



Horizon Scanning

Medicamentos Huérfanos **NO** Oncológicos

IV informe

Diciembre 2021



orpharsefh

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

En colaboración con:



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 sus indicaciones, excluyendo los oncológicos, que podrían comercializarse en España a corto y medio plazo.

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

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** de medicamentos huérfanos en evaluación por la **Agencia Europea del Medicamento (EMA)**, hasta diciembre de 2021 y que podrían ser comercializados a corto y medio plazo en España (*Horizon Scanning*).

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



Metodología



Metodología

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

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA



B. Medicamentos en evaluación por el CHMP



C. Opinión positiva del CHMP



D. Autorización CE



Autorización en España
(AEMPS)



**Comercialización en
España**



Identificación de medicamentos

Se clasifican los medicamentos en:

- ▶ **A. Medicamentos 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 17 noviembre 2021*
- ▶ **B. Medicamentos en evaluación por el CHMP:** se utilizó la sección “*Medicines under evaluation*” en la página web de la EMA. La lista de solicitudes de nuevos medicamentos que están siendo evaluados se actualiza mensualmente y está dividida por huérfanos y no huérfanos. *Última actualización 8 diciembre 2021*
- ▶ **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 de la CE (*EC pending decision*). *Última actualización 20 diciembre 2021*
- ▶ **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 20 diciembre 2021*

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



Metodología

Periodo temporal de búsqueda

El Orphar-SEFH Horizon Scanning incluye todos los medicamentos huérfanos en evaluación por la EMA hasta diciembre de 2021

Criterios de inclusión y exclusión de medicamentos

Se han incluido nuevos medicamentos huérfanos:

1. Incluidos en el programa **PRIME** de la EMA.
2. En evaluación por el **CHMP**.
3. Con **opinión positiva** del **CHMP** pendientes de la **decisión de 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 negativa por parte de la CIMP.

Se han excluido:

1. Medicamentos **oncológicos**.
2. Medicamentos **genéricos**.
3. Medicamentos **biosimilares**.
4. Medicamentos con **CHMP negativo** o que ha 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 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 en el programa PRIME de la EMA, en evaluación por el CHMP, con CHMP positivo pendientes de la decisión CE y autorizados por la CE pendientes de comercialización en España.

EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

Medicines Human regulatory Veterinary regulatory Committees News & events Partners & networks About us

Medicines

Search Download What we publish and when
Medicines under evaluation National registers Medicines for use outside the EU

Search

For help on how to get the results you want, see our [search tips](#).

Categories **8859 results** Sort by Medicine name (A-Z)

- Human (7674)
- Veterinary (1176)
- Herbal (194)

Medicine name

Active substance

Medicine

- European public assessment reports (EPAR) (1613)

Human medicine European public assessment report (EPAR): Abasaglar (previously Abasria)
Insulin glargine, Diabetes Mellitus
Date of authorisation: 09/09/2014, Revision: 6, Authorised, Last updated: 21/03/2018

Human medicine European public assessment report (EPAR): Abilify
Aripiprazole, Schizophrenia, Bipolar Disorder
Date of authorisation: 04/06/2004, Revision: 43, Authorised, Last updated: 27/05/2019

Opinion/decision on a Paediatric investigation plan (PIP): Abilify, aripiprazole
Decision type: PM: decision on the application for modification of an agreed PIP, therapeutic area: Psychiatry, PIP number: EMEA-000235-PIP02-10-M02, decision date: 26/10/2012, Last updated: 26/11/2012, compliance check



Metodología

Bases de datos empleadas

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

Principio activo o asociación *

(+) Añadir Principio

Nombre o CN del medicamento

Situación de financiación

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

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

Tipo de medicamento

Genérico Biosimilar Huérfano Biológico

Buscar Limpiar

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

ENCUENTRA TU MEDICAMENTO AQUÍ

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

Buscador para profesionales sanitarios >>

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 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 la decisión de la CE**
- ▶ **D.** Nuevos medicamentos y nuevas indicaciones con **autorización por la CE pendientes de comercialización en España**

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

Los nuevos medicamentos identificados en cada categoría desde junio de 2021 hasta diciembre de 2021, 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 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

20

Nuevos medicamentos en evaluación por el CHMP

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

8

Medicamentos con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en este periodo

2

Nuevas indicaciones con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en este periodo

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

23

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

6

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

1

Nuevos medicamentos autorizados por la CE, pendientes de comercialización en España y en estudio de financiación con propuesta de resolución de precio negativa por la CIMP



Sección 1: Horizon Scanning



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA

- ▶ En diciembre 2021 hay un total de **32 medicamentos** en el programa **PRIME de la EMA**, **20 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 primaria biliar
Fidanacogene elaparvovec (PF-06838435/SPK-9001)	Terapia avanzada	Parenteral	Amsterdam Molecular Therapeutics B.V.	Febrero-17	Hematología- Hemostasia	Hemofilia B
Etranacogene dezaparvovec (AMT-060, AMT-061)	Terapia avanzada	Parenteral	uniQure biopharma B.V.	Abril-17	Hematología- Hemostasia	Hemofilia B severa
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 de serotipo 8 que contiene el gen MTM1 humano (AT132)	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 la beta globina humana (OTL-300)	Terapia avanzada	Parenteral	Orchard Therapeutics Ltd	Septiembre-18	Hematología- Hemostasia	Beta talasemia



