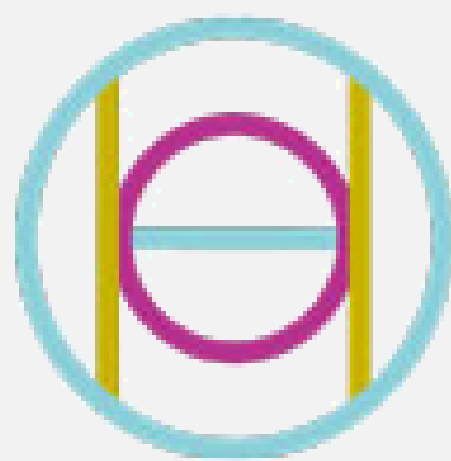


Horizon Scanning

Medicamentos Huérfanos **NO** Oncológicos

*V informe
Junio 2022*



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 cuatro informes con los datos de estos medicamentos actualizados hasta junio de 2020, hasta diciembre de 2020, hasta junio de 2021 y hasta diciembre 2021. A continuación se presenta el quinto informe Horizon Scanning, el cual incluye estos datos actualizados hasta junio 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 junio 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 **decisiones y profesionales sanitarios** a nivel nacional y regional para permitir **anticiparse a la innovación inmediata** que pueda introducirse en el Sistema Nacional de Salud a corto y medio plazo.



Metodología



Metodología

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

A. Medicamentos en el programa PRIME de la EMA



B. Medicamentos en evaluación por el CHMP



C. Opinión positiva del CHMP



D. Autorización CE



Autorización en España
(AEMPS)



**Comercialización en
España**



Metodología

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 30 junio 2022*
- ▶ **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 30 junio 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 de la CE (*EC pending decision*). *Última actualización 30 junio 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 30 junio 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 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 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 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.

The screenshot displays the EMA website interface. At the top, the logo and name 'EUROPEAN MEDICINES AGENCY' are visible. Below the navigation bar, the 'Medicines' section is active. A search bar is present with a magnifying glass icon and a 'Search' button. The search results show 8859 results, sorted by 'Medicine name (A-Z)'. The first result is 'Human medicine European public assessment report (EPAR): Abasaglar (previously Abasria)'. The second result is 'Human medicine European public assessment report (EPAR): Abilify'. The third result is 'Opinion/decision on a Paediatric investigation plan (PIP): Abilify, aripiprazole'. A magnifying glass icon is overlaid on the search results.



Metodología

Bases de datos empleadas

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

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

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

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



Metodología

Presentación de los resultados

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

- ▶ **A.** Medicamentos 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 diciembre de 2021 hasta junio 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 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

16

Nuevos medicamentos en evaluación por el CHMP

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

4

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

1

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

28

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

5

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

3

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



Sección 1: Horizon Scanning



Sección 1: Horizon Scanning

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

- En junio 2022 hay un total de **32 medicamentos** en el programa **PRIME de la EMA**, **18 de ellos** están clasificados como **productos de terapia avanzada (ATMP)**¹.

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
Seladelpar (MBX-8025)	Químico	Oral	Cymabay Ireland Limited	Octubre-16	Gastroenterología-Hepatología	Colangitis primaria biliar
Fidanacogene elaparvec (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)	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
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 junio 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 junio 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 (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)
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



Sección 1: Horizon Scanning

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

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Concesión PRIME	Área terapéutica	Indicación
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)
BCX9250	Químico	Oral	BioCryst Pharmaceuticals, Inc.	abril-22	Trastornos musculoesqueléticos y del tejido conectivo	Tratamiento de la fibrodisplasia osificante progresiva
DNL310	Biológico	Parenteral	Denali Therapeutics Inc	mayo-22	Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo	Tratamiento de la mucopolisacaridosis tipo II



Sección 1: Horizon Scanning

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

- ▶ En junio 2022 hay un total de **16 medicamentos en evaluación por el CHMP**, 3 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
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
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
Maralixibat (choride)*	Químico	Oral	Mirum Pharmaceuticals International B.V.	septiembre-21	Terapia biliar y hepática	Tratamiento de la atresia biliar
Vutrisiran (sodium)	Químico	Parenteral	Alynlam 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



