



Horizon Scanning

Medicamentos Huérfanos **NO** Oncológicos

*VIII informe
Diciembre 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, diciembre 2022 y junio 2023. A continuación, se presenta el octavo informe Horizon Scanning, el cual incluye estos datos actualizados hasta diciembre 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 diciembre 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 20 de diciembre 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 20 de diciembre 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 20 de diciembre 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 20 de diciembre 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 no oncológicos en evaluación por la EMA hasta diciembre de 2023

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**.



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. The search results show 8859 results, sorted by 'Medicine name (A-Z)'. The first result is 'Human medicine European public assessment report (EPAR): Abasaglar (previously Abasria)' with details on insulin glargine. The second result is 'Human medicine European public assessment report (EPAR): Abilify' with details on aripiprazole. A magnifying glass icon is overlaid on 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.

The screenshot shows the BIFIMED search interface. At the top, there are logos for the Spanish Government, Ministry of Health, and the 2030 Agenda. The main navigation bar includes 'ORGANIZACIÓN', 'SANIDAD', 'CONSUMO', 'SERVICIOS SOCIALES', 'PRENSA', and 'PROYECTOS NORMATIVOS'. The page title is 'BIFIMED: Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos - Nomenclátor de NOVIEMBRE - 2020'. The search form includes fields for 'Principio activo o asociación', 'Nombre o CN del medicamento', 'Situación de financiación', 'Fecha de alta en financiación', 'Fecha No Financiación/Exclusión', and 'Tipo de medicamento'. There are also date pickers for 'Desde' and 'Hasta' for both high and non-financing dates. A magnifying glass icon is overlaid on the search form.

The screenshot shows the CIMA search interface. At the top, there are logos for the Spanish Government, Ministry of Health, and the Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios. The main navigation bar includes 'QUÉ ES CIMA', 'NOMENCLÁTOR', 'GLOSARIO', and 'Iniciar sesión'. The page title is 'ENCUENTRA TU MEDICAMENTO AQUÍ'. The search form includes a search bar with the text 'Busca por medicamento, principio activo, código nacional o número de registro' and a magnifying glass icon. Below the search bar, there is a link 'Buscador para profesionales sanitarios >>'. There are also two circular icons: 'Medicamentos y gluten' and 'Info. Prospecto'. A magnifying glass icon is overlaid on the search bar.

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 junio de 2023 a diciembre 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

32

Medicamentos en el programa PRIME

B. Medicamentos en evaluación por el CHMP

18

Nuevos medicamentos en evaluación por el CHMP

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

7

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

0

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

20

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

10

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

3

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 diciembre 2023

- ▶ En diciembre 2023, hay un total de **32 medicamentos** en el programa **PRIME de la EMA**, **17 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
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
Lonafarnib	Químico	Oral	EigerBio Europe Limited	diciembre-18	Enfermedades infecciosas	Tratamiento de la infección por el virus de la hepatitis D



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en diciembre 2023

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
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
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
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 diciembre 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
Inaxaplin	Químico	Oral	Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited	mayo-22	Uro-nefrología	Tratamiento de la enfermedad renal mediada por la apolipoproteína L1



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en diciembre 2023

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
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	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
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

B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en diciembre 2023

- ▶ En diciembre 2023, hay un total de **18 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
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
Sparsentan	Químico	Oral	Vifor France S.A.	agosto-22	Uro-nefrología	Tratamiento de la nefropatía IgA primaria
Leniolisib	Químico	Oral	Pharming Group N.V.	octubre-22	Inmunología-Reumatología-Trasplantes	Tratamiento del síndrome de la fosfoinositida 3-cinasa delta activada (APDS)
Tofersen	Químico	Parenteral	Biogen Netherlands B.V.	diciembre-22	Neurología	Tratamiento de la esclerosis lateral amiotrófica
Danicopan	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	marzo-23	Hematología-Hemostasia	Hemoglobinuria paroxística nocturna
Apadamtase alfa / Cinaxadamtase alfa (Recombinant human ADAMTS-13)	Biológico	Parenteral	Takeda Manufacturing Austria AG	mayo-23	Hematología	Tratamiento de la púrpura trombótica trombocitopénica
Efanesoctocog alfa	Biológico	Parenteral	Swedish Orphan Biovitrum AB (publ)	mayo-23	Hematología-Hemostaseología	Tratamiento de la hemofilia A
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

