



Horizon Scanning

Medicamentos Huérfanos **NO** Oncológicos

*VI informe
Diciembre 2022*



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 cinco informes con los datos de estos medicamentos actualizados hasta junio de 2020, diciembre de 2020, junio de 2021, diciembre 2021 y junio 2022. A continuación se presenta el sexto informe Horizon Scanning, el cual incluye estos datos actualizados hasta diciembre de 2022.

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 de 2022 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 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 21 de diciembre 2022*
- ▶ **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 21 de diciembre 2022*
- ▶ **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 21 de diciembre 2022*
- ▶ **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 21 de diciembre 2022*

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



Metodología

Periodo temporal de búsqueda

El Orphar-SEFH Horizon Scanning incluye todos los medicamentos huérfanos en evaluación por la EMA hasta junio de 2022

Criterios de inclusión y exclusión de medicamentos

Se han incluido nuevos medicamentos huérfanos:

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

Se han incluido nuevas indicaciones de medicamentos huérfanos no oncológicos:

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

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

Se han excluido:

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



Metodología

Bases de datos empleadas

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

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

The screenshot displays the EMA website interface. At the top, the logo and name 'EUROPEAN MEDICINES AGENCY' are visible. Below the navigation bar, the 'Medicines' section is active. A search bar is present with a magnifying glass icon and a 'Search' button. Below the search bar, there are filters for 'Medicines under evaluation', 'National registers', and 'Medicines for use outside the EU'. The search results section shows '8859 results' and a 'Sort by' dropdown menu set to 'Medicine name (A-Z)'. The first result is 'Human medicine European public assessment report (EPAR): Abasaglar (previously Abasria)' with details on its authorization date and revision. The second result is 'Human medicine European public assessment report (EPAR): Abilify' with details on its authorization date and revision. The third result is 'Opinion/decision on a Paediatric investigation plan (PIP): Abilify, aripiprazole' with details on its decision type and PIP number. A magnifying glass icon is overlaid on the bottom right of the search results area.



Metodología

Bases de datos empleadas

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

Principio activo o asociación *

(+) Añadir Principio

Nombre o CN del medicamento

Situación de financiación

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

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

Tipo de medicamento

Desde Hasta

Desde Hasta

Genérico Biosimilar Huérfano Biológico

Buscar Limpiar

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

ESPAÑOL ENGLISH

QUÉ ES CIMA NOMENCLÁTOR GLOSARIO Iniciar sesión

ENCUENTRA TU MEDICAMENTO AQUÍ

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

Buscador para profesionales sanitarios >>

Medicamentos y gluten

Info. Prospecto

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



Metodología

Presentación de los resultados

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

- ▶ **A.** Medicamentos que están en el programa **PRIME** de la EMA
- ▶ **B.** Medicamentos en **evaluación por el CHMP**
- ▶ **C.** Nuevos medicamentos y nuevas indicaciones con **opinión positiva del CHMP pendientes de decisión por la CE**
- ▶ **D.** Nuevos medicamentos y nuevas indicaciones **autorizados por la CE pendientes de comercialización en España**

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

Los nuevos medicamentos identificados en cada categoría desde **junio de 2022 hasta diciembre de 2022**, 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

34

Medicamentos en el programa PRIME

B. Medicamentos en evaluación por el CHMP

14

Nuevos medicamentos en evaluación por el CHMP

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

3

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

1

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

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

35

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

4

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

5

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 2022

- En diciembre 2022 hay un total de **34 medicamentos** en el programa **PRIME de la EMA**, **19 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
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 hipohidrituca 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) (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 la beta globina humana (OTL-300)	Terapia avanzada	Parenteral	Orchard Therapeutics Ltd	septiembre-18	Hematología-Hemostasia	Beta talasemia dependiente de transfusiones
Vector viral recombinante adeno-asociado serotipo S3 que contiene un casete de expresión optimizado en codones que codifica la variante del factor IX de coagulación humano (FLT180a)	Terapia avanzada	Parenteral	Freeline Therapeutics	febrero-19	Hematología-Hemostasia	Hemofilia B



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en diciembre 2022

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
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
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)



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en diciembre 2022

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
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 (IDUALV) 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)
Iptacopan	Químico	Oral	Novartis Europharm Limited	septiembre-20	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Glomerulopatía C3 (nefropatía inducida por el complemento)
PF-06823859	Biológico	Parenteral	Pfizer Europe MA EEIG	octubre-20	Inmuno-reumatología trasplante	Tratamiento de la dermatomiositis
Apitegromab	Biológico	Parenteral	Yes Pharmaceutical Development Services GmbH	marzo-21	Neurología	Tratamiento de la atrofia muscular espinal
RP-L201	Terapia avanzada	Parenteral	Rocket Pharmaceuticals Inc	marzo-21	Inmuno-reumatología 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



