

## Clasificación de nuevos productos de terapia génica en los últimos doce meses

Medicamento	Indicación	Fecha
Vector viral recombinante adeno-asociado que expresa el gen humano neuronal de lipofuscinosis ceroide tipo 3	Enfermedad CLN3 o de Batten	11/12/2019
Vector viral recombinante adeno-asociado que expresa el gen humano neuronal de lipofuscinosis ceroide tipo 6	Enfermedad CLN6 o de Batten	11/12/2019
Vector viral adeno-asociado recombinante que expresa el factor VIII humano	Hemofilia A	14/11/2019
Células humanas alogénicas Mich1H6 y Mich2H6	Melanoma avanzado	16/10/2019
Adenovirus oncolíticos recombinantes	Cáncer localizado de próstata en pacientes naïve	16/10/2019
RNAm transrito <i>in vitro</i> que codifica para el factor de crecimiento-1 similar a la insulina	Lesión musculoesquelética	16/10/2019
Vector viral recombinante adenoasociado serotipo 2 que codifica para el ADNc de la proteína Rab humana tipo 1	Coroideremia	20/09/2019
Células autólogas CD34+ transducidas con vector lentiviral que codifica para la $\gamma$ -globina humana G16D y ARN734 de horquilla corta	Anemia de células falciformes moderada-severa	20/09/2019
Vacuna de Ankara modificada (Ankara-Bavarian Nordic-Brachyury) y virus recombinante de la viruela aviar Brachyury codificante para el gen humano brachyury y para tres moléculas coestimuladoras (CD80, CD54 y CD58)	Cordoma	23/07/2019
Ácido ribonucleico mensajero codificante para la proteína 40 que contiene el dominio de la bobina en espiral (CCDC40)	Discinesia ciliar primaria causada por mutación bialélica en el gen CCDC40	23/07/2019
Células T de sangre periférica autólogas y cultivadas, CD4 y CD8 seleccionadas y CD3 y CD28 activadas y transducidas con un vector retroviral que codifica para un receptor de antígeno químérico (de tipo CD28/CD3-zeta) específico anti-CD19	Varios tipos de cáncer	23/07/2019
Células dendríticas autólogas electroporadas con un ARNm que codifica el antígeno tumoral Wilms tumor-1	Cáncer de pulmón	29/05/2019
Células T autólogas transducidas con un receptor de células T específicamente dirigido a la transcriptasa inversa de la telomerasa humana (hTERT),	Varios tipos de cancer que expresen hTERT	24/04/2019
Vector de virus adenoasociado recombinante (serotipo 8) que porta un cDNA que codifica el regulador de GTPasa de la retinitis pigmentosa humana	Retinitis pigmentosa asociada al cromosoma X	24/04/2019
Vector de virus adenoasociado recombinante (serotipo 5) que codifica el gen de la 21-hidroxilasa	Hiperplasia adrenal congénita	27/03/2019
Moléculas de ARN mensajero de hebra única (transcritas <i>in vitro</i> ) que codifican para interferón- $\alpha$ 2b, interleucina-12, interleucina-15-sushi y factor estimulador de colonias de granulocitos y macrófagos humanos	Tratamiento de tumores sólidos	27/03/2019
Vector de virus adenoasociado recombinante que codifica el gen de la micro-distrofina humana	Distrofia muscular de Duchene	27/03/2019
Vector plásmido que codifica el gen de la interleucina-12	Melanoma avanzado	27/03/2019
Vector de virus adenoasociado recombinante (serotipo 5) que codifica el gen de la guanilato ciclase 1 (GUCY2D) humana	Enfermedad retiniana congénita causada por mutaciones bialélicas en el gen GUCY2D, incluyendo la amaurosis congénita de Leber tipo 1 (GUCY2D-LCA)	27/02/2019
Vector de virus adenoasociado recombinante (serotipo 9) que codifica el gen de la $\alpha$ -L-iduronidasa humana (HIDUA)	Mucopolisacaridosis tipo 1	27/02/2019
Virus adenoasociado recombinante (serotipo rh10) que contiene un transgén codificante para un micro ARN (miRNA) dirigido contra el ARN mensajero (ARNm) de la superóxido dismutasa 1 (SOD-1)	Esclerosis lateral amiotrófica (ELA) debida a mutaciones en el gen de la SOD-1	27/02/2019

Continúa en la página siguiente →

## Clasificación de nuevos productos de terapia génica en los últimos doce meses (cont.)

Medicamento	Indicación	Fecha
Células hematopoyéticas CD34+ autólogas transfectadas con un vector lentiviral que codifica la subunidad $\beta$ de CD18 de la integrina humana $\beta$ 2	Deficiencia severa de adhesión de leucocitos tipo I	05/02/2019
Cápside de bacteriófago contenido ADN que codifica para nucleasas guiadas por ARN y las guías de ARN asociadas, dirigidas frente a los genes de la toxina shiga	Infecciones por <i>Escherichia coli</i> productoras de toxinas shiga	05/02/2019

## Clasificación de nuevos medicamentos combinados de terapia avanzada en los últimos doce meses

Medicamento	Indicación	Fecha
Células autólogas derivadas del músculo esquelético adheridas a micropartículas biodegradables de poli(D-L-lactato-co-glicolato), combinadas con células derivadas del músculo esquelético	Incontinencia fecal y malformación ano-rectal	27/03/2019
Células madre autólogas derivadas de tejido adiposo	Tratamiento del desvío urinario en pacientes que requieren cistectomía radical para el tratamiento del cáncer de vejiga	27/02/2019

## Evolución cronológica de las clasificaciones y evaluaciones de las terapias avanzadas por la EMA

Año	Clasificación de medicamentos		Medicamentos evaluados	
	Remitidos	Adoptados	Remitidos	Favorables
2019	70	67	1	1
2018	55	43	3	3
2017	46	49	4	2
2016	60	87	1	2
2015	61	31	1	1
2014	28	29	2	1
2013	20	23	2	2
2012	22	16	3	1
2011	12	12	2	1
2010	19	27	1	0
2009	22	12	3	1
<b>TOTAL</b>	<b>415</b>	<b>396</b>	<b>23</b>	<b>15</b>

## Nuevos medicamentos huérfanos

Los medicamentos huérfanos son aquéllos que sirven para diagnosticar, prevenir o tratar enfermedades raras de carácter muy grave o con riesgo para la vida. En la Unión Europea, la calificación de enfermedad rara se aplica a todas aquellas que no afectan

a más de 5 de cada 10.000 personas. La **designación** de un medicamento como huérfano no garantiza su uso en la condición designada y no implica necesariamente que el producto satisfaga los criterios de eficacia, seguridad y calidad necesarios para

la concesión de la **autorización de comercialización**. Como para cualquier medicamento, estos criterios solo pueden ser evaluados una vez que la solicitud de autorización de comercialización haya sido presentada.