B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en diciembre 2023

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
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
Sotatercept	Biológico	Parenteral	Acceleron Pharma	octubre-23	Cardiovascular	Hipertensión arterial pulmonar (HAP)
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 epidermolísis bullosa distrófica
Garadacimab	Biológico	Parenteral	CSL Behring GmbH	noviembre-23	Hematología-Hemostaseología	Prevención de los ataques de angioedema hereditario



Sección 1: Horizon Scanning

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

- ▶ En diciembre 2023, hay **7 nuevos medicamentos con opinión positiva CHMP** que están **pendientes de decisión** por parte de la **CE**³.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Opinión positiva CHMP	Área terapéutica	Indicación
Loargys®	Pegzilarginase	Biológico	Parenteral	Immedica Pharma AB	octubre-23	Endocrinología, ginecología-fertilidad, metabolismo	Tratamiento de la hiperargininemia
Rezzayo®	Rezafungin (acetate)	Químico	Parenteral	Mundipharma GmbH	octubre-23	Enfermedades infecciosas	Tratamiento de la candidiasis invasiva
Agamree®	Vamorolone	Químico	Oral	Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH	octubre-23	Otros medicamentos para los trastornos del sistema músculo-esquelético	Tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne
Rystiggo®	Rozanolixizumab	Biológico	Parenteral	UCB Pharma	noviembre-23	Neurología	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	diciembre-23	Hematología-Hemostasia	Anemia de células falciformes



Sección 1: Horizon Scanning

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

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Opinión positiva CHMP	Área terapéutica	Indicación
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	diciembre-23	Hematología-Hemostasia	Tratamiento de la beta-talasemia dependiente de transfusiones
Skyclarys®	Omaveloxolone	Químico	Oral	Reata Ireland Limited	diciembre-23	Neurología	Ataxia de Friedreich



Sección 1: Horizon Scanning

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

- ▶ En diciembre 2023, hay **20 nuevos medicamentos huérfanos** autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España, **3** de ellos con **aprobación condicional**, **5** con **autorización en circunstancias excepcionales** y **12** con **aprobación normal**^{3,4,5}.

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Dovprela®*	pretomanid	Químico	Oral	Mylan Ireland Limited	julio-20	Antimicobacterias	Tuberculosis en combinación con bedaquiline y linezolid
Arikayce® liposomal	amikacin (sulfate)	Químico	Inhalatoria	Insmad 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
Sogroya®	Somapacitan	Biológico	Parenteral	Novo Nordisk A/S	marzo-21	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas y análogos	Deficiencia de hormona de crecimiento (AGHD)
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 diciembre 2023

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Filsuvez®	Extracto seco de Birch bark	Biológico	Tópica	Amryt Pharmaceuticals DAC	junio-22	Preparados para el tratamiento de heridas y úlceras	Epidermólisis 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
Roctavian®*	Valoctocogene roxaparvovec	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 molibdeno-cofactor 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)
Livmarli®**	Maralixibat (cloruro)	Químico	Oral	Mirum Pharmaceuticals International B.V.	diciembre-22	Otros medicamentos para la bilis	Tratamiento para el Síndrome de Alagille

*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 diciembre 2023

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Ebvallo ^{®**}	Tabelecleucel (Linfocitos T citotóxicos alogénicos específicos del virus Epstein-Barr, ATA129)	Terapia avanzada	Parenteral	Pierre Fabre Medicament	diciembre-22	-	Virus Epstein-Barr asociado a enfermedad linfoproliferativa post-trasplante
Hemgenix ^{®*}	Etranacogene dezaparvovec (AMT-060, AMT-061)	Terapia avanzada	Parenteral	CSL Behring GmbH	febrero-23	Otros agentes hematológicos	Hemofilia B
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