Sección 1: Horizon Scanning

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

Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de Administración	Laboratorio	Inicio de evaluación CHMP	Área terapéutica	Indicación
Cipaglucosidase alfa	Biológico	Parenteral	Amicus Therapeutics Europe Limited	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
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
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
Etranacogene dezaparvovec (AMT-060, AMT-061)	Terapia avanzada	Parenteral	CSL Behring GmbH	marzo-22	Hematología-Hemostasia	Hemofilia B severa
Polihexanide	Químico	Oftalmológica	S.I.F.I. Società Industria Farmaceutica Italiana S.p.A.	mayo-22	Oftalmología	Tratamiento de la queratitis por acanthamoeba

*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 junio 2022

- En junio 2022 hay 4 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
Upstaza ^{®**}	Eladocagene exuparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	PTC Therapeutics	mayo-22	Neurología	Deficiencia de Laminoácido decarboxilasa aromática (AADC)
Zokinvy ^{®**}	Lonafarnib	Químico	Oral	Eigerbio Europe Limited	mayo-22	Enfermedades infecciosas	Virus hepatitis delta
Roctavian ^{®*}	Valoctocogene roxaparvovec	Terapia avanzada	Parenteral	BioMarin International Limited	junio-22	Antihemorrágicos	Tratamiento de la hemofilia A grave
Vyvgart [®]	Efgartigimod alfa	Biológico	Parenteral	Argenx B.V.B.A.	junio-22	Inmunosupresores	Tratamiento de la trombocitopenia inmune y de la miastenia grave

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

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



Sección 1: Horizon Scanning

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

- ▶ En junio 2022 hay **1 nueva indicación con opinión positiva CHMP** que está **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
Crysvita®*	Burosumab	Biológico	Parenteral	Kyowa Kirin Holdings B.V.	junio-22	Hipofosfatemia	Tratamiento de la hipofosfatemia relacionada con el factor de crecimiento de fibroblastos 23 (FGF23).

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

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



Sección 1: Horizon Scanning

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

- ▶ En junio 2022, hay **28 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 **20** 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-17	Neurología	Lipofuscinosis ceroide neuronal tipo 2
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
Idefirix ^{®*}	imlifidase	Químico	Parenteral	Hansa Biopharma AB	agosto-20	Nefrología	Enfermedad de la membrana basal antiglomerular
Arikayce liposomal [®]	amikacin (sulfate)	Químico	Inhalatoria	Insmad 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

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

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



Sección 1: Horizon Scanning

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

Medicamento	Principio Activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
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
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

*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 junio 2022

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
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
Voxzogo®	Vosoritide	Biológico	Parenteral	BioMarin International Limited	agosto-21	Otras	Acondroplasia
Artesunate Amivas®	Artesunate	Químico	Parenteral	Amivas Ireland Limited	noviembre-21	Antiprotozoals	Paludismo
Aspaveli®	Pegcetacoplan	Químico	Parenteral	Swedish Orphan Biovitrum AB	diciembre-21	Hematología-hemostasia	Hemoglobinuria Paroxística Nocturna
Tavneos®	Avacopan	Químico	Oral	Vifor Fresenius Medical Care Renal Pharma France	enero-22	Inmunosupresores	Tratamiento de pacientes adultos con granulomatosis con poliangeítis grave y activa o poliangeítis microscópica.
Voraxaze®**	Glucarpidase	Biológico	Parenteral	SERB SAS	enero-22	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
Lonapegsomatropin Ascendis Pharma®	Lonapegsomatropin	Biológico	Parenteral	Ascendis Pharma Endocrinology Division A/S	enero-22	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas	Tratamiento de la deficiencia de hormona del crecimiento

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

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



Sección 1: Horizon Scanning

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

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Oxbryta®	Voxelotor (GBT440)	Químico	Oral	Global Blood Therapeutics Netherlands B. V.	febrero-22	Hematología-Hemostasia	Anemia de células falciformes
Ngenla®	Somatrogon	Biológico	Parenteral	Pfizer Europe MA EEIG	febrero-22	Hormonas hipofisarias e hipotalámicas	Tratamiento de pacientes pediátricos con deficiencia de la hormona de crecimiento (DHC)
Filsuvez®	Birch bark extract	Biológico	Tópica	Amryt Pharmaceuticals DAC	junio-22	Medicamento para heridas y úlceras	Tratamiento de la epidermólisis ampollosa
Nexviadyme®	Avalglucosidase alfa	Biológico	Parenteral	Genzyme Europe B.V.	junio-22	Tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de almacenamiento de glucógeno tipo II (enfermedad de Pompe)
Xenpozyme®	Olipudase alfa	Biológico	Parenteral	Genzyme Europe B.V.	junio-22	Otros productos del tracto alimentario y del metabolismo	Tratamiento de la enfermedad de Niemann-Pick

*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 junio 2022

- ▶ En junio 2022, hay 6 nuevas indicaciones de 5 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
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	Noviembre 2021	Enero 2022	No



Sección 1: Horizon Scanning

D. Nuevas indicaciones autorizadas por la CE y actualmente no financiadas en España en junio 2022

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
Delyba®	Delamanid	Químico	Oral	Otsuka Novel Products GmbH	Abril 2014	E. Infecciosas	Tuberculosis pulmonar multirresistente

Indicación	Opinión + CHMP	Aut. CE	Comercializada en España
Delyba como parte de un régimen de combinación adecuado para la tuberculosis pulmonar multirresistente a medicamentos (TB-MR) en pacientes adultos, adolescentes, niños y bebés con un peso corporal de al menos 10 kg cuando no es posible establecer un régimen de tratamiento eficaz por razones de resistencia o tolerabilidad	Julio 2021	Septiembre 2021	No

Medicamento	Principio activo	Tipo de sustancia	Vía de administración	Laboratorio	Aut. CE	Área terapéutica	Indicación
Kaftrio®	ivacaftor, tezacaftor, elexacaftor	Químico	Oral	Vertex Pharmaceuticals (Ireland) Limited	Agosto 2020	Sistema respiratorio	Fibrosis quística

Indicación	Opinión + CHMP	Aut. CE	Comercializada en España
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	Noviembre 2021	Enero 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 negativa en junio 2022

- ▶ En junio 2022, hay **3 nuevos medicamentos huérfanos** 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
Brineura ^{®**}	Cerliponase alfa	Biológico	Parenteral	BioMarin International Limited	Mayo 2017	Abril 2022	Neurología	Lipofuscinosis ceroide neuronal tipo 2
Reblozyl [®]	luspatercept	Biológico	Parenteral	Bristol Myers Squibb Pharma EEIG	junio-20	Junio 2022	Hematología-Hemostasia	Anemia dependiente de transfusiones asociada con síndromes mielodisplásicos o beta-talasemia
Adakveo ^{®*}	crizanlizumab	Biológico	Parenteral	Novartis Europharm Limited	octubre-20	Junio 2022	Hematología-Hemostasia	Prevención de crisis vasooclusivas recurrentes (COV) en pacientes con anemia de células falciformes

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

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

CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 30/06/2022

BIFIMED. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 30/06/2022



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 junio 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Upstaza® (Eladocagene exuparvovec) ⁸	<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/summaries-opinion/upstaza

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Zokinvy® (Lonafarnib) ⁹	<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/summaries-opinion/zokinvy



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 junio 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Roctavian® (Valoctocogene roxaparvovec) ¹⁰	<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/summaries-opinion/roctavian

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Vyvgart® (Efgartigimod alfa) ¹¹	<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/summaries-opinion/vygart



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



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

D. Nuevos medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Tavneos® (avacopan) ¹²	<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/EPAR/tavneos

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Voraxaze® (glucarpidase) ¹³	<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/EPAR/voraxaze



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

D. Nuevos medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Lonapegsomatropin Ascendis Pharma® (lonapegsomatropin) ¹⁴	<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 (AHV), 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/EPAR/lonapegsomatropin

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Oxbryta® (voxelotor) ¹⁵	<p>Indicación: Oxbryta está indicado para el tratamiento de la anemia hemolítica debida a la enfermedad de células falciformes (SCD) en adultos y pacientes pediátricos de 12 años o más, como monoterapia o en combinación con hidroxycarbamida</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Oxbryta son un aumento de la hemoglobina y una disminución de los marcadores de laboratorio indicativos de hemólisis.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes fueron dolor de cabeza, diarrea y dolor abdominal.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/oxbryta



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

D. Nuevos medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Ngenla® (Somatrogon) ¹⁶	<p>Indicación: Ngenla está indicado para el tratamiento de niños y adolescentes a partir de los 3 años de edad con alteraciones del crecimiento debidas a una secreción insuficiente de la hormona del crecimiento.</p> <p>Eficacia: Ngenla demostró mejoras de los parámetros relacionados con el crecimiento, como la velocidad de la estatura anualizada y la puntuación de la desviación estándar de la estatura, sin una aceleración excesiva de la maduración ósea, en pacientes pediátricos con GHD que no habían recibido la hormona del crecimiento. Ngenla también redujo la carga del tratamiento para los pacientes y los cuidadores.</p> <p>Seguridad: Estos efectos fueron clínicamente relevantes y también se demostró la eficacia a largo plazo. Los efectos secundarios más frecuentes fueron reacciones en el lugar de la inyección, cefalea y pirexia.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ngenla

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Filsuvez® (Birch bark extract) ¹⁷	<p>Indicación: Tratamiento de las heridas de espesor parcial asociadas a la epidermólisis bullosa distrófica y de la unión (EB) en pacientes de 6 meses o más.</p> <p>Eficacia: El beneficio de Filsuvez es su capacidad para promover la curación de las heridas de espesor parcial de la EB.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más frecuentes son las complicaciones de las heridas, las reacciones en el lugar de aplicación, las infecciones de las heridas, el prurito y las reacciones de hipersensibilidad.</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/filsuvez



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

D. Nuevos medicamentos huérfanos autorizados por la CE y pendientes de comercialización en España en junio 2022

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Nexviadyme® (Avalglucosidase alfa) ¹⁸	<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/EPAR/nexviadyme

Medicamento	Descripción de resultados según EMA
Xenpozyme® (Olipudase alfa) ¹⁹	<p>Indicación: Xenpozyme está indicado como terapia de sustitución enzimática para el tratamiento de las manifestaciones no relacionadas con el Sistema Nervioso Central (SNC) de la Deficiencia de Esfingomielinasa Ácida (ASMD) en pacientes pediátricos y adultos con el tipo A/B o el tipo B.</p> <p>Eficacia: Los beneficios de Xenpozyme son su capacidad de mejorar el porcentaje de la DLco (capacidad de difusión del pulmón para el monóxido de carbono) predicha y de reducir el volumen del bazo, como se observó en un estudio multicéntrico de fase II/III, aleatorizado, doble ciego, controlado con placebo y de dosis repetidas, en pacientes adultos con ASMD tipos A/B y B.</p> <p>Seguridad: Los efectos secundarios más comunes son cefalea, pirexia, urticaria, náuseas, vómitos, dolor abdominal, mialgia, prurito y aumento de la proteína C reactiva..</p>
Disponible en:	https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/xenpozyme



Conclusiones



Conclusiones

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

Se han identificado todos los medicamentos huérfanos no oncológicos en evaluación por procedimiento centralizado en la EMA **hasta junio 2022 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 **18 son terapias avanzadas, 8 productos biológicos y 6 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 9 (28,1%) medicamentos** seguida de las áreas de Neurología con un total de 4 (12,5%) medicamentos y Endocrinología-Ginecología-Fertilidad-Metabolismo con un total de 4 (12,5%).
 - ❖ En este informe, se encuentran dos medicamentos más en el programa PRIME. Sin embargo, **un medicamento PRIME del informe de diciembre 2021 ha pasado a evaluación por el CHMP, y a otro medicamento se le ha retirado la elegibilidad del PRIME por decisión de la compañía.**
- ▶ B. De los **16 medicamentos huérfanos en evaluación por el CHMP, sólo 3 son terapias avanzadas, 10 son sustancias químicas y 3 son productos biológicos.**
 - ❖ En el informe de diciembre 2021 se encontraban 20 medicamentos en evaluación por el CHMP, de los cuales **4 ya han obtenido opinión + y dos (Filsuvez® y Xenpozyme®) ya están autorizado por la Comisión Europea.**
- ▶ C. De los **4 nuevos medicamentos con opinión positiva del CHMP** pendientes de decisión por la CE, 2 son terapias avanzadas, **1 es una sustancia química, y 1 es un producto biológico.** El medicamento con **nueva indicación con CHMP+** es un **producto biológico.**
 - ❖ En el informe de diciembre 2021, habían **8 medicamentos con opinión positiva del CHMP, los cuales ya están aprobados por la CE y pendientes de comercialización en España, y uno ha perdido la designación huérfana.**
- ▶ D. De los **28 nuevos medicamentos autorizados por la CE** pendientes de **comercialización en España** en junio 2022, **solamente 1 es una terapia avanzada, 14 son sustancias químicas y 13 biológicos.** Además, **4 de los 28 recibieron la aprobación de manera condicional, y 4 autorización en circunstancias excepcionales.**
 - De los **5 medicamentos huérfanos con nuevas indicaciones autorizadas por la CE** pendientes de **comercialización en España** en junio 2022, **4 son sustancias químicas y 1 biológica.**
 - Los **3 medicamentos en estudio de financiación con propuesta de resolución de precio negativa son productos biológicos.**
 - ❖ En el informe de diciembre, habían 23 medicamentos autorizados por la CE pendientes de comercialización en España, de los cuales **2 ya han obtenido financiación en España y a 2 se les ha retirado la autorización de comercialización.**



Referencias



Referencias

1. EMA. PRIME: priority medicines. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/research-development/prime-priority-medicines> Consultado el: 30/06/2022
2. EMA. Medicines under evaluation. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/medicines-under-evaluation> Consultado el: 30/06/2022
3. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 30/06/2022
4. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 30/06/2022
5. Base de datos interna de medicamentos huérfanos de Omakase Consulting. Consultado el 30/06/2022
6. BIFIMED. Buscador de la Información sobre la situación de financiación de los medicamentos: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/medicamentos.do>. Consultado el 30/06/2022
7. Resoluciones CIMP. <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm>. Consultado el 30/06/2022
8. EMA Upstaza. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/upstaza>
9. EMA Zokinvy. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/zokinvy>
10. EMA Roctavian. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/roctavian>
11. EMA Vyvgart. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/vyvgart>
12. EMA Tavneos. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/tavneos>
13. EMA Voraxaze. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/summaries-opinion/voraxaze>
14. EMA Lonapegsomatropin. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/lonapegsomatropin>
15. EMA Oxbryta. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/oxbryta>
16. EMA Ngenla. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/ngenla>
17. EMA Filsuvez. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/filsuvez>
18. EMA Nexviadyme. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/nexviadyme>
19. EMA Xenpozyme. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/human/EPAR/xenpozyme>



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



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

- ▶ En junio 2022, hay un total de **7 nuevos medicamentos** que estaban incluidos 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
-	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)	Parenteral	bluebird bio (Netherlands) B.V.	Hematología-Hemostasia	Anemia de células falciformes	Retirada la elegibilidad del PRIME por petición del MAH
Skysona®	Elivaldogene autotemcel	Terapia avanzada	Bluebird bio (Netherlands) B.V	Neurología	Adrenoleucodistrofia cerebral temprana	La autorización de comercialización se ha retirado a petición del titular
Zynteglo®	betibeglogene autotemcel	Terapia avanzada	bluebird bio (Netherlands) B.V.	Hematología-Hemostasia	Beta-talasemia	La autorización de comercialización se ha retirado a petición del titular (Marzo 2022)
Miplyffa®	Arimoclomol	Químico	Orphazyme	Neurología	Enfermedad Niemann-Pick	La aplicación a la autorización de comercialización se ha retirado a petición del titular (Marzo 2022)
Uplizna®	Inebilizumab	Biológico	AstraZeneca AB	Inmunosupresores	Tratamiento de los trastornos del espectro de la neuromielitis óptica	Se ha retirado la designación huérfana (Marzo 2022)
Waylivra®	Volanesorsen	Químico	Akcea Therapeutics Ireland Limited	Cardiovascular	Hiperlipoproteinemia tipo I	Financiado (Abril 2022)
Isturisa®	osilodrostat	Químico	Recordati Rare Diseases	Endocrinología	Síndrome de Cushing	Financiado (Mayo 2022)

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 30/06/2022

2. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 30/06/2022

3. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 30/06/2022



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

- En junio 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
Deltyba®	Delamanid	Químico	Otsuka Novel Products GmbH	E. Infecciosas	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	Financiada
Galafold®	Migalastat	Químico	Amicus Therapeutics Europe Limited	E. Infecciosas	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	Financiada
Epidyolex®	Cannabidiol	Biológico	GW Pharma (International) B.V.	Neurología	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.	Financiada

1. EMA CHMP Agenda, minutes and highlights. Disponible en <https://www.ema.europa.eu/en/committees/chmp/chmp-agendas-minutes-highlights> Consultado el 30/06/2022
2. EMA Medicines Download medicine data. Disponible en: <https://www.ema.europa.eu/en/medicines/download-medicine-data> Consultado el 30/06/2022
3. CIPM. Acuerdos CIPM. Disponible en: <https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/CIPMyPS.htm> Consultado el 30/06/2022