Sección 1: Horizon Scanning

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA en diciembre 2022

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
CTI-1601	Biológico	Parenteral	YES Pharmaceutical Development Services GmbH	mayo-21	Neurología	Tratamiento de la Ataxia de Friedreich
MB-107	Terapia avanzada	Parenteral	Mustang Bio	julio-21	Inmuno-reumatología trasplante	Tratamiento de la inmunodeficiencia combinada grave ligada al cromosoma X (XSCID) en lactantes recién diagnosticados
Pabinafusp alfa (JR-141)	Biológico	Parenteral	JCR Pharmaceuticals Co	octubre-21	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Tratamiento de la mucopolisacaridosis tipo II (MPS II)
BCX9250	Químico	Oral	BioCryst Pharmaceuticals, Inc.	abril-22	Trastornos musculoesqueléticos y del tejido conectivo	Tratamiento de la fibrodisplasia osificante progresiva
DNL310	Biológico	Parenteral	Denali Therapeutics Inc	mayo-22	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Tratamiento de la mucopolisacaridosis tipo II
Pariglasgene brecaparvovec	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



Sección 1: Horizon Scanning

B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en diciembre 2022

- ▶ En diciembre 2022 hay un total de **14 medicamentos en evaluación por el CHMP**, 1 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
Lenadogene nolparvovec	Terapia avanzada	Oftalmológica	GenSight Biologics S.A.	noviembre-20	Oftalmología	Neuropatía Óptica Hereditaria de Leber
Palovarotene	Químico	Oral	Ipsen Pharma	mayo-21	Aparato músculo esquelético	Fibrodisplasia osificante progresiva
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
Pegunigalsidase alfa	Biológico	Parenteral	Chiesi Farmaceutici S.P.A.	febrero-22	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de Fabry
Sodium phenylbutyrate / ursodoxicoltaurine	Químico	Oral	Amylyx Pharmaceuticals EMEA B.V., Netherlands	febrero-22	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Esclerosis lateral amiotrófica
Polihexanide	Químico	Oftalmológica	S.I.F.I. Società Industria Farmaceutica Italiana S.p.A.	mayo-22	Oftalmología	Tratamiento de la queratitis por acanthamoeba
Leriglitzone (hydrochloride)	Químico	Oral	Minoryx Therapeutics S.L.	agosto-22	Neurología	Tratamiento de la ataxia de Friedreich
Pegzilarginase	Biológico	Parenteral	Immedica Pharma AB	agosto-22	Endocrinología, ginecología-fertilidad, metabolismo	Tratamiento de la hiperargininemia
Rezafungin (acetate)	Químico	Parenteral	Mundipharma GmbH	agosto-22	Enfermedades infecciosas	Tratamiento de la candidiasis invasiva
Sparsentan	Químico	Oral	Vifor France S.A.	agosto-22	Uro-nefrología	Tratamiento de la nefropatía IgA primaria
Vamorolone	Químico	Oral	Santhera Pharmaceuticals (Deutschland) GmbH	octubre-22	Otros medicamentos para los trastornos del sistema músculo-esquelético	Tratamiento de la distrofia muscular de Duchenne



Sección 1: Horizon Scanning

B. Medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP en diciembre 2022

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Palopegteriparatide	Químico	Parenteral	Ascendis Pharma Bone Diseases A/S	diciembre-22	Homeostasis del calcio	Hipoparatiroidismo
Tofersen	Químico	Parenteral	Biogen Netherlands B.V.	diciembre-22	Neurología	Tratamiento de la esclerosis lateral amiotrófica



Sección 1: Horizon Scanning

C. Medicamentos huérfanos con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en diciembre 2022

- ▶ En diciembre 2022 hay **3 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
Ebvallo ^{***}	Tabelecleucel (Linfocitos T citotóxicos alogénicos específicos del virus Epstein-Barr, ATA129)	Terapia avanzada	Parenteral	Atara Biotherapeutics Ireland Limited	octubre-22	Otros medicamentos terapéuticos	Virus Epstein-Barr asociado a enfermedad linfoproliferativa post-trasplante
Pombiliti [®]	Cipaglicosidase alfa	Biológico	Parenteral	Amicus Therapeutics Europe Limited	diciembre-22	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de almacenamiento de glucógeno tipo II (enfermedad de Pompe)
Hemgenix ^{®*}	Etranacogene dezaparvovec (AMT-060, AMT-061)	Terapia avanzada	Parenteral	CSL Behring GmbH	diciembre-22	Hematología-Hemostasia	Hemofilia B

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

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



Sección 1: Horizon Scanning

C. Nuevas indicaciones con opinión positiva del CHMP pendientes de decisión CE en diciembre 2022

- ▶ En diciembre 2022 hay **1** nueva indicación con opinión positiva CHMP que está **pendientes de decisión** por parte de la CE³.

