

## Las terapias avanzadas para enfermedades raras requieren un abordaje integral más allá del ámbito sanitario

- Mayor agilidad en el acceso, más investigación, mejor gestión de los datos, apostar por la colaboración público-privada y que se compartan buenas prácticas entre comunidades autónomas, entre los retos pendientes

**Madrid, 06 de mayo de 2026.** La Asociación Española de Laboratorios de Medicamentos Huérfanos y Ultrahuérfanos (**AELMHU**) ha celebrado este miércoles su **IV Jornada Nacional sobre Terapias Avanzadas para Enfermedades Raras**, en la que expertos, investigadores, clínicos, asociaciones de pacientes, autoridades nacionales y de las comunidades autónomas han coincidido en la necesidad de abordar estos tratamientos de forma integral, yendo más allá del ámbito sanitario e implicando también a otras áreas como la científica, la industrial, la económica y la social.

La jornada, que ha contado con la colaboración de **CSL, Novartis, PTC Therapeutics, Ultragenyx Pharmaceutical** y **Vertex**, ha sido inaugurada por **Beatriz Perales**, presidenta de AELMHU, quien ha afirmado que las terapias avanzadas para enfermedades raras “están redefiniendo la historia natural de estas patologías y ofreciendo, por primera vez, una alternativa terapéutica a muchos pacientes”.

A este respecto, ha pedido que el **Plan de Terapias Avanzadas en el Sistema Nacional de Salud (SNS)**, aunque ha supuesto un avance positivo, aborde de forma más específica los retos que plantean este tipo de terapias en enfermedades raras, a través de medidas como mecanismos de financiación adaptados, procedimientos más ágiles en la evaluación o una mayor apuesta por la colaboración público-privada. “Necesitamos una hoja de ruta clara y ambiciosa, capaz de anticiparse al crecimiento de estas terapias y de preparar al sistema sanitario para **garantizar que la innovación llegue de manera efectiva y equitativa a los pacientes**”, ha resaltado.

Tras la inauguración, **Pedro Carrascal**, director de la Plataforma de Organizaciones de Pacientes (POP), ha impartido una ponencia sobre la experiencia y los aprendizajes de los pacientes en el **Reglamento Europeo de Evaluación de Tecnologías Sanitarias (HTA)**. “Con nuestro trabajo estamos consiguiendo que la perspectiva y la voz del paciente esté representada en la HTA de forma más útil, más comprensible y estructurada”, ha señalado.

A continuación, se ha celebrado la mesa ‘**Conversación entre clínicos e investigadores**’, moderada por **José María López Alemany**, licenciado en Farmacia y especialista en Sanidad y Política Farmacéutica, en la que han participado **Cristina Avendaño**, presidenta de la Federación de Asociaciones Científico Médicas Españolas (FACME); **Juan Antonio Bueren**, director de la Unidad de Innovación Biomédica del Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas (CIEMAT); **José Luis Poveda**, coordinador del grupo de Terapias Avanzadas de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria (SEFH); y **José**

**Valenzuela**, jefe de servicio de la División de Ensayos Clínicos de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS).

Los expertos han coincidido en **el gran avance que han experimentado las terapias avanzadas para enfermedades raras en los últimos años**. Sin embargo, han señalado la necesidad de reforzar la investigación en este ámbito, mejorando la integración entre los perfiles clínicos y los investigadores, reforzando por la colaboración público-privada y utilizando mejor los datos para optimizar la toma de decisiones y, en definitiva, conseguir que España siga siendo líder en ensayos clínicos.

En la segunda mesa, titulada '**Acceso y financiación en terapias avanzadas**' y moderada por **Álvaro Hidalgo**, catedrático y director del Grupo de Investigación en Economía de la Salud y Gestión Sanitaria de la Universidad de Castilla-La Mancha (UCLM), han intervenido **Lluís Alcover**, abogado especialista en derecho farmacéutico de Faus & Moliner Abogados; **Lourdes Gil**, jefa de Área de Tecnologías Farmacéuticas del Ministerio de Industria y Turismo; y **César Hernández**, director general de Cartera Común de Servicios del SNS y Farmacia del Ministerio de Sanidad.

Los ponentes han puesto en valor la necesidad de **adaptar el marco regulatorio y de financiación para responder con mayor agilidad y predictibilidad a las particularidades de las terapias avanzadas en enfermedades raras**. Asimismo, se ha apostado por construir un ecosistema que integre la política sanitaria y la industrial, y que cuente con unos incentivos adecuados para garantizar que la innovación farmacéutica se desarrolle y llegue a los pacientes.

Por último, se ha celebrado una mesa sobre **el abordaje regional de las terapias avanzadas en España**, en la que tanto representantes de las comunidades autónomas como de la Federación Española de Enfermedades Raras (FEDER) han subrayado la importancia de compartir el conocimiento entre todas las regiones, con el objetivo de armonizar protocolos y estructuras que permitan una atención más coordinada y equitativa en todo el territorio. En definitiva, se trata de mejorar el trabajo en red apoyándose en la digitalización del sistema, para conseguir un modelo mejor coordinado y centrado en el paciente.

La mesa ha sido moderada por **Jorge Mestre**, profesor asociado de la Universidad Carlos III y experto en economía de la salud, y ha contado con la participación de **Óscar Fernández**, director general de Planificación, Ordenación, Gestión del Conocimiento y Salud Digital del Gobierno de Cantabria; **Mónica Gayoso**, farmacéutica especialista en área pediátrica y patología digestiva del área sanitaria de Vigo (Hospital Álvaro Cunqueiro); **Isabel Motero**, directora general de FEDER; y **Laura Quintanilla**, jefa de División de la Unidad de Terapias Avanzadas de la Consejería de Sanidad de la Comunidad de Madrid.

Puede ver la jornada al completo a través de este enlace:

<https://www.youtube.com/watch?v=kodDIqxa-SE>.



aelmhu

## Sobre AELMHU

AELMHU es una asociación sin ánimo de lucro que agrupa a compañías farmacéuticas y biotecnológicas con un claro compromiso por investigar, desarrollar y comercializar terapias innovadoras para mejorar la salud y la calidad de vida de los pacientes que padecen enfermedades raras y ultrarraras. AELMHU quiere servir de interlocutor ante la sociedad, la comunidad científica y las instituciones políticas y sanitarias en los temas relacionados con los medicamentos huérfanos, ultrahuérfanos y otros tratamientos para enfermedades raras.

Actualmente, los asociados de AELMHU son Alexion AstraZeneca Rare Diseases, Alnylam Pharmaceuticals, Amgen, AOP Health, Argenx, Ascendis Pharma, Avanzanite Bioscience, Biocryst, Biogen, BioMarin, Chiesi, CSL, Esteve, Grupo Italfarmaco, Immunocore, Insmed, Ipsen, Kyowa Kirin, Lundbeck, Merck, Novartis, Pharma&, PTC Therapeutics, Sanofi, Sobi, Takeda, UCB, Ultragenyx Pharmaceutical y Vertex.



mhu



[comunicacion@aelmhu.es](mailto:comunicacion@aelmhu.es)



[aelmhu.es](http://aelmhu.es)



[Twitter](#)



[LinkedIn](#)



[Instagram](#)

© 2026