

# Informe Anual ObserveMHe: Medicamentos con designación huérfana aprobados por la Comisión Europea y autorizados en España

## Alcance del estudio

Todos los medicamentos huérfanos aprobados por la Comisión Europea hasta el 31 de diciembre del 2021



Describir la situación de financiación y fijación de precio (FFP) en España de medicamentos con designación huérfana (MH) aprobados por la Comisión Europea



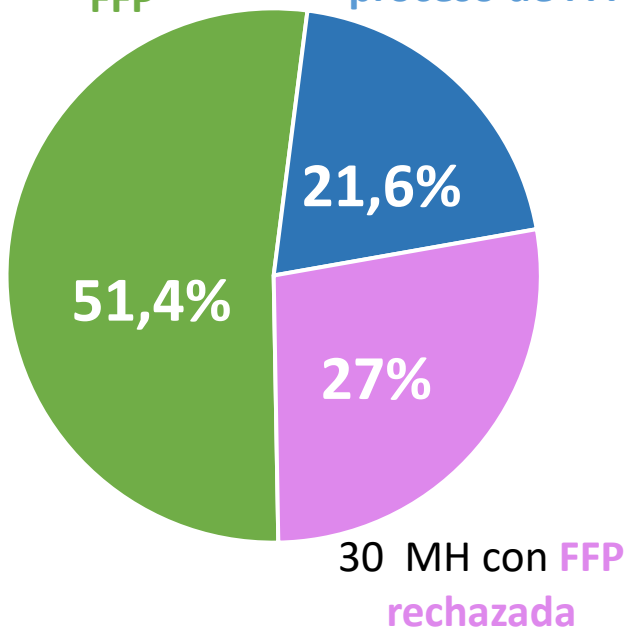
Analizar los plazos administrativos y el impacto del Informe de Posicionamiento Terapéutico en el proceso de FFP de MH en España



Describir las variables que podrían ser relevantes para el proceso de FFP de MH en España

57 MH con aprobación de FFP

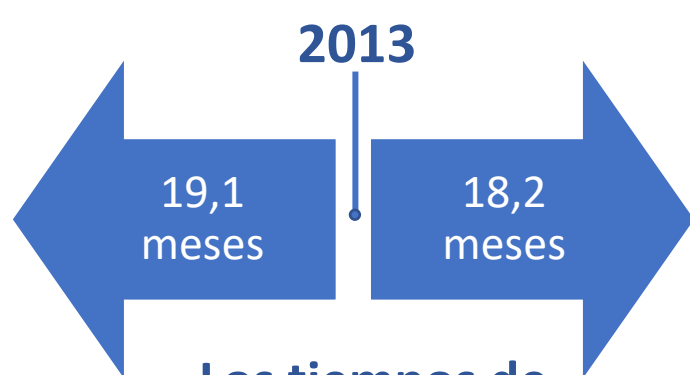
24 MH en proceso de FFP



30 MH con FFP rechazada

De los 128 MH aprobados por la Comisión Europea, 111 (86,7%) han obtenido autorización de comercialización en España

**El tiempo de evaluación de FFP** (desde la autorización de comercialización en España hasta la decisión de financiación) **antes y después de la inclusión del Informe de Posicionamiento Terapéutico en 2013**



Los tiempos de evaluación de FFP se han reducido ligeramente con la inclusión del Informe de Posicionamiento Terapéutico con una media de menos de 1 mes

Se evaluaron las variables clínicas y regulatorias que podrían ser relevantes para el proceso de FFP en España

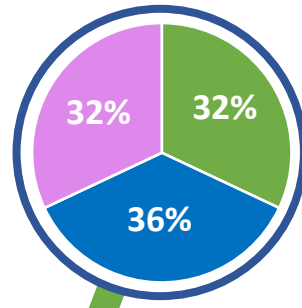
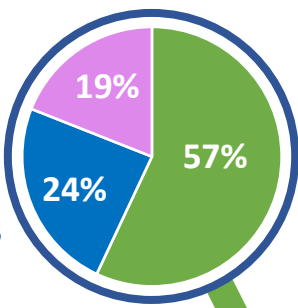
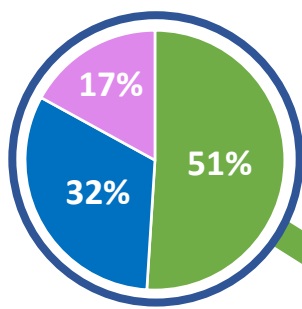
## CLASIFICACIÓN DE LOS RESULTADOS

MH evaluados con variables relacionadas con la supervivencia

## APROBACIÓN CONDICIONAL

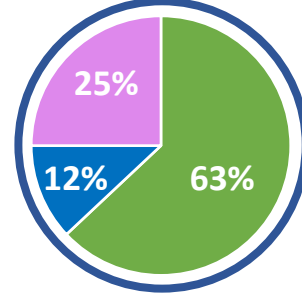
MH con aprobación condicional

**ÁREA TERAPÉUTICA**  
MH indicados para enfermedades oncológicas



**RAREZA DE LA ENFERMEDAD**

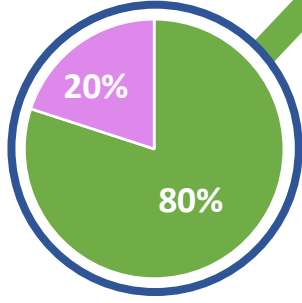
MH indicados para enfermedades ultra-raras



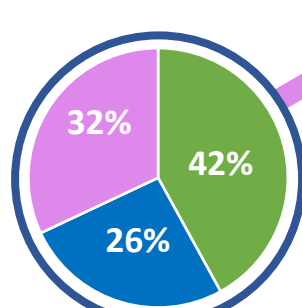
Variables que influirían en la decisión de financiación

Variables que no influirían en la decisión de financiación

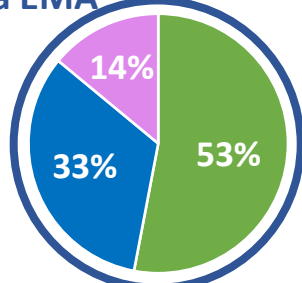
**CONCLUSIÓN IPT**  
Conclusión positiva en el IPT



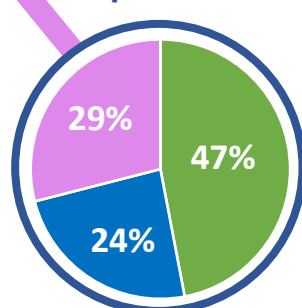
**ALTERNATIVAS TERAPÉUTICAS**  
Ausencia de alternativa terapéutica



**PERFIL DE SEGURIDAD**  
Obligación de realizar un estudio de seguridad posterior a la autorización (PASS) según la EMA



**TIPO DE POBLACIÓN**  
MH indicados para población pediátrica



Financiado  
En proceso de financiación  
Financiación rechazada