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Opinión positiva CHMP	Área terapéutica	Indicación
Fintepla®	Fenfluramine hydrochloride	Químico	Oral	Zogenix ROI Limited	diciembre-22	antiepiléptico	Tratamiento del Síndrome de Lennox-Gastaut



Sección 1: Horizon Scanning

D. Medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en diciembre 2022

- En diciembre 2022, hay **35 nuevos medicamentos huérfanos** autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España, 5 de ellos con **aprobación condicional**, 6 con **autorización en circunstancias excepcionales** y **24** 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	Antimicrobianas	Tuberculosis en combinación con bedaquiline y linezolid
Hepcludex®*	bulevirtide (acetate)	Químico	Parenteral	Gilead Sciences Ireland UC	julio-20	Antivirales de uso sistémico	Virus de la hepatitis delta
Idefirix®*	imlifidase	Químico	Parenteral	Hansa Biopharma AB	agosto-20	Inmunosupresores	Para pacientes adultos altamente sensibilizados con trasplante renal
Arikayce liposomal®	amikacin (sulfate)	Químico	Inhalatoria	Insmed Netherlands B.V.	octubre-20	Antibacterianos de uso sistémico	Enfermedad pulmonar por micobacterias no tuberculosa causada por el complejo Mycobacterium avium (MAC)
Obiltoxaximab SFL®**	obiltoxaximab	Biológico	Parenteral	SFL Pharmaceuticals Deutschland GmbH	noviembre-20	Sueros inmunes e inmunoglobulinas	Ántrax por inhalación debido al Bacillus anthracis
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	Otros productos para el tracto alimentario y metabolismo	Leucodistrofia metacromática
Fintepla®	fenfluramine	Químico	Oral	Zogenix ROI Limited	diciembre-20	Antiepilépticos	Síndrome de Dravet

*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 2022

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Inrebic®	fedratinib dihydrochloride monohydrate	Químico	Oral	Bristol Myers Squibb Pharma EEIG	febrero-21	Agentes antineoplásicos	Esplenomegalia o síntomas relacionados con la mielofibrosis
Evryssi®	Risdiplam	Químico	Oral	Roche Registration GmbH	marzo-21	Otros medicamentos para los trastornos del sistema músculo-esquelético	Atrofia muscular espinal 5q
Sogroya®	Somapacitan	Biológico	Parenteral	Novo Nordisk A/S	marzo-21	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas y análogos	Deficiencia de hormona de crecimiento (AGHD)
Enspryng®	Satralizumab	Biológico	Parenteral	Roche Registration GmbH	junio-21	Inmunosupresores	Trastorno del espectro de la neuromielitis óptica
Bylvay®**	Odevixibat (A4250)	Químico	Oral	Albireo	julio-21	Terapia de la bilis y del hígado	Colestasia intrahepática progresiva familiar
Imcivree®	Setmelanotide	Químico	Parenteral	Rhythm Pharmaceuticals, Netherlands B.V.	julio-21	Preparaciones contra la obesidad, excepto productos dietéticos	Obesidad y control del hambre asociado a los trastornos de deficiencia de la vía del receptor MC4R
Voxzogo®	Vosoritide	Biológico	Parenteral	BioMarin International Limited	agosto-21	Fármacos para el tratamiento de enfermedades óseas	Acondroplasia
Artesunate Amivas®	Artesunate	Químico	Parenteral	Amivas Ireland Limited	noviembre-21	Antiprotozoals	Paludismo
Aspaveli®	Pegcetacoplan	Químico	Parenteral	Swedish Orphan Biovitrum AB	diciembre-21	Inmunosupresores	Hemoglobinuria Paroxística Nocturna
Tavneos®	Avacopan	Químico	Oral	Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma France	enero-22	Inmunosupresores	Granulomatosis con poliangeítis grave y activa o poliangeítis microscópica.

*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).