*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 diciembre 2023, hay **10** 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
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 síndrome de Bardet-Biedl (BBS) confirmado genéticamente. (BBS)				Julio 2022	Septiembre 2022	-



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
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	-

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	-



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
Evrysdi®	Risdiplam	Químico	Oral	Roche Registration GmbH	Marzo 2021	Otros medicamentos para trastornos del sistema músculo-esquelético
Indicación				Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
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				Julio 2023	Agosto 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	-

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica
Takhzyro®	Ianadelumab	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®	Ietermovir	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	-



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 diciembre 2023

- ▶ En diciembre 2023, hay **3 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^{6,7}.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Propuesta resolución CIMP	Área terapéutica	Indicación
Upstaza ^{®**}	Eladocagene exuparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	PTC Therapeutics International Limited	julio-22	Negativa Mayo 2023	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Deficiencia de Laminoácido decarboxilasa aromática (AADC)
Hemgenix ^{®*}	Etranacogene dezaparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	CSL Behring GmbH	febrero-23	Negativa Septiembre 2023	Otros agentes hematológicos	Hemofilia B
Xenpozyme [®]	Olipudase alfa	Biológico	Parenteral	Sanofi B.V.	junio-22	Negativa Octubre 2023	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)

*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 20/12/2023

BIFIMED. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 20/12/2023



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



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

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

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Ztalmy® (ganaxolone) ⁸	<p>Indicación: 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>Eficacia: 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>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son somnolencia y pirexia.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ztalmy
Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Yorvipath® (palopegteriparatide) ⁹	<p>Indicación: Yorvipath® (palopegteriparatide) es un tratamiento sustitutivo de la hormona paratiroidea (PTH) indicado para el tratamiento de adultos con hipoparatiroidismo crónico</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Yorvipath® son la consecución de niveles de calcio sérico y urinario en el rango normal e independencia del tratamiento convencional, según se observó en un estudio de fase 3, doble ciego y controlado con placebo en pacientes adultos con hipoparatiroidismo. en pacientes adultos con hipoparatiroidismo.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son dolor de cabeza y parestesia. Puede producirse hipercalcemia, especialmente al iniciar el tratamiento con Yorvipath® o al aumentar la dosis. al aumentar la dosis, por lo que debe vigilarse a los pacientes para detectar signos y síntomas de hipercalcemia.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/yorvipath



Conclusiones



Conclusiones

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

Se han identificado todos los medicamentos huérfanos no oncológicos en evaluación por procedimiento centralizado en la EMA **hasta diciembre 2023 según cuatro categorías:**