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Vector viral recombinante adeno-asociado serotipo S3 que contiene un casete de expresión optimizado en codones que codifica la variante del factor IX de coagulación humano (FLT180a)	Terapia avanzada	Parenteral	Freeline Therapeutics	febrero-19	Hematología-Hemostasia	Hemofilia B
Virus del herpes simple-1 genéticamente modificado e incompetente para la replicación que expresa colágeno VII (KB103)	Terapia avanzada	Transdérmica	IDEA Innovative Drug European Associates	marzo-19	Dermatología	Epidermolisis distrófica bullosa
Sepofarsen (QR-110)	Químico	Oftalmológica	ProQR Therapeutics IV B.V.	julio-19	Oftalmología	Amaurosis congénita de Leber
Vector de virus adenoasociado recombinante basado en el serotipo hu37 de AAV que contiene un genoma de ADN monocatenario que codifica una forma de FVIII humano (BAY2599023)	Terapia avanzada	Parenteral	Bayer HealthCare LLC	octubre-19	Hematología-Hemostasia	Hemofilia A
Danicopan	Químico	Oral	Achillion Pharmaceuticals	noviembre-19	Hematología-Hemostasia	Hemoglobinuria paroxísmica nocturna
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



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Vector viral asociado a adenovirus de serotipo 5 que contiene el gen humano RPGR	Terapia avanzada	Oftalmológica	Janssen-Cilag International N.V.	febrero-20	Oftalmología	Retinitis pigmentosa ligada al cromosoma X
Sotatercept	Biológico	Parenteral	Acceleron Pharma	abril-20	Cardiovascular	Hipertensión arterial pulmonar (HAP)
AT-GTX-501 (vector viral adenoasociado de serotipo 9 que contiene el gen CLN6 humano)	Terapia avanzada	Parenteral	Amicus Therapeutics	septiembre-20	Neurología	Lipofuscinosis ceroide neuronal infantil tardía variante 6 (vLINCL6). Enfermedad de Batten
CTX001 (Células madre hematopoyéticas CD34+ autólogas con una región potenciadora eritroide del gen BCL11A editada por CRISPR)	Terapia avanzada	Parenteral	Vertex Pharmaceuticals	septiembre-20	Hematología-Hemostasia	Anemia de células falciformes
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)
Población autóloga enriquecida con células CD34 + de pacientes con anemia de células falciformes que contiene células madre hematopoyéticas transducidas con el vector lentiviral BB305 que codifica el gen de la globina β A-T87Q (bb1111)	Terapia avanzada	Parenteral	bluebird bio (Netherlands) B.V.	septiembre-20	Hematología-Hemostasia	Anemia de células falciformes



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Iptacopan	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	septiembre-20	Hematología-Hemostasia	Glomerulopatía C3 (nefropatía inducida por el complemento)
PF-06823859	Biológico	Parenteral	Pfizer Europe MA EEIG	octubre-20	Inmuno-reumatología trasplante	Tratamiento de la dermatomiositis
ARU-1801	Terapia avanzada	Parenteral	Aruvant	enero-21	Hematología-Hemostasia	Anemia de células falciformes
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
CTX001 (Células madre hematopoyéticas CD34+ autólogas con una región potenciadora eritroide del gen BCL11A editada por CRISPR)	Terapia avanzada	Parenteral	Vertex Pharmaceuticals	abril-21	Hematología-Hemostasia	Tratamiento de la beta-talasemia dependiente de transfusiones
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)



Sección 1: Horizon Scanning

B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en diciembre 2021

- ▶ En diciembre 2021 hay un total de **20 medicamentos en evaluación por el CHMP**, 4 de ellos están clasificados como **productos de terapia avanzada (ATMP)²**.

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Eladocagene exuparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	PTC Therapeutics	febrero-20	Neurología	Deficiencia de Laminoácido decarboxilasa aromática (AADC)
Lonafarnib	Químico	Oral	Eigerbio Europe Limited	mayo-20	Enfermedades infecciosas	Virus hepatitis delta
Lenadogene nolparvovec	Terapia avanzada	Oftalmológica	GenSight Biologics S.A.	noviembre-20	Oftalmología	Neuropatía Óptica Hereditaria de Leber
Arimoclomol	Químico	Oral	Orphazyme	diciembre-20	Neurología	Enfermedad Niemann-Pick
Birch bark dry extract	Biológico	Tópica	Amryt Pharmaceuticals Designated Activity Company	marzo-21	Dermatología	Tratamiento de la epidermólisis ampollosa
Palovarotene	Químico	Oral	Ipsen Pharma	mayo-21	Aparato músculo esquelético	Fibrodisplasia osificante progresiva
Budesonide	Químico	Oral	Calliditas Therapeutics AB	junio-21	Antidiarreicos, antiinflamatorios/anti infecciosos intestinales	Nefropatía primaria nefropatía por inmunoglobulina A (IgA)
Maribavir	Químico	Oral	Takeda Pharmaceuticals International AG Ireland Branch	junio-21	Antivirales de uso sistémico	Enfermedad por citomegalovirus en pacientes con inmunidad celular alterada
Mitapivat (sulfate)	Químico	Oral	Agios Netherlands B.V.	julio-21	Otros medicamentos hematológicos	Tratamiento de la deficiencia de piruvato quinasa
Valoctocogene roxaparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	BioMarin International Limited	julio-21	Antihemorrágicos	Tratamiento de la hemofilia A grave



Sección 1: Horizon Scanning

B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en diciembre 2021

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de Administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Efgartigimod alfa	Biológico	Parenteral	Argenx B.V.B.A.	agosto-21	Inmunosupresores	Tratamiento de la trombocitopenia inmune y de la miastenia grave
Maralixibat (choride)*	Químico	Oral	Mirum Pharmaceuticals International B.V.	septiembre-21	Terapia biliar y hepática	Tratamiento de la atresia biliar
Vutrisiran (sodium)	Químico	Parenteral	Alnylam Netherlands B.V.,	septiembre-21	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Amiloidosis ATTR hereditaria con polineuropatía
Bardoxolone (methyl)	Químico	Oral	Reata Ireland Limited	octubre-21	Inmunosupresores	Tratamiento del síndrome de Alport
Ganaxolone	Químico	Oral	Marinus Pharmaceuticals Inc.	octubre-21	Antiepilépticos	Tratamiento del trastorno por deficiencia de CDKL5
Sutimlimab	Biológico	Parenteral	Genzyme Europe B.V.	octubre-21	Inmunosupresores	Trombocitopenia inmune púrpura y anemia hemolítica autoinmune
Cipaglucosidase alfa	Biológico	Parenteral	Genzyme Europe B.V.	noviembre-21	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de almacenamiento de glucógeno tipo II (enfermedad de Pompe)
Fosdenopterin	Químico	Parenteral	Comharsa Life Sciences Limited	noviembre-21	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la deficiencia de molibdeno-cofactor tipo A
Olipudase alfa	Biológico	Parenteral	Genzyme Europe B.V.	noviembre-21	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de Niemann-Pick
Tabelecleucel (Linfocitos T citotóxicos alogénicos específicos del virus Epstein-Barr, ATA129)*	Terapia avanzada	Parenteral	Atara Biotherapeutics Ireland Limited	noviembre-21	Hematología-Hemostasia	Virus Epstein-Barr asociado a enfermedad linfoproliferativa post-trasplante

*Tabelecleucel trata una consecuencia generada por una enfermedad oncológica. Se ha considerado incluir el fármaco en este Horizon Scanning ya que la consecuencia tratada no es oncológica (Virus Epstein-Barr).



Sección 1: Horizon Scanning

C. Medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en diciembre 2021

- En diciembre 2021 hay **8 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
Nexviadyme®	Avalglucosidase alfa	Biológico	Parenteral	Genzyme Europe B.V.	julio-21	Tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de almacenamiento de glucógeno tipo II (enfermedad de Pompe)
Artesunate Amivas®	Artesunate	Químico	Parenteral	Amivas Ireland Limited	septiembre-21	Antiprotozoals	Paludismo
Tavneos®	Avacopan	Químico	Oral	Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma France	noviembre-21	Inmunosupresores	Tratamiento de pacientes adultos con granulomatosis con poliangeítis grave y activa o poliangeítis microscópica.
Voraxaze®	Glucarpidase	Biológico	Parenteral	SERB SAS	noviembre-21	Otras	tratamiento para reducir la concentración plasmática tóxica de MTX en adultos y niños con eliminación retardada de MTX o con riesgo de toxicidad por MTX
Uplizna®	Inebilizumab	Biológico	Parenteral	AstraZeneca AB	noviembre-21	Inmunosupresores	Tratamiento de los trastornos del espectro de la neuromielitis óptica
Lonapegsomatropin Ascendis Pharma®	Lonapegsomatropin	Biológico	Parenteral	Ascendis Pharma Endocrinology Division A/S	noviembre-21	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas	Tratamiento de la deficiencia de hormona del crecimiento
Oxbryta®	Voxelotor	Químico	Oral	SynteractHCR Deutschland GmbH	diciembre-21	Hematología-Hemostasia	Anemia de células falciformes
Ngenla®	Somatrogon	Biológico	Parenteral	OPKO Health	diciembre-21	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas	Tratamiento de pacientes pediátricos con deficiencia de la hormona de crecimiento (DHC)



Sección 1: Horizon Scanning

C. Nuevas indicaciones con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en diciembre 2021

- ▶ En diciembre 2021 hay **2 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
Kalydeco®	ivacaftor	Químico	Oral	Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited	Noviembre-21	Fibrosis quística	Indicado en combinación con ivacaftor /tezacaftor /elixacaftor comprimidos para el tratamiento de adultos, adolescentes y niños de 6 años o más con fibrosis quística (FQ) que tienen al menos una mutación F508del en el gen CFTR
Kaftrio®	ivacaftor, tezacaftor, elixacaftor	Químico	Oral	Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited	Noviembre-21	Fibrosis quística	Indicado en combinación con ivacaftor para el tratamiento de la fibrosis quística (FQ) en pacientes de 6 años o más que tengan al menos una mutación F508del en el gen del regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística (CFTR)



Sección 1: Horizon Scanning

D. Medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en diciembre 2021

- ▶ En diciembre 2021, hay **23 nuevos medicamentos huérfanos** autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España, **4** de ellos con **aprobación condicional**, **4** 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
Brineura ^{***}	Cerliponase alfa	Biológico	Parenteral	BioMarin International Limited	Mayo 2017	Neurología	Lipofuscinosis ceroide neuronal tipo 2
Waylivra [®]	Volanesorsen	Químico	Parenteral	Akcea Therapeutics Ireland Limited	mayo-19	Cardiovascular	Hiperlipoproteíemia tipo I
Zynteglo ^{***} (betibeglogene autotemcel)	autologous CD34+ cells encoding β A-T87Q-globin gene (Lentiglobin)	Terapia avanzada	Oral	bluebird bio (Netherlands) B.V.	mayo-19	Hematología-Hemostasia	Beta-talasemia
Isturisa [®]	osilodrostat	Químico	Oral	Recordati Rare Diseases	enero-20	Endocrinología	Síndrome de Cushing
Reblozyl [®]	luspatercept	Biológico	Parenteral	Bristol Myers Squibb Pharma EEIG	junio-20	Hematología-Hemostasia	Anemia dependiente de transfusiones asociada con síndromes mielodisplásicos o beta-talasemia
Dovprela ^{®*}	pretomanid	Químico	Oral	Mylan Ireland Limited	julio-20	Enfermedades infecciosas	Tuberculosis en combinación con bedaquiline y linezolid
Hepcludex ^{®*}	bulevirtide (acetate)	Químico	Parenteral	Gilead Sciences Ireland UC	julio-20	Enfermedades infecciosas	Virus de la hepatitis delta

*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 2021

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Idefirix ^{®*}	imlifidase	Químico		Hansa Biopharma AB	agosto-20	Nefrología	Enfermedad de la membrana basal antglomerular
Arikayce liposomal [®]	amikacin (sulfate)	Químico	Inhalatoria	Insmmed Netherlands B.V.	octubre-20	Enfermedades infecciosas	Enfermedad pulmonar por micobacterias no tuberculosa
Adakveo ^{®*}	crizanlizumab	Biológico	Parenteral	Novartis Europharm Limited	octubre-20	Hematología-Hemostasia	Prevención de crisis vasooclusivas recurrentes (COV) en pacientes con anemia de células falciformes
Obiltoxaximab SFL ^{®**}	obiltoxaximab	Biológico	Parenteral	SFL Pharmaceuticals Deutschland GmbH	noviembre-20	Enfermedades infecciosas	Antrax
Oxlumo [®]	lumasiran	Químico	Parenteral	Alnylam Netherlands B.V.	noviembre-20	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Hiperoxaluria tipo I
Libmeldy [®]	Células CD34+ autólogas transfectadas con un vector lentivírico que contiene el ADNc de la arilsulfatasa A humana	Terapia avanzada	Parenteral	Orchard Therapeutics	diciembre-20	Neurología	Leucodistrofia metacromática
Fintepla [®]	fenfluramine	Químico	Oral	Zogenix ROI Limited	diciembre-20	Neurología	Síndrome de Dravet
Inrebic ^{®+}	fedratinib dihydrochloride monohydrate	Químico	Oral	Bristol Myers Squibb Pharma EEIG	febrero-21	Trastornos mieloproliferativos, mielofibrosis primaria	Tratamiento de la esplenomegalia o los síntomas relacionados con la mielofibrosis

*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 2021

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Evrysdi®	Risdiplam	Químico	Oral	Roche Registration GmbH	marzo-21	Neurología	Atrofia muscular espinal
Sogroya®	Somapacitan	Biológico	Parenteral	Novo Nordisk A/S	marzo-21	Endocrinología	Tratamiento de la deficiencia de la hormona del crecimiento
Enspryng®	Satralizumab	Biológico	Parenteral	Roche Registration GmbH	junio-21	Oftalmología	Trastorno del espectro de la neuromielitis óptica
Bylvay®**	Odevixibat (A4250)	Químico	Oral	Albireo	julio-21	Gastroenterología- Hepatología	Colestasia intrahepática progresiva familiar
Imcivree®	Setmelanotide	Químico	Parenteral	Rhythm Pharmaceuticals, Netherlands B.V.	julio-21	Endocrinología- Ginecología- Fertilidad- Metabolismo	Tratamiento de la obesidad y el control del hambre asociado a los trastornos de deficiencia de la vía del receptor MC4R
Skysona®	Elivaldogene autotemcel	Terapia avanzada	Parenteral	Bluebird bio (Netherlands) B.V	julio-21	Neurología	Adrenoleucodistrofia cerebral temprana
Voxzogo®	Vosoritide	Biológico	Parenteral	BioMarin International Limited	agosto-21	Otras	Acondroplasia
Aspaveli®	Pegcetacoplan	Químico	Parenteral	Swedish Orphan Biovitrum AB	diciembre-21	Hematología- hemostasia	Hemoglobinuria Paroxística Nocturna

*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.