*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 2022

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Voraxaze ^{®**}	Glucarpidase	Biológico	Parenteral	SERB SAS	enero-22	Agente desintoxicante para el tratamiento antineoplásico	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
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	Global Blood Therapeutics Netherlands B. V.	febrero-22	Otros agentes hematológicos	Anemia de células falciformes
Ngenla [®]	Somatrogon	Biológico	Parenteral	Pfizer Europe MA EEIG	febrero-22	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas y análogos	Tratamiento de la deficiencia de hormona del crecimiento
Filsuvez [®]	Birch bark extract	Biológico	Tópica	Amryt Pharmaceuticals DAC	junio-22	Preparados para el tratamiento de heridas y úlceras	Epidermolísis bullosa distrófica y de unión
Xenpozyme [®]	Olipudase alfa	Biológico	Parenteral	Genzyme Europe 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)
Kinpeygo ^{®*}	Budesonide	Químico	Oral	Stada Arzneimittel AG	julio-22	Antidiarreicos, agentes antiinflamatorios y antiinfecciosos intestinales	Tratamiento de la nefropatía primaria por inmunoglobulina A (IgA)
Upstaza ^{®**}	Eladocagene exuparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	PTC Therapeutics International Limited	julio-22	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Deficiencia de Laminoácido decarboxilasa aromática (AADC)

*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 2022

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Zokinvy ^{®**}	Ionafarnib	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
Vyvgart [®]	Efgartigimod alfa	Biológico	Parenteral	Argenx	agosto-22	Inmunosupresores	Miastenia Grave Generalizada con anticuerpos antireceptor de acetilcolina (AChR) positivos.
Roctavian ^{®*}	Valoctocogene roxaparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	BioMarin International Limited	agosto-22	Antihemorrágicos	Tratamiento de la hemofilia A grave
Amvuttra [®]	Vutrisiran (sodium)	Químico	Parenteral	Alnylam Netherlands B.V.,	septiembre-22	Otros medicamentos para el sistema nervioso	Amiloidosis hereditaria mediada por transtretina con polineuropatía
Nulibry [®]	Fosdenopterin	Químico	Parenteral	Comharsa Life Sciences Limited	septiembre-22	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la deficiencia de molibdeno-cofactor tipo A
Livtency [®]	Maribavir	Químico	Oral	Takeda Pharmaceuticals International AG Ireland Branch	noviembre-22	Antivirales de uso sistémico	Tratamiento de la infección y/o enfermedad por citomegalovirus (CMV) refractaria
Pyrukynd [®]	Mitapivat (sulfate)	Químico	Oral	Agios Netherlands B.V.	noviembre-22	Otros medicamentos hematológicos	Tratamiento de la deficiencia de piruvato quinasa
Enjaymo [®]	Sutimlimab	Biológico	Parenteral	Genzyme Europe B.V.	noviembre-22	Inmunosupresores	anemia hemolítica en pacientes adultos con enfermedad de la aglutinina fría (EAC)
Mycapssa [®]	Octreotide	Químico	Oral	Amryt Pharmaceuticals DAC	septiembre-22	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas y análogos	Tratamiento para la acromegalia
Livmarli ^{®**}	Maralixibat (cloruro)	Químico	Oral	Mirum Pharmaceuticals International B.V.	diciembre-22	Terapia de la bilis y del hígado	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. Nuevas indicaciones autorizadas por la CE y actualmente no financiadas en España en diciembre 2022

- ▶ En diciembre 2022, hay 4 nuevas indicaciones de 4 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
Sirturo®	Bedaquiline fumarate	Químico	Oral	Janssen-Cilag International N.V.	Marzo 2014	E. Infecciosas	Tuberculosis multirresistente en pediátricos

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	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	Financiada en España
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 2022

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Crysvita®	Burosumab	Biológico	Parenteral	Kyowa Kirin Holdings B.V.	Febrero 2018	Hipofosfatemia	Hipofosfatemia relacionada con el factor de crecimiento de fibroblastos 23 (FGF23)

Indicación	Opinión + CHMP	Aut. CE	Financiada en España
Crysvita para el tratamiento de la hipofosfatemia relacionada con el FGF23 en la osteomalacia inducida por tumores (TIO) asociada a tumores mesenquimales fosfatúricos que no pueden ser resecaados o localizados de forma curativa en niños y adolescentes de 1 a 17 años y en adultos	Junio 2022	Julio 2022	No

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Imcivree®	Setmelanotida	Químico	Parenteral	Rhythm Pharmaceuticals, Netherlands B.V.	Julio 2021	Preparaciones contra la obesidad, excepto productos dietéticos	Obesidad y control del hambre asociado con el síndrome BBS

