mayores entre tofersén y placebo durante 28 semanas en los pacientes con valores de neurofilamentos (NfL) basales por encima de la mediana [diferencia media (IC del 95%) 3,9 (-1,0; 8,9)] comparado con los pacientes con valores de NfL basales por debajo de la mediana [0,6 (-1,3; 4,2)].</p> <p>Seguridad: Las reacciones adversas graves observadas en los participantes tratados con tofersén fueron mielitis (2,7 %), presión intracraneal aumentada o papiledema (2,7 %), radiculitis (1,4 %) y meningitis aséptica (1,4 %). Las reacciones adversas más frecuentes notificadas en los participantes tratados con tofersén fueron dolor (66 %), artralgia (34 %), fatiga (28,6 %), leucocitos aumentados en LCR (26,5 %), proteína elevada en LCR (26,5 %), mialgia (19 %) y pirexia (18,4 %).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/qalsody

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Fabhalta® (iptacopan)	<p>Indicación: FABHALTA está indicado como monoterapia en el tratamiento de pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) que presentan anemia hemolítica.</p> <p>Eficacia: Iptacopán demostró superioridad frente al tratamiento anti-C5 en las dos variables primarias, así como en varias variables secundarias, como la evitación de transfusiones, los cambios desde el inicio en los niveles de hemoglobina, las puntuaciones de fatiga de la evaluación funcional de la terapia de enfermedades crónicas (FACIT, por sus siglas en inglés), los recuentos absolutos de reticulocitos y la tasa anualizada de hemólisis en brecha clínica.</p> <p>Seguridad: Las reacciones adversas notificadas con mayor frecuencia fueron infección del tracto respiratorio superior (18,9%), cefalea (18,3%) y diarrea (11,0%). La reacción adversa grave notificada con mayor frecuencia fue la infección del tracto urinario (1,2%).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/fabhalta



Conclusiones



El presente informe se ha pensado para **facilitar e informar a los decisores y profesionales sanitarios a nivel nacional y regional** acerca de la **innovación que podría ser introducida en el Sistema Nacional de Salud español a corto y medio plazo.**

Se han identificado todos los medicamentos huérfanos no oncológicos en evaluación por procedimiento centralizado en la EMA **hasta julio 2024 según cuatro categorías:**

- ▶ A. La EMA está evaluando a través de su programa **PRIME un total de 33 medicamentos huérfanos** no oncológicos, de los cuales **18 son terapias avanzadas, 7 productos biológicos y 8 son sustancias químicas.**
 - El **área terapéutica con más medicamentos huérfanos en el programa PRIME** de la EMA es el área de **Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo** con un **total de 9 (27,3%) medicamentos.**
 - ❖ En este informe de julio 2024, se encuentran **6 nuevos medicamentos huérfanos en el programa PRIME.**
- ▶ B. De los **15 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP, 2 son terapias avanzadas, 11 son sustancias químicas y 2 son productos biológicos.**
 - ❖ En el informe de diciembre 2023 se encontraban 18 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP, de los cuales **7 han obtenido opinión positiva y 2 ya están autorizados por la Comisión Europea.**
- ▶ C. De los **5 medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP** pendiente de decisión por la CE, 1 es terapia avanzada, 3 productos biológicos y 1 es sustancia química
 - ❖ En el informe de diciembre 2023, había **7 medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP, los cuales ya están aprobados por la CE y pendientes de comercialización en España.**
- ▶ D. De los **26 nuevos medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España** en julio 2024, **4 son terapias avanzadas, 6 son sustancias biológicas y 16 químicas.** Además, **5 de los 26** recibieron la **aprobación de manera condicional, y 5 autorización en circunstancias excepcionales.**
 - ❖ Las **2 nuevas indicaciones en estudio de financiación con propuesta de resolución de precio por la CIMP** tienen resolución negativa.
 - ❖ En el informe de diciembre 2023, había **20 medicamentos autorizados por la CE** pendientes de comercialización en España, de los cuales **2 ya han obtenido financiación en España y 3 no han sido financiados.**



Referencias



Referencias

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



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



Anexo: Descripción de medicamentos excluidos desde el último Horizon Scanning

- En julio 2024, hay un total de **5 medicamentos** que estaban incluidos en el informe actualizado hasta diciembre de 2023 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
Upstaza®	Eladocagene exuparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	PTC Therapeutics International Limited	Deficiencia de Laminoácido decarboxilasa aromática (AADC)	No financiado 01/01/24
Hemgenix®	Etranacogene dezaparvovec (AMT-060, AMT-061)	Terapia avanzada	CSL Behring GmbH	Otros agentes hematológicos	Hemofilia B	No financiado 01/06/2024
Xenpozyme®	Olipudase alfa	Biológico	Sanofi B.V.	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)	Financiado 01/06/2024
Sogroya®	Somapacitan	Biológico	Novo Nordisk A/S	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas y análogos	Sogroya está indicado como sustitución de la hormona del crecimiento endógena .en niños a partir de 3 años de edad y adolescentes con retraso del crecimiento debido a la deficiencia de la hormona de crecimiento y en adultos con deficiencia de la hormona del crecimiento.	No financiado 01/07/2024
Livmarli®	Maralixibat (cloruro)	Químico	Mirum Pharmaceuticals International B.V.	Otros medicamentos para la bilis	Tratamiento del prurito colestático en pacientes con síndrome de Alagille (SALG) de 2 meses de edad y mayores.	Financiado 01/07/2024

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 12 de julio 2024
2. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 12 de julio 2024
3. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 12 de julio 2024



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

- En julio 2024, hay 2 nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos que estaban incluidas en el informe actualizado hasta diciembre 2023 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
Imcivree®	Setmelanotide	Químico	Rhythm Pharmaceuticals, Netherlands B.V.	Preparaciones contra la obesidad, excepto productos dietéticos	IMCIVREE está indicado para el tratamiento de la obesidad y el control del hambre asociados al síndrome de Bardet-Biedl, déficit debido a mutaciones bialélicas de pérdida de función genéticamente confirmadas de proopiomelanocortina (POMC), incluido PCSK1, o de receptores de leptina (LEPR), en adultos y niños mayores de 6 años.	Financiado 01/02/2024
Evrysdi®	Risdiplam	Químico	Roche Registration GmbH	Otros medicamentos para trastornos del sistema músculoesquelético	Tratamiento de la atrofia muscular espinal (AME) 5q en pacientes con un diagnóstico clínico de AME Tipo 1, Tipo 2 o Tipo 3, o que tienen entre una y cuatro copias del gen SMN2	Retirada de la designación huérfana a petición del titular de la autorización de comercialización – Septiembre 2023

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

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

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