*Inrebic trata una consecuencia generada por una enfermedad oncológica. Se ha considerado incluir el fármaco en este Horizon Scanning ya que la consecuencia tratada no es oncológica (esplenomegalia).



Sección 1: Horizon Scanning

D. Nuevas indicaciones autorizadas por la CE y actualmente no financiadas en España en diciembre 2021

- ▶ En diciembre 2021, hay 7 nuevas indicaciones de 6 medicamentos huérfanos autorizadas por la CE y no financiadas actualmente en España^{3,4}.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Soliris®	Eculizumab	Biológico	Parenteral	Alexion Europe SAS	Junio 2007	Oftalmología	Enfermedad de espectro de neuromielitis óptica

Indicación	Opinión + CHMP	Aut. CE	Comercializada en España
Trastorno del espectro de neuromielitis óptica (TENMO) en pacientes con anticuerpos positivos frente a acuaporina-4 (AQP4) con curso recidivante de la enfermedad	Julio 2019	Agosto 2019	Sí

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Kalydeco®	Ivacaftor	Químico	Oral	Vertex Pharmaceuticals	Julio 2012	Neumología	Fibrosis quística

Indicación	Opinión + CHMP	Aut. CE	Comercializada en España
Kalydeco combinado con comprimidos de tezacaftor/ivacaftor para el tratamiento de adultos, adolescentes y niños de 6 años de edad o mayores con fibrosis quística (FQ) homocigóticos para la mutación F508del o heterocigóticos para la mutación F508del con una de las siguientes mutaciones en el gen regulador de la conductancia transmembrana de la fibrosis quística (CFTR): P67L, R117C, L206W, R352Q, A455E, D579G, 711+3A→G, S945L, S977F, R1070W, D1152H, 2789+5G→A, 3272-26A→G y 3849+10kbC→T.	Septiembre 2020	Noviembre 2020	Sí



Sección 1: Horizon Scanning

D. Nuevas indicaciones autorizadas por la CE y actualmente no financiadas en España en diciembre 2021

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Sirturo®	Bedaquiline fumarate	Químico	Oral	Janssen-Cilag International N.V.	Marzo 2014	E. Infecciosas	Tuberculosis multirresistente en pediátricos

Indicación	Opinión + CHMP	Aut. CE	Comercializada 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	No

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Deltyba®	Delamanid	Químico	Oral	Otsuka Novel Products GmbH	Abril 2014	E. Infecciosas	Tuberculosis pulmonar multirresistente

Indicación	Opinión + CHMP	Aut. CE	Comercializada en España
Deltyba como parte de un régimen combinado apropiado para la tuberculosis pulmonar multirresistente (TB-MDR) en pacientes adultos, adolescentes y pediátricos con un peso corporal de al menos 30 kg cuando no se pueda utilizar un régimen de tratamiento eficaz de otra manera compuesto por razones de resistencia o tolerabilidad	Septiembre 2020	Octubre 2020	Sí
Deltyba 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	No



Sección 1: Horizon Scanning

D. Nuevas indicaciones autorizadas por la CE y actualmente no financiadas en España en diciembre 2021

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Galafold®	Migalastat	Químico	Oral	Amicus Therapeutics Europe Limited	Mayo 2016	E. Infecciosas	Enfermedad de Fabry

Indicación	Opinión + CHMP	Aut. CE	Comercializada en España
Galafold indicado para el tratamiento a largo plazo de adultos y adolescentes de 12 años de edad y mayores con un diagnóstico confirmado de enfermedad de Fabry (deficiencia de α -galactosidasa A) y portadores de mutaciones susceptibles de responder al tratamiento	Junio 2021	Julio 2021	Sí

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Epidyolex®	Cannabidiol	Biológico	Oral	GW Pharma (International) B.V.	Septiembre 2019	Neurología	Complejo de esclerosis tuberosa

Indicación	Opinión + CHMP	Aut. CE	Comercializada en España
Epidyolex indicado como tratamiento complementario para las crisis asociadas con el complejo de esclerosis tuberosa (CET) en pacientes a partir de los 2 años de edad.	Febrero 2021	Abril 2021	No



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 negativa en diciembre 2021

- ▶ En diciembre 2021, hay **1 nuevo medicamento huérfano** autorizado por la CE, pendiente de comercialización en España y en estudio de financiación con una propuesta de resolución de precio negativa 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
Waylivra®	Volanesorsen	Químico	Parenteral	Akcea Therapeutics Ireland Limited	mayo-19	Septiembre 2021	Cardiovascular	Hiperlipoproteinemia tipo I

*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 20/12/2021

BIFIMED. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 20/12/2021



Sección 2:

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



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

C. Nuevos medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP pendientes de autorización CE en diciembre 2021

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Nexviadyme® (Avalglucosidase alfa) ⁸	<p>Indicación: Nexviadyme® (avalglucosidasa alfa) está indicado para la terapia de sustitución enzimática a largo plazo en el tratamiento de pacientes con enfermedad de Pompe (deficiencia de α-glucosidasa ácida).</p> <p>Eficacia: El beneficio de Nexviadyme® es su capacidad para mejorar la función respiratoria (capacidad vital de fuerza) de los pacientes con enfermedad de Pompe.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son la hipersensibilidad (incluida la anafilaxia), las reacciones asociadas a la infusión (prurito, erupción cutánea, cefaleas, urticaria, fatiga, náuseas y escalofríos).</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/nexviadyme

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Artesunate Amivas® (artesunate) ⁹	<p>Indicación: Artesunate Amivas® está indicado para el tratamiento inicial de la malaria grave en adultos y niños.</p> <p>Eficacia: El principal beneficio de Artesunate Amivas® es la mejora de la supervivencia en los hospitales de los pacientes que sufren malaria grave.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes consisten en un retraso en la lisis de los glóbulos rojos tras el tratamiento (descomposición), anemia y reducción del recuento de reticulocitos.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/artesunate-amivas



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

C. Nuevos medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP pendientes de autorización CE en diciembre 2021

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Voraxaze® (glucarpidase) ¹⁰	<p>Indicación: Voraxaze® está indicado para reducir la concentración plasmática tóxica de metotrexato en adultos y niños (a partir de 28 días) con retraso en la eliminación de metotrexato o con riesgo de toxicidad por metotrexato.</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Voraxaze® consisten en una reducción clínicamente importante de la concentración de metotrexato en al menos el 62% de los pacientes tratados, con una reducción media de > 98% de la concentración de metotrexato que se produce en los 15 minutos siguientes a la administración de glucarpidase, según lo observado en cuatro estudios multicéntricos abiertos de uso compasivo.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son sensación de quemazón, cefaleas, parestesia, rubor y sensación de calor.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/voraxaze

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Tavneos® (avacopan) ¹¹	<p>Indicación: Tavneos®, en combinación con rituximab o ciclofosfamida, está indicado para el tratamiento de pacientes adultos con granulomatosis con poliangeítis (GPA) o poliangeítis microscópica (MPA) graves y activas.</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Tavneos® están relacionados principalmente con que los pacientes alcancen la remisión de la enfermedad en la semana 26 y la remisión sostenida en la semana 52.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son las infecciones de las vías respiratorias superiores, nasofaringitis, cefalea, náuseas, diarrea, vómitos, aumento de las pruebas de función hepática y disminución del recuento de glóbulos blancos.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/tavneos



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

C. Nuevos medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP pendientes de autorización CE en diciembre 2021

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Lonapegsomatropin Ascendis Pharma® (lonapegsomatropin) ¹²	<p>Indicación: Insuficiencia de crecimiento en niños y adolescentes de 3 a 18 años debido a una secreción insuficiente de la hormona de crecimiento endógena (deficiencia de la hormona de crecimiento [GHD]).</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Lonapegsomatropin® son las mejoras consistentes y clínicamente relevantes de los parámetros relacionados con el crecimiento, como la velocidad de estatura anualizada (VEA), la puntuación de la desviación estándar de la estatura (SDS de la estatura), la SDS del factor de crecimiento similar a la insulina-1 (IGF-I SDS), en pacientes pediátricos con TGD que son naïve o no naïve a la hormona de crecimiento.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son cefalea, artralgia, hipotiroidismo secundario y reacciones en el lugar de la inyección.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/lonapegsomatropin

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Uplizna® (inebilizumab) ¹³	<p>Indicación: Uplizna® está indicado como monoterapia para el tratamiento de pacientes adultos con trastornos del espectro de la neuromielitis óptica (NMOSD) que son seropositivos a la inmunoglobulina G anti-aquaporina 4 (AQP4-IgG).</p> <p>Eficacia: El beneficio de Uplizna® es la reducción del riesgo de ataques en la NMOSD seropositiva a AQP4-IgG.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son las infecciones del tracto urinario, el dolor articular y la reducción de los niveles de inmunoglobulinas.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/uplizna



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



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

D. Nuevos medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en diciembre 2021

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Skysona® (Elivaldogene autotemcel) ¹⁴	<p>Indicación: Skysona® está indicado para el tratamiento de la adrenoleucodistrofia cerebral temprana en pacientes menores de 18 años, con una mutación genética ABCD1, y por los que no disponen de un donante de células madre hematopoyéticas compatible con HLA.</p> <p>Eficacia: Skysona® ha demostrado beneficios clínicamente significativos al preservar la función motora y la capacidad de comunicación, y mejora la supervivencia en la etapa temprana de la enfermedad.</p> <p>Seguridad: La reacción adversa más grave atribuida a Skysona® fue la pancitopenia.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/skysona