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	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 por parte de la CIMP en diciembre 2022

- ▶ En diciembre 2022, hay **5 nuevos medicamentos huérfanos** autorizado 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
Bylvay ^{***}	Odevixibat (A4250)	Químico	Oral	Albireo	julio-21	Negativa Octubre 2022	Terapia de la bilis y del hígado	Colestasia intrahepática progresiva familiar
Hepcludex ^{**}	bulevirtide (acetate)	Químico	Parenteral	Gilead Sciences Ireland UC	julio-20	Negativa Noviembre 2022	Antivirales de uso sistémico	Virus de la hepatitis delta
Evrysdi [®]	Risdiplam	Químico	Oral	Roche Registration GmbH	marzo-21	Positiva Noviembre 2022	Otros medicamentos para los trastornos del sistema músculo-esquelético	Atrofia muscular espinal 5q
Enspryng [®]	Satralizumab	Biológico	Parenteral	Roche Registration GmbH	junio-21	Negativa Noviembre 2022	Inmunosupresores	Trastorno del espectro de la neuromielitis óptica
Voxzogo [®]	Vosoritide	Biológico	Parenteral	BioMarin International Limited	agosto-21	Positiva Noviembre 2022	Fármacos para el tratamiento de enfermedades óseas	Acondroplasia

*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 21/12/2022

BIFIMED. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 21/12/2022



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 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Ebvallo® (tabelecleucel) ⁸	<p>Indicación: Ebvallo está indicado como monoterapia para el tratamiento de pacientes adultos y pediátricos a partir de 2 años de edad con enfermedad linfoproliferativa postrasplante positiva al virus de Epstein-Barr (ELPT VEB+) en recaída o refractaria que hayan recibido al menos un tratamiento previo. En el caso de los pacientes trasplantados de órganos sólidos, el tratamiento previo incluye la quimioterapia, a menos que ésta no sea apropiada.</p> <p>Eficacia: El beneficio de Ebvallo es su capacidad para provocar una respuesta en pacientes con EBV+PTLD recidivante y refractario.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son pirexia, diarrea, fatiga, náuseas, anemia, disminución del apetito e hiponatremia.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/ebvallo

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Pombiliti® (cipaglicosidase alfa) ⁹	<p>Indicación: Pombiliti (cipaglicosidasa alfa) es una terapia de sustitución enzimática a largo plazo que se utiliza en combinación con el estabilizador enzimático miglustat para el tratamiento de adultos con enfermedad de Pompe de aparición tardía (deficiencia de α-glucosidasa ácida [GAA]).</p> <p>Eficacia: El beneficio de Pombiliti es su capacidad para mejorar la función motora (distancia de seis minutos a pie) de los pacientes con enfermedad de Pompe de aparición tardía cuando se utiliza en combinación con miglustat.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son las reacciones asociadas a la infusión, como escalofríos, mareos, urticaria, sofocos, somnolencia, anafilaxia, molestias torácicas, tos, hinchazón en el lugar de la infusión y dolor.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/pombiliti



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 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Hemgenix® (etranacogene dezaparvovec) ¹⁰	<p>Indicación: Hemgenix está indicado para el tratamiento de la Hemofilia B grave y moderadamente grave (deficiencia congénita del Factor IX) en pacientes adultos sin antecedentes de inhibidores del Factor IX.</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Hemgenix son la inducción de niveles plasmáticos relevantes de factor IX y la reducción de los episodios hemorrágicos. En el ensayo clínico presentado, la mayoría de los pacientes tratados con Hemgenix presentaron un aumento significativo de los niveles de actividad del factor IX y experimentaron menos hemorragias que antes del tratamiento con la profilaxis estándar con FIX. La mayoría de los pacientes ya no necesitaron terapia de sustitución del factor IX hasta dos años después de la administración.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son dolor de cabeza, alteraciones hepáticas (aumento de ALT y AST) y gripe.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/hemgenix



**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 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Kinpeygo® (budesonida) ¹¹	<p>Indicación: Kinpeygo está indicado para el tratamiento de la nefropatía por inmunoglobulina A (IgA) primaria (NlgA) en adultos con riesgo de progresión rápida de la enfermedad y un cociente proteínas/creatinina en orina (PCR) $\geq 1,5$ g/gramo.</p> <p>Eficacia: El beneficio de Kinpeygo es su capacidad para reducir eficazmente la proteinuria.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son el aumento de la tensión arterial, la hinchazón de brazos o piernas (como la de tobillos), rasgos cushingoides (como cara redondeada, aumento del vello corporal, aumento de peso y acné) e indigestión.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/kinpeygo

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Upstaza® (eladocagene exuparvovec) ¹²	<p>Indicación: Upstaza está indicado para el tratamiento de pacientes de 18 meses o más con un diagnóstico clínico, molecular y genético confirmado de deficiencia de L-aminoácidos aromáticos descarboxilasa (AADC) con un fenotipo grave.</p> <p>Eficacia: El beneficio de Upstaza es la mejora de la función motora.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son el insomnio inicial, la irritabilidad y la discinesia.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/upstaza



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 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Zokinvy® (lonafarnib) ¹³	<p>Indicación: Zokinvy está indicado para el tratamiento de pacientes a partir de los 12 meses de edad con un diagnóstico confirmado genéticamente del síndrome de progeria de Hutchinson-Gilford o de una laminopatía progeroide deficiente en el procesamiento, asociada a una mutación heterocigota de LMNA con acumulación de proteínas similares a la progerina o a una mutación homocigota o heterocigota compuesta de ZMPSTE24.</p> <p>Eficacia: El beneficio de Zokinvy es que aumenta la esperanza de vida de los pacientes en una comparación histórica con los pacientes no tratados, como se observó en un análisis conjunto de 62 pacientes de dos cohortes de un solo brazo.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son los trastornos gastrointestinales, como vómitos y diarrea, especialmente durante los primeros 4 meses de tratamiento, y el aumento de las enzimas hepáticas.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/zokinvy

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Vyvgart® (efgartigimod alfa) ¹⁴	<p>Indicación: Vyvgart está indicado como complemento de la terapia estándar para el tratamiento de pacientes adultos con miastenia grave generalizada (gMG) que presentan anticuerpos contra el receptor de acetilcolina (AChR).</p> <p>Eficacia: Entre los beneficios de Vyvgart se encuentran la disminución de la discapacidad funcional, según la valoración de los pacientes, y la menor gravedad de la enfermedad, evaluada por médicos cualificados, en comparación con el placebo en los ensayos clínicos.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son las infecciones del tracto respiratorio superior y las infecciones del tracto urinario.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/vyvgart



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 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Roctavian® (valoctocogene roxaparvovec) ¹⁵	<p>Indicación: Roctavian está indicado para el tratamiento de la hemofilia A grave (deficiencia congénita de factor VIII) en pacientes adultos sin antecedentes de inhibidores del factor VIII y sin anticuerpos detectables contra el virus asociado al adeno serotipo 5 (AAV5).</p> <p>Eficacia: El beneficio de Roctavian es la inducción de niveles plasmáticos relevantes de FVIII. En el ensayo clínico presentado, la terapia aumentó significativamente los niveles de actividad del factor VIII en la mayoría de los pacientes y la mayoría de ellos ya no necesitaron terapia de sustitución del factor VIII dos años después de la administración.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son anomalías en el laboratorio hepático (aumento de ALT y AST), náuseas y dolor de cabeza.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/roctavian

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Amvuttra® (vutrisiran) ¹⁶	<p>Indicación: Tratamiento de la amiloidosis hereditaria mediada por transtiretina (amiloidosis hATTR) en pacientes adultos con polineuropatía en estadio 1 o 2.</p> <p>Eficacia: Amvuttra ha demostrado beneficios clínicamente relevantes tanto para los síntomas neurológicos de la amiloidosis hATTR como para la calidad de vida de los pacientes.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son dolor en las extremidades y artralgia.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/amvuttra



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 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Nulibry® (fosdenopterin) ¹⁷	<p>Indicación: Nulibry® está indicado para el tratamiento de pacientes con deficiencia del cofactor molibdeno (MoCD) Tipo A.</p> <p>Eficacia: El principal beneficio de Nulibry es que aumenta la supervivencia global, como se observó en un análisis conjunto de 15 pacientes en una comparación histórica con pacientes no tratados. Otros beneficios son la mejora de la alimentación sin ayuda, el crecimiento, el desarrollo motor y cognitivo, el control de las convulsiones y la reducción de la concentración urinaria de S-sulfocisteína.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son los relacionados con la infusión.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/nulibry

