

# Nuevos fármacos en el mundo

## NUEVOS MEDICAMENTOS EN EL MUNDO, DURANTE EL AÑO 2016

FÁRMACOS	LABORATORIO	COMENTARIOS
<b>Cerdulatinib</b>	Portola Pharmaceuticals	Cerdulatinib es un inhibidor de la tirosina quinasa (Syk) y del janus kinasa (JAK), que inhibe de forma única dos vías clave de señalización celular que promueven el crecimiento de células cancerosas en ciertas neoplasias malignas. Se ha desarrollado para tratar pacientes con cánceres hematológicos, específicamente aquellos que han recidivado o que no han respondido a terapias anteriores.
<b>Emicizumab</b>	Roche	Emicizumab es un anticuerpo monoclonal anti-factor IXa and X, indicado para el tratamiento de la deficiencia congénita del FVIII (hemofilia A)
<b>Tepotinib</b>	Merck	Tepotinib es un selectivo inhibidor del receptor MET de tirosina quinasa, indicado para el tratamiento de cánceres de hígado y pulmón
<b>Tazemetostat (EPZ-6438)</b>	Epizyme, Inc.	Tazemetostat es un potente y selectivo inhibidor de la N-EZH2 metiltransferasa; induce apoptosis y diferenciación específicamente en SMARCB1 eliminando las células MRT. Está indicado para el tratamiento de linfomas de células B.

## TERAPIAS AVANZADAS

Los medicamentos de terapia avanzada (MTA o *Advanced Therapy Medicinal Products, ATMP*) ofrecen nuevos e innovadores tratamientos para las enfermedades. Están basados en la terapia génica, la terapia celular somática o la ingeniería tisular. El marco legal para las ATMP en la Unión Europea está establecido en la *Regulation (EC) No 1394/2007 on advanced therapy medicinal products*<sup>1</sup> que asegura el libre movimiento de estas medicinas dentro de la Unión Europea y el acceso a los mercados. La regulación (EC) nº 1394/2007 también establece el nuevo Comité en Terapias avanzadas (CAT)<sup>2,3</sup> cuya responsabilidad fundamental consiste en preparar un proyecto de opinión sobre cada nueva solicitud de medicamento de terapia avanzada planteada a la Agencia Europea de Medicamentos, antes de que el Comité de Medicamentos de Uso Humano (CHMP, Committee for Medicinal Products for Human Use) de la misma adopte una opinión definitiva sobre la concesión, modificación, suspensión o revocación de una autorización de comercialización para el medicamento en cuestión.

## NUEVOS PRODUCTOS DE TERAPIAS AVANZADAS EN LOS ÚLTIMOS DOCE MESES, EN LA UNIÓN EUROPEA (EMA)

MEDICAMENTO	INDICACIÓN	CLASIFICACIÓN	FECHA
<b>Médula ósea derivada de células mesenquimales</b>	Tratamiento de la enfermedad aguda del injerto contra el huésped	Terapia celular somática	05/01/2017
Antígeno químérico anti-BCMA del receptor de células T	Tratamiento del mieloma múltiple y el linfoma de células B	Terapia génica	18/11/2016
Suspensión autóloga de células de la piel	Tratamiento de quemaduras y heridas de la piel	Ingeniería tisular	18/11/2016
Tejido adiposo autólogo derivado de células madre mesenquimales	Tratamiento de la reparación cardíaca tras un infarto de miocardio	Ingeniería tisular	18/11/2016
Médula ósea autóloga derivada de células no hematopoyéticas	Tratamiento de la esclerosis múltiple	Ingeniería tisular	18/11/2016
Rilimogen galvacireped y rilimogen glafolivec	Tratamiento del cáncer de próstata metastásico resistente	Terapia génica	18/11/2016
Vacuna modificada de virus Ankara codificando mucina 1 e interleukina 2 humanas	Tratamiento del cáncer avanzado de pulmón de células no pequeñas y no escamosas	Terapia génica	18/11/2016
Células T autólogas expresando un receptor NKG2D químérico	Tratamiento de varios tipos de tumores	Terapia génica	20/10/2016

<sup>1</sup> [http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/eudralex/vol-1/reg\\_2007\\_1394/reg\\_2007\\_1394\\_en.pdf](http://ec.europa.eu/enterprise/pharmaceuticals/eudralex/vol-1/reg_2007_1394/reg_2007_1394_en.pdf)

