

Cómo funciona la Comisión Europea en lo que respecta a las enfermedades raras y las redes europeas de referencia (RER)

Febrero 2026

¿Sabía que...?



En el trabajo relacionado con las enfermedades raras participan muchas direcciones generales y servicios de la Comisión, que coordinan sus esfuerzos y conocimientos especializados para impulsar las actividades de la UE en materia de enfermedades raras de manera multidisciplinar y colaborativa.

El trabajo de la UE en materia de enfermedades raras en contexto



La política sanitaria y la organización de la prestación de servicios sanitarios y atención médica son competencias nacionales. Sin embargo, la Comisión complementa las políticas nacionales, fomentando el intercambio de mejores prácticas y la cooperación entre los Estados miembros.



La Comisión actúa en el marco de:

- la [Comunicación de la Comisión sobre enfermedades raras](#);
- la [Recomendación del Consejo en el ámbito de las enfermedades raras](#);
- y la [Directiva sobre asistencia sanitaria transfronteriza](#).

En este marco se establecen los parámetros del trabajo a escala de la Unión en materia de enfermedades raras desde el punto de vista de la salud pública. En cuanto a la [investigación](#), la Unión lleva tiempo dando prioridad al apoyo a las enfermedades raras a través de sucesivos programas marco de investigación e innovación, con la sólida participación de las RER en varios proyectos y ensayos clínicos.



Medicamentos y productos sanitarios huérfanos

La Unión actúa con el fin de mejorar el acceso a medicamentos y productos sanitarios huérfanos que sean seguros y más eficaces. En el caso de los medicamentos huérfanos, la Comisión ha revisado la legislación en la materia y ha propuesto cambios para plantar cara a todos los retos detectados en los últimos veinte años.

Los cambios tienen por objeto promover el desarrollo de medicamentos huérfanos para enfermedades raras a las que no se destinan suficientes recursos a través de incentivos específicos, un mayor apoyo normativo y la mejora de la igualdad de acceso a los medicamentos huérfanos.

En 2024, se facilitaron [orientaciones](#) sobre la evaluación clínica de los productos sanitarios huérfanos con el fin de ayudar a los fabricantes a cumplir los requisitos reglamentarios del Reglamento de la Unión sobre los productos sanitarios. Sobre la base de dichas orientaciones, la Agencia Europea de Medicamentos puso en marcha un programa piloto para contribuir al desarrollo y la evaluación de productos sanitarios huérfanos mediante la participación de grupos de expertos.



Disponibilidad de los datos e intercambio de datos

El próximo [Espacio Europeo de Datos de Salud](#) mejorará la continuidad de la asistencia a los pacientes a escala nacional y europea al permitir el acceso seguro a historiales médicos electrónicos y su intercambio en toda la Unión. El Espacio Europeo de Datos de Salud promoverá el uso secundario de los datos al poner a disposición más datos sobre enfermedades raras para la investigación y la innovación. Se espera que la mejora del acceso a los datos acelere el desarrollo de nuevos tratamientos y medicamentos para pacientes con enfermedades raras.



Redes europeas de referencia (RER)

La Comisión está reforzando la labor de las [veinticuatro redes europeas de referencia](#) (RER), unas redes transfronterizas que congregan a diversos centros europeos de asesoramiento y referencia para hacer frente a las enfermedades y afecciones raras, poco comunes y complejas que requieren una asistencia sanitaria altamente especializada. Las RER son un elemento clave de la Unión Europea de la Salud en el ámbito de las enfermedades raras, y se dedican a la coordinación de las redes, los registros de pacientes, la formación, las directrices sobre prácticas clínicas y la comunicación para sensibilizar sobre las enfermedades raras y las actividades de las RER.

¿Cómo se organiza la gobernanza de la red europea de referencia?



Colaboración de la Unión con los Estados miembros

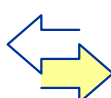
El [Consejo de Estados miembros](#) es un grupo de representantes nacionales encargado de supervisar las redes europeas de referencia. Entre sus funciones se encuentran la aprobación de las redes y las solicitudes de adhesión y el cese de las redes, así como la decisión sobre la pérdida de la afiliación. Dos veces al año, la Comisión organiza reuniones con el Consejo de Estados miembros para orientar el trabajo de las RER y, en caso necesario, llegar a un consenso sobre los elementos decisivos. También pueden organizarse otras reuniones sobre temas específicos pertinentes para las RER.

Colaboración



Organizaciones de pacientes

También es esencial que las voces de los pacientes y las familias sean el eje central del trabajo de la Unión en el ámbito de las enfermedades raras. A tal fin, la Comisión colabora con organizaciones de pacientes y, en particular, con [EURORDIS](#), la alianza sin ánimo de lucro que representa a más de mil organizaciones de pacientes con enfermedades raras. Por ejemplo, las organizaciones de pacientes están integradas en el trabajo de las redes europeas de referencia, y EURORDIS es un socio importante en muchos proyectos financiados por la Unión, como [ERDERA](#) y [Screen4Care](#).



Orphanet

La Comisión también apoya a [Orphanet](#), una iniciativa que gestiona un portal digital para recopilar y mejorar los conocimientos sobre enfermedades raras a fin de mejorar el diagnóstico, la atención y el tratamiento de los pacientes con enfermedades raras. Además, Orphanet mantiene la nomenclatura de enfermedades



Colaboración de la Unión con las redes europeas de referencia

La Comisión también colabora estrechamente con las redes en las reuniones que se organizan dos veces al año con el [Grupo de Coordinadores de las redes europeas de referencia](#). Este grupo reúne al coordinador de cada RER y aborda aspectos comunes a todas las redes sobre aspectos técnicos y organizativos. Dada su experiencia, también se los invita a asesorar a los Estados miembros y a la Comisión.



raras conocida como [ORPHAcode](#), que permite la codificación armonizada de las enfermedades raras en todo el mundo.



Apoyo a Ucrania en la lucha contra las enfermedades raras

La Comisión apoya a Ucrania, también en el ámbito de las enfermedades raras. Existe un marco que permite a los proveedores de asistencia sanitaria ucranianos solicitar asesoramiento sobre pacientes ucranianos con enfermedades raras o complejas a miembros de las redes europeas de referencia. Además, las RER se comprometen a desarrollar capacidades para las autoridades competentes y las unidades sanitarias ucranianas y a intercambiar mejores prácticas con ellas.

© Unión Europea, 2026

Se permite la reutilización de este documento siempre que se identifique adecuadamente la fuente y se indique cualquier cambio (licencia de Creative Commons Attribution 4.0 International). Para la utilización o reproducción de elementos que no sean propiedad de la UE, es posible que sea necesario solicitar autorización directamente a los titulares de derechos correspondientes. Todas las imágenes © Unión Europea, salvo que se indique lo contrario. © Gettyimages

Luxemburgo: Oficina de Publicaciones de la Unión Europea, 2026

PDF	ISBN 978-92-68-24381-7	doi:10.2875/6544000	EW-01-25-014-ES-N
Print	ISBN 978-92-68-24382-4	doi:10.2875/0590825	EW-01-25-014-ES-C