

Medicamento	Indicación	Fecha
Células madre/progenitoras hematopoyéticas CD34+ enriquecidas con mitocondrias normales derivadas de glóbulos blancos de un donante emparentado	Síndromes de delección de ADN mitocondrial no hereditarios	20/09/2019
Células CD34+ autólogas	Isquemia críticas de extremidades (sin opción de tratamiento)	23/07/2019
Células progenitoras cardíacas neonatales alogénicas	Fallo cardíaco	27/06/2019
Células mononucleares alogénicas de sangre de cordón umbilical	Trastornos neurológicos, trastornos del espectro autista, parálisis cerebral	24/04/2019

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

Medicamento	Indicación	Fecha
Vector viral adeno-asociado de serotipo 5 que expresa el gen humano de la GTPasa regular de la retinitis pigmentosa (RPGR),	Retinitis pigmentosa debida a defectos en el gen RPGR y ligada al cromosoma X	28/02/2020
Vector viral adeno-asociado de serotipo 9 que expresa el gen humano de la aspartilglucosaminidasa (AGA) con los codones optimizados	Aspartilglucosaminuria debida a una mutación con pérdida de función del gen AGA	28/02/2020
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 transcrita <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 químico (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