<sup>2</sup> <http://www.ema.europa.eu/htms/general/contacts/CAT/CAT.html>

<sup>3</sup> <http://www.ema.europa.eu/pressoffice/cat.htm>

**NUEVOS PRODUCTOS DE TERAPIAS AVANZADAS EN LOS ÚLTIMOS DOCE MESES,  
EN LA UNIÓN EUROPEA (EMA) (Cont.)**

MEDICAMENTO	INDICACIÓN	CLASIFICACIÓN	FECHA
Combinación de dos plásmidos codificados por los antígenos E6 y E7A del virus 16 y 18 del papiloma humano	Tratamiento del HPV-16 y 18	Terapia génica	20/10/2016
<i>Lactobacillus reuteri</i> vivo genéticamente modificado con un plásmido contenido el gen humano CXCL12	Tratamiento de las lesiones crónicas de piel en pacientes diabéticos	Terapia génica	20/10/2016
Fracción de células humanas autólogas de estroma vascular y células madre autólogas derivadas del mesénquima adiposo	Tratamiento de la piel laxa senil	Ingeniería tisular	20/10/2016
Vector viral adenoasociado serotipo 8 codificador de gen humano de glucosa-6	Tratamiento de la enfermedad tipo la de almacenamiento de glucógeno (enfermedad de von Gierke)	Terapia génica	14/09/2016
Vector viral adenoasociado serotipo 2 codificador del gen humano de L-aminoácido decarboxilasa	Tratamiento de la enfermedad de Parkinson	Terapia génica	14/09/2016
Cultivo ex-vivo de células progenitoras de sangre de cordón umbilical humano	Tratamiento de pacientes bajo trasplante de células progenitoras hematopoyéticas	Ingeniería tisular	14/09/2016
Células progenitoras heterólogas derivadas de hígado humano adulto	Tratamiento de las enfermedades fibroinflamatorias del hígado	Ingeniería tisular	14/09/2016
Fibroblastos autólogos expandidos <i>in vitro</i>	Tratamiento de cicatrices de diferentes etiologías (postraumáticas, postquirúrgicas, etc.)	Ingeniería tisular	15/07/2016
Concentrado de médula ósea autóloga	Tratamiento de la isquemia de extremidades sin opción quirúrgica	Ingeniería tisular	15/07/2016
Virus de Epstein-Barr alogénico de linfocitos T citotóxicos	Tratamiento del virus de Epstein-Barr. Virus asociado al postrasplante en trastornos linfoproliferativos	Terapia celular somática	23/06/2016
Células autólogas expandidas ex vivo reguladores de linfocitos T	Tratamiento de la diabetes tipo 1	Terapia celular somática	23/06/2016
Virus adenoasociado codificador de genes de los canales de rodopsina en algas	Tratamiento de la rinitis pigmentosa	Terapia génica	23/06/2016
Células madre mesenquimales aisladas de la médula ósea autóloga,	Tratamiento de enfermedades neurológicas en niños (encefalopatías, epilepsia y lesión de médula espinal)	Ingeniería tisular	23/06/2016
Concentrado derivado de células mononucleares de médula autóloga	Tratamiento de la isquemia crónica de miocardio con disfunción ventricular izquierda	Ingeniería tisular	26/05/2016
Cultivo de fibroblastos autólogos	Tratamiento del pie de diabético, ulceras venosas y cicatrices del acné	Ingeniería tisular	26/05/2016
Cultivo de células madre autólogas adiposas mesenquimales	Tratamiento de heridas no cicatrizadas	Ingeniería tisular	26/05/2016
Cultivo de queratinocitos autólogos	Tratamiento de heridas no cicatrizadas, quemaduras y úlceras tropicales	Ingeniería tisular	26/05/2016
Cultivo de melanocitos autólogos	Tratamiento del vitíligo	Ingeniería tisular	26/05/2016
Cultivo de células madre autólogas musculares	Tratamiento de las incontinencias fecales y urinarias y lesiones músculo-esqueléticas	Ingeniería tisular	26/05/2016
Líneas celulares alogénicas genéticamente modificadas de tumor pancreático estimulantes de la secreción del factor de macrófagos	Tratamiento del cáncer de páncreas	Terapia génica	05/04/2016
Suspensión de costras de quemaduras y tejido quemado de células de tejido adiposo obtenidos quirúrgicamente	Tratamiento de quemaduras	Ingeniería tisular	05/04/2016
Cultivo de queratinocitos y suspensión de costras de quemaduras y tejido quemado de células de tejido adiposo obtenidos quirúrgicamente sembrado en una matriz acelular	Tratamiento de quemaduras	Ingeniería tisular	05/04/2016
Células autólogas de estroma vascular y células madre autólogas adiposas	Tratamiento de los queloides de escaras	Ingeniería tisular	05/04/2016
Vector viral adenoasociado serotipo 2 contenido el gen humano RPE65	Tratamiento de la degeneración retinal debida a la mutación autosómica recesiva del gen RPE65	Terapia génica	28/02/2016

**NUEVOS PRODUCTOS DE TERAPIAS AVANZADAS EN LOS ÚLTIMOS DOCE MESES,  
EN LA UNIÓN EUROPEA (EMA) (Cont.)**

MEDICAMENTO	INDICACIÓN	CLASIFICACIÓN	FECHA
Suspensión de células madre mesenquimáticas de membrana amniótica	Tratamiento de quemaduras	Ingeniería tisular	28/02/2016
Células progenitoras alogénicas humanas adultas	Tratamiento de la revascularización incompleta como adjunto al bypass arterial coronario en pacientes con malformaciones congénitas arteriales coronarias	Ingeniería tisular	28/02/2016

**NUEVOS MEDICAMENTOS HUÉRFANOS**

Los medicamentos huérfanos son aquellos 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 sólo pueden ser evaluados una vez que la solicitud de autorización de comercialización haya sido presentada.

**MEDICAMENTOS HUÉRFANOS AUTORIZADOS EN LA UNIÓN EUROPEA (EMA) EN LOS ÚLTIMOS DOCE MESES**

MEDICAMENTO	INDICACIÓN	LABORATORIO	FECHA AUTORIZACIÓN
Ácido 2,2'-[2-[(1R)-1-({[(2,5-diclorobenzoyl)amino]acetil}amino)-3-metilbutil]-5-oxo-1,3,2-dioxaborolano-4,4-díil]diacético (Ninlaro®)	Tratamiento del mieloma múltiple	Takeda Pharma A/S	23/11/2016
Células T alogénicas modificadas genéticamente con un vector retroviral que codifica una forma truncada del receptor de baja afinidad del factor de crecimiento nervioso ( $\Delta$ LNGFR) humano y la timidina quinasa del virus del Herpes simplex I (HSV-TK Mut2) (Zalmoