

INFORMACIÓN SOBRE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

¿QUÉ SON?

Los llamados «medicamentos huérfanos» son productos medicinales que sirven para diagnosticar, prevenir o tratar enfermedades o desordenes que amenazan la vida y que son tan infrecuentes, que los fabricantes no están dispuestos a comercializarlos bajo las condiciones de mercado habituales. Se trata de fármacos apenas desarrollados por la industria farmacéutica por razones financieras, puesto que van destinados a reducidos grupos de pacientes y que, sin embargo, responden a necesidades de salud pública.

El nombre deriva de la similitud con «aquellos niños que al no tener padres (huérfanos), dependían de diversas instituciones para desarrollarse».

¿QUIÉN LOS INVESTIGA?

Son investigados por los mismos profesionales que investigan el resto de los medicamentos. Pero las condiciones en que deben hacerlo son mucho más complicadas. Además de las dificultades financieras debidas a su baja rentabilidad, hay que añadir la dificultad de contar con un número de personas suficientemente amplio, para que los diferentes ensayos que se deban realizar tengan la validez necesaria.

¿QUIÉN LOS PRODUCE?

El proceso que va desde el descubrimiento de una nueva molécula a su comercialización es largo (10 años de media), caro (varias decenas de millones de Euros) y muy poco seguro (de 10 moléculas ensayadas, sólo una suele tener un efecto terapéutico). Desarrollar un medicamento dirigido a tratar una enfermedad rara no permite, en general, recuperar el capital invertido para su investigación.

Las empresas que los producen suelen ser las mismas que producen otros medicamentos pero necesitan una financiación especial que generalmente sólo los gobiernos pueden proporcionar bien en forma de ayudas directas bien en forma de ventajas fiscales y exenciones de diverso tipo.

¿QUÉ NORMATIVAS LOS AMPARA?

Cada país tiene, en general, su propia normativa en relación a los medicamentos huérfanos. En nuestro caso, además nos afecta la normativa europea.

La Unión Europea, en el [Reglamento \(CE\) nº 141/2000 del Parlamento Europeo y del Consejo de 16 de diciembre de 1999](#) (108 Kb. pdf)(DOUE L 18 de 22 de enero del 2000), sobre medicamentos huérfanos, define las características que debe tener un fármaco para ser declarado "medicamento huérfano".



Éstas son:

- Aquel que se destine a establecer un diagnóstico, prevenir o tratar una enfermedad que afecte a menos de cinco personas por cada diez mil en la Comunidad.
- Aquel que se destine al tratamiento de una enfermedad grave, o que produzca incapacidad, y cuya comercialización resulte poco probable sin medidas de estímulo, aunque sus beneficios sean significativos para los afectados por la enfermedad que se trate.

UNA VENTANA SOBRE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS

- [Instituto de Investigación de Enfermedades Raras \(IIER\)](#)
- [Portal de Información de Enfermedades Raras y Medicamentos Huérfanos \(Orphanet\)](#)
- [Federación Española de Enfermedades Raras \(Feder\)](#)
- [European Organization for Rare Diseases \(Eurordis\)](#)
- [National Organization for Rare Disorders \(Nord\)](#)
- [Colegios Oficiales de Farmacia](#)

LISTADO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS DESIGNADOS

<http://www.emea.europa.eu/htmls/human/orphans/opinions.htm> (en inglés).