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Bylvay® (Odevixibat) ¹⁵	<p>Indicación: Bylvay® está indicado para el tratamiento de la colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC) en pacientes de 6 meses o mayor.</p> <p>Eficacia: Bylvay® ha demostrado beneficio en su capacidad para reducir la concentración de ácidos biliares en el suero de pacientes con colestasis intrahepática familiar progresiva (PFIC).</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son diarrea, dolor abdominal, diarrea hemorrágica, heces blandas y hepatomegalia.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/bylvay



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 2021

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Imcivree® (Setmelanotide) ¹⁶	<p>Indicación: Imcivree® está indicado para el tratamiento de la obesidad y el control del hambre asociado a la pérdida de la función proopiomelanocortina bialélica (COMP) genéticamente confirmada, incluyendo deficiencia de PCSK1 o deficiencia del receptor de leptina bialélica (LEPR) en adultos y niños de 6 años o más.</p> <p>Eficacia: Imcivree® ha demostrado beneficios en su capacidad para lograr una pérdida de peso igual o superior al 10% después de 1 año de tratamiento y demostrar una mejora clínicamente significativa en el manejo del hambre en pacientes con obesidad por deficiencia de proopiomelanocortina (POMC) y en pacientes con obesidad por deficiencia de receptor de leptina (LEPR).</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son hiperpigmentación, reacción en el lugar de la inyección, náuseas y dolor de cabeza.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/imcivree

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Voxzogo® (Vosoritide) ¹⁷	<p>Indicación: Voxzogo® está indicado para el tratamiento de la acondroplasia en pacientes mayores de 2 años cuyas epífisis no están cerradas.</p> <p>Eficacia: Voxzogo® ha demostrado beneficio en su capacidad para proporcionar mejoras significativas en el crecimiento, agregando un promedio de 1,57 cm de altura al año en pacientes tratados con Voxzogo 15 microgramos/kg/día. El aumento observado en el crecimiento se produjo proporcionalmente tanto en la columna vertebral como en las extremidades inferiores.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son hipotensión, reacciones en el lugar de la inyección y vómitos.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/voxzogo



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 2021

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Aspaveli® (pegcetacoplan) ¹⁸	<p>Indicación: Aspaveli® está indicado en el tratamiento de pacientes adultos con hemoglobinuria paroxística nocturna (HPN) que están anémicos después de un tratamiento con un inhibidor de C5 durante al menos 3 meses.</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Aspaveli son su capacidad para mejorar los niveles de hemoglobina y evitar las transfusiones en pacientes con hemoglobinuria paroxística nocturna que están anémicos después del tratamiento con un inhibidor C5.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son infección de las vías respiratorias superiores, dolor de cabeza, dolor abdominal, diarrea reacciones en el lugar de la inyección, fatiga y pirexia.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/aspaveli



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 2021 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 **20 son terapias avanzadas, 7 productos biológicos y 5 son sustancias químicas.**
 - El **área terapéutica con más medicamentos en el programa PRIME** de la EMA es el área de **Hematología y Hemostasia, con un total de 12 (37,5%) medicamentos** seguida de las áreas de Neurología con un total de 4 (12,5%) medicamentos.
 - ❖ En el informe de junio 2021 habían 6 medicamentos más en el programa PRIME. Sin embargo, en este informe se han eliminado 5 medicamentos por no obtener designación huérfana de acuerdo con la información actualmente disponible. **Dos de los medicamentos PRIME del informe de junio 2021 han pasado a evaluación por el CHMP.**
- ▶ B. De los **20 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP, sólo 4 son terapias avanzadas, 11 son sustancias químicas y 5 son productos biológicos.**
 - ❖ En el informe de junio 2021 se encontraban 15 medicamentos en evaluación por el CHMP, de los **cuales 8 ya han obtenido opinión +, y uno (Aspaveli) ya está autorizado por la Comisión Europea.**
- ▶ C. De los **8 nuevos medicamentos con opinión positiva del CHMP** pendientes de decisión por la CE, **3 son sustancias químicas, y 5 son productos biológicos.** Y los **2 medicamentos con nuevas indicaciones con CHMP+** son sustancias químicas.
 - ❖ En el informe de junio 2021, habían **4 medicamentos con opinión positiva del CHMP, los cuales ya están aprobados por la CE y pendientes de comercialización en España.**
- ▶ D. De los **23 nuevos medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España** en diciembre 2021, **3 son terapias avanzadas, 13 son sustancias químicas y 7 biológicos.** Además, **4 de los 23 recibieron la aprobación de manera condicional, y 4 autorización en circunstancias excepcionales.**
 - De los **6 medicamentos huérfanos con nuevas indicaciones autorizadas por la CE** en este periodo, **4 son sustancias químicas y 2 biológicas.**
 - De los **3 medicamentos en estudio de financiación 2 son sustancias químicas y 1 es un producto biológico.**
 - ❖ En el informe de junio 2021, habían 26 medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España, de los **cuales 7 ya han obtenido financiación en España y 4 han obtenido la no financiación por resolución.**

En posteriores **informes semestrales** se incluirán los cambios experimentados por los medicamentos en cada categoría y así como los nuevos medicamentos que inicien evaluación por la EMA.



Referencias



Referencias

1. EMA. PRIME: priority medicines. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines> Consultado el: 20/12/2021
2. EMA. Medicines under evaluation. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-under-evaluation> Consultado el: /12/2021
3. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 20/12/2021
4. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 20/12/2021
5. Base de datos interna de medicamentos huérfanos de Omakase Consulting. Consultado el 20/12/2021
6. BIFIMED. Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 20/12/2021
7. Resoluciones CIMP. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm>. Consultado el 20/12/2021
8. EMA Nexviadyme. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/nexviadyme>
9. EMA Artesunate Amivas. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/artesunate-amivas>
10. EMA Voraxaze. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/voraxaze>
11. EMA Tavneos. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/tavneos>
12. EMA Lonapegsomatropin. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/lonapegsomatropin>
13. EMA Uplizna. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/uplizna>
14. EMA Skysona. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/skysona>
15. EMA Bylvay. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/bylvay>
16. EMA Imcivree. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/imcivree>
17. EMA Voxzogo. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/voxzogo>
18. EMA Aspaveli. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/aspaveli>



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



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

- ▶ En diciembre 2021, hay un total de **17 nuevos medicamentos** que estaban incluidos en el informe actualizado hasta junio de 2021 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
Mepsevii®	Vestronidase alfa	Biológico	MYR Ultragenyx Germany GmbH	Endocrinología	Muco- polisacaridosis VII	Financiado (Julio 2021)
Cablivi®	Caplacizumab	Biológico	Ablynx NV	Hematología y hemostasia	Púrpura trombocitopénica trombótica	Financiado (Julio 2021)
Lamzede®	Velmanase alfa	Biológico	Chiesi Farmaceutici S.p.A.	Endocrinología	Alfa manosidosis	No financiado por resolución (Julio 2021)
Verkazia®	ciclosporin	Químico	Santen Oy	Oftalmología	Queratoconjuntivitis vernal severa	No financiado por resolución (Julio 2021)
Trepulmix®	Treprostinil (sodium)	Químico	SciPharm Sàrl	Cardiología y neumología	Hipertensión pulmonar trombo- embólica crónica	Financiado (Agosto 2021)
Epidyolex®	Cannabidiol	Biológico	GW Pharma (International) B.V.	Neurología	Síndrome Lennox Gastaut epilepsia mioclónica	Financiado (Septiembre 2021)
Givlaari®	Givosiran (sodium)	Químico	Alnylam Netherlands B.V.	Tracto alimentario y metabolismo	Porfiria hepática aguda	Financiado (Septiembre 2021)
Raxone®	idebenone	Químico	Santhera Pharmaceutica ls	Oftalmología	Neuropatía óptica hereditaria de Leber	No financiado por resolución (Septiembre 2021)
Palynziq®	pegvaliase	Biológico	BioMarin International Limited	Tracto alimentario y metabolismo	Fenilcetonurias	No financiado por resolución (Octubre 2021)
Kaftrio®	elexacaftor / tezacaftor / ivacaftor	Químico	Vertex Pharmaceuti cals	Neumología	Fibrosis quística	Financiado (Diciembre 2021)
Zolgensma®	Onasemnogene abeparvovec	Terapia avanzada	AveXis EU Limited	Aparato músculo esquelético	Atrofia espinal muscular	Financiado (Diciembre 2021)

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 20/12/2021

2. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 20/12/2021

3. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 20/12/2021



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

Principio activo	Tipo de sustancia	Laboratorio	Área terapéutica	Indicación	Motivo y fecha de exclusión nuevo medicamento
Bomedemstat (grupo A)	Químico	Imago BioSciences	Hematología-Hemostasia	Tratamiento de la mielofibrosis	Medicamento oncológico
PB2452 (Bentracimab) (grupo A)	Biológico	PhaseBio Pharmaceuticals Inc	Cardiovascular	Reversión de los efectos antiplaquetarios del ticagrelor en pacientes con hemorragia grave incontrolada o potencialmente mortal o que requieren cirugía urgente o procedimiento invasivo	Con la información actualmente disponible se ha considerado un medicamento no huérfano
Efruxifermin (EFX) (grupo A)	Biológico	Akero Therapeutics	Gastroenterología-Hepatología	Esteatohepatitis no alcohólica	Con la información actualmente disponible se ha considerado un medicamento no huérfano
VLA1553 (grupo A)	Biológico	Valneva Austria GmbH	Vacunas	Profilaxis contra la enfermedad de Chikungunya	Con la información actualmente disponible se ha considerado un medicamento no huérfano
Brensocatib (grupo A)	Químico	Insmid Netherlands B.V.	Neumología-alergología	Tratamiento de las bronquiectasias por fibrosis no quística	Con la información actualmente disponible se ha considerado un medicamento no huérfano
VAC18193 (grupo A)	Biológico	Janssen Vaccines and Prevention B.V	Vacunas	Inmunización activa para la prevención de la enfermedad del tracto respiratorio inferior (LRTD) causada por RSV en adultos	Con la información actualmente disponible se ha considerado un medicamento no huérfano

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 20/12/2021

2. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 20/12/2021

3. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 20/12/2021