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Livtency® (maribavir) ¹⁸	<p>Indicación: Livtency está indicado para el tratamiento de la infección y/o enfermedad por citomegalovirus (CMV) refractaria (con o sin resistencia) a una o más terapias previas, incluyendo ganciclovir, valganciclovir, cidofovir o foscarnet en pacientes adultos sometidos a un trasplante de células madre hematopoyéticas (TCMH) o a un trasplante de órgano sólido (TOS).</p> <p>Eficacia: El principal beneficio de Livtency es su capacidad para lograr la eliminación de la viremia por CMV en la semana 8 sin necesidad de tratamiento alternativo contra el CMV ni de tratamiento de rescate en una mayor proporción de pacientes en comparación con el tratamiento contra el CMV asignado por el investigador, como se demostró en un estudio de fase 3, aleatorizado, abierto, de superioridad activa controlada en receptores de trasplantes adultos con infección por CMV refractaria.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios son la disgeusia y las molestias abdominales.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/livtency



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 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Pyrukynd® (mitapivat) ¹⁹	<p>Indicación: Pyrukynd está indicado para el tratamiento de la deficiencia de piruvato quinasa (deficiencia PK) en adultos adultos.</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Pyrukynd son un aumento de la concentración de hemoglobina, como se observó en un estudio aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo y multicéntrico en pacientes adultos que no recibían transfusiones con regularidad, y una reducción del número de transfusiones necesarias, como se observó en un estudio de fase 3, abierto y de un solo brazo en pacientes adultos que recibían transfusiones con regularidad.</p> <p>Seguridad: El efecto secundario más frecuente es el insomnio.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/pyrukynd

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Enjaymo® (sutimlimab) ²⁰	<p>Indicación: Enjaymo está indicado para el tratamiento de la anemia hemolítica en pacientes adultos con enfermedad de aglutininas frías (EAG).</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Enjaymo consisten en un aumento del nivel de hemoglobina con respecto al valor basal de al menos 1,5 g/dl en el momento de la evaluación del tratamiento, en ausencia de transfusiones de sangre u otros tratamientos médicos, según se observó en un estudio de fase 3, aleatorizado, doble ciego y controlado con placebo en 42 pacientes y en un estudio de fase 3, abierto y de brazo único en 24 pacientes.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son cefalea, hipertensión, infección del tracto urinario, infección del tracto respiratorio, nasofaringitis, náuseas, dolor abdominal, reacciones relacionadas con la infusión y acrocianosis.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/enjaymo



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 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Mycapssa® (octreotide) ²¹	<p>Indicación: Mycapssa está indicado para el tratamiento de mantenimiento en pacientes adultos con acromegalia que hayan respondido y tolerado el tratamiento con análogos de la somatostatina.</p> <p>Eficacia: El beneficio de Mycapssa es su capacidad para mantener el control bioquímico de la secreción hormonal patológicamente aumentada en pacientes con acromegalia después de cambiar de una forma inyectable de octreotida.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son dolor abdominal, diarrea y náuseas.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/mycapssa

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Livmarli® (maralixibat) ²²	<p>Indicación: Livmarli está indicado para el tratamiento del prurito colestásico en pacientes con síndrome de Alagille (ALGS) a partir de los 2 meses de edad.</p> <p>Eficacia: El beneficio de Livmarli es su capacidad para reducir el prurito relacionado con los ácidos biliares séricos en pacientes con ALGS.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son diarrea y dolor abdominal.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/livmarli



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 2022 según cuatro categorías:**

- ▶ A. La EMA está evaluando a través de su programa **PRIME un total de 34 medicamentos huérfanos** no oncológicos, de los cuales **19 son terapias avanzadas, 8 productos biológicos y 7 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 8 (23,5%)** medicamentos seguida de las áreas de **Neurología** con un **total de 6 (17,6%)** medicamentos y **Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo** con un **total de 6 (17,6%)**.
 - ❖ En este informe, se encuentran tres medicamentos más en el programa PRIME. Sin embargo, **a un medicamento se le ha retirado la elegibilidad del PRIME a petición de la compañía.**
- ▶ B. De los **14 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP**, sólo **1 es una terapia avanzada, 11 son sustancias químicas y 2 son productos biológicos.**
 - ❖ En el informe de junio 2022 se encontraban 16 medicamentos en evaluación por el CHMP, de los **cuales 3 ya han obtenido opinión + y 6 ya están autorizado por la Comisión Europea.**
- ▶ C. De los **3 nuevos medicamentos con opinión positiva del CHMP** pendientes de decisión por la CE, **2 son terapias avanzadas y 1 es una sustancia biológica.** El medicamento con **nueva indicación con CHMP+** es un **producto químico.**
 - ❖ En el informe de junio 2022, 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 **35 nuevos medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España** en diciembre 2022, **solamente 3 son terapias avanzadas, 11 son sustancias biológicas y 21 químicas.** Además, **5 de los 35 recibieron la aprobación de manera condicional, y 6 autorización en circunstancias excepcionales.**
 - De los **4 medicamentos huérfanos con nuevas indicaciones autorizadas por la CE pendientes de comercialización en España** en diciembre 2022, **3 son sustancias químicas y 1 biológica.**
 - De los **5 medicamentos en estudio de financiación con propuesta de resolución de precio por la CIMP**, **3 tienen una resolución negativa y 2 resolución positiva.**
 - ❖ En el informe de junio 2022, habían 28 medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España, de los **cuales 2 ya han obtenido financiación en España y 2 no han sido financiados. A 1 medicamento se le ha retirado la designación huérfana.**