- ▶ A. La EMA está evaluando a través de su programa **PRIME un total de 32 medicamentos huérfanos** no oncológicos, de los cuales **17 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 y Neurología** con un **total cada uno de 6 (19%) medicamentos.**
 - ❖ En este informe de diciembre 2023, se encuentran tres nuevos medicamentos huérfanos en el programa PRIME. Sin embargo, **a un medicamento se le ha retirado la elegibilidad del PRIME a petición de la compañía y un medicamento está en evaluación por el CHMP.**
- ▶ B. De los **18 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP, 2 son terapias avanzadas, 11 son sustancias químicas y 5 son productos biológicos.**
 - ❖ En el informe de junio 2023 se encontraban 13 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP, de los cuales **7 ha obtenido opinión + y 1 ya está autorizado por la Comisión Europea.**
- ▶ C. De los **7 medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP** pendiente de decisión por la CE, **2 son terapias avanzadas, 2 productos biológicos y 3 son sustancias químicas.**
 - ❖ En el informe de junio 2023, había **1 medicamento huérfano con opinión positiva del CHMP, el cual ya está aprobado por la CE y pendiente de comercialización en España.**
- ▶ D. De los **20 nuevos medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España** en diciembre 2023, **4 son terapias avanzadas, 6 son sustancias biológicas y 10 químicas.** Además, **3 de los 20** recibieron la **aprobación de manera condicional, y 5 autorización en circunstancias excepcionales.**
 - ❖ De los **10 medicamentos huérfanos con nuevas indicaciones autorizadas por la CE pendientes de comercialización en España** en diciembre 2023, **5 son sustancias químicas y 5 biológicas.**
 - ❖ De los **3 medicamentos en estudio de financiación con propuesta de resolución de precio por la CIMP, los 3 tienen resolución negativa.**
 - ❖ En el informe de junio 2023, había 27 medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España, de los cuales **6 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: 20/12/2023
2. EMA. Medicines under evaluation. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-under-evaluation> Consultado el: 20/12/2023
3. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 20/12/2023
4. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 20/12/2023
5. Base de datos interna de medicamentos huérfanos de Omakase Consulting. Consultado el 20/12/2023
6. BIFIMED. Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 20/12/2023
7. Resoluciones CIMP. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm>. Consultado el 20/12/2023
8. EMA Hemgenix. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ztalmy>
9. EMA Pombiliti. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/yorvipath>



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 diciembre 2023, hay un total de **10 nuevos medicamentos** que estaban incluidos en el informe actualizado hasta junio 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
-	FLT180a	Terapia avanzada	Freeline Therapeutics	Hematología-Hemostasia	Hemofilia B	Retirada de la elegibilidad del PRIME por petición del MAH
Elfabrio®	Pegunigalsidase alfa	Biológico	Chiesi Farmaceutici S.P.A.	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de Fabry	Retirada de la designación huérfana
Pombilit®i	Cipaglicosidase alfa	Biológico	Amicus Therapeutics Europe Limited	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de almacenamiento de glucógeno tipo II (enfermedad de Pompe)	Retirada de la designación huérfana
Tavneos®	Avacopan	Químico	Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma France	Inmunosupresores	Granulomatosis con poliangeítis grave y activa o poliangeítis microscópica.	Financiado (01/08/2023)
Libmeldy®	atidarsagene autotemcel	Terapia avanzada	Orchard Therapeutics	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Leucodistrofia metacromática	No financiado (01/08/2023)
Bylvay®	Odevixibat (A4250)	Químico	Albireo	Terapia de la bilis y del hígado	Colestasia intrahepática progresiva familiar	Financiado (01/09/2023)
Amvuttra®	Vutrisiran (sodium)	Químico	Alnylam Netherlands B.V.,	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Amiloidosis hereditaria mediada por transtiretina con polineuropatía	Financiado (01/09/2023)
Livtency®	Maribavir	Químico	Takeda Pharmaceuticals International AG Ireland Branch	Antivirales de uso sistémico	Tratamiento de la infección y/o enfermedad por citomegalovirus (CMV) refractaria	Financiado (01/10/2023)
Imcivree®	Setmelanotide	Químico	Rhythm Pharmaceuticals Netherlands B.V.	Preparaciones contra la obesidad, excepto productos dietéticos	Obesidad y el control del hambre asociados a la deficiencia de pro-opiomelanocortina y del receptor leptina	Financiado (01/11/2023)
Vyvgart®	Efgartigimod alfa	Biológico	Argenx	Inmunosupresores	Miastenia Grave Generalizada con anticuerpos antireceptor de acetilcolina (AChR) positivos.	Financiado (01/11/2023)





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

- ▶ En diciembre 2023, hay 1 **nueva indicación de un medicamento huérfano** que estaba incluida en el informe actualizado hasta junio 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
Crysvita®	Burosumab	Biológico	Kyowa Kirin Holdings B.V.	Hipofosfatemia	Tratamiento de la hipofosfatemia relacionada con el factor de crecimiento de fibroblastos 23 (FGF23)	Financiada

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 20/12/2023
2. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 20/12/2023
3. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscls.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 20/12/2023