Referencias



Referencias

1. EMA. PRIME: priority medicines. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines> Consultado el: 21/12/2022
2. EMA. Medicines under evaluation. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-under-evaluation> Consultado el: 21/12/2022
3. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 21/12/2022
4. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 21/12/2022
5. Base de datos interna de medicamentos huérfanos de Omakase Consulting. Consultado el 21/12/2022
6. BIFIMED. Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 21/12/2022
7. Resoluciones CIMP. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm>. Consultado el 21/12/2022
8. EMA Ebvallo. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/upstaza>
9. EMA Pombiliti. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/pombiliti>
10. EMA Hemgenix. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/hemgenix>
11. EMA Kinpeygo. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/kinpeygo>
12. EMA Upstaza. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/upstaza>
13. EMA Zokinvy. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/zokinvy>
14. EMA Vyvgart. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/vyvgart>
15. EMA Roctavian. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/roctavian>
16. EMA Amvuttra. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/amvuttra>
17. EMA Nulibry. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/nulibry>
18. EMA Livtency. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/livtency>
19. EMA Pyrukynd. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/pyrukynd>
20. EMA Enjaymo. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/enjaymo>
21. EMA Livmarli. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/livmarli>



**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 2022, hay un total de **7 nuevos medicamentos** que estaban incluidos en el informe actualizado hasta junio de 2022 y han sido **excluidos en este informe**, por los motivos que se exponen a continuación:

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Laboratorio	Área terapéutica	Indicación	Motivo y fecha de exclusión nuevo medicamento
Oxlumo®	lumasiran	Parenteral	Alnylam Netherlands B.V.	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Hiperoxaluria tipo I	Financiado (Julio 2022)
Brineura®	Cerliponase alfa	Parenteral	BioMarin International Limited	Neurología	Lipofuscinosis ceroide neuronal tipo 2	No financiado (Septiembre 2022)
Reblozyl®	luspatercept	Parenteral	Bristol Myers Squibb Pharma EEIG	Otros preparados antianémicos	Anemia dependiente de transfusiones asociada con síndromes mielodisplásicos o beta-talasemia	No financiado (Diciembre 2022)
Adakveo®*	crizanlizumab	Parenteral	Novartis Europharm Limited	Otros agentes hematológicos	Prevención de crisis vasooclusivas recurrentes (COV) en pacientes con anemia de células falciformes	Financiado (Diciembre 2022)
-	ARU-1801	Parenteral	Aruvant	Hematología-Hemostasia	Anemia de células falciformes	Retirada la elegibilidad del PRIME por petición del MAH
Nexviadyme®	Avalglucosidase alfa	Parenteral	Genzyme Europe B.V.	Tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de almacenamiento de glucógeno tipo II (enfermedad de Pompe)	Retirada de la designación huérfana

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 21/12/2022

2. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 21/12/2022

3. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 21/12/2022



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

- ▶ En diciembre 2022, hay un total de **3 nuevas indicaciones de medicamentos** que estaban incluidas en el informe actualizado hasta diciembre 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
Soliris®	Eculizumab	Biológico	Alexion Europe SAS	Oftalmología	Trastorno del espectro de neuromielitis óptica (TENMO) en pacientes con anticuerpos positivos frente a acuaporina-4 (AQP4) con curso recidivante de la enfermedad	No financiada
Kalydeco®	Ivacaftor	Químico	Vertex Pharmaceuticals	Neumología	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.	Financiada
Kalydeco®	Ivacaftor	Químico	Vertex Pharmaceuticals	Neumología	Indicado en combinación con ivacaftor /tezacaftor /elexacaftor 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	Financiada
Kaftrio®	ivacaftor, tezacaftor, elexacaftor	Químico	Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited	Sistema respiratorio	Kaftrio Indicado en combinación con ivacaftor/tezacaftor/elexacaftor 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	Financiada

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 21/12/2022
2. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 21/12/2022
3. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscls.gov.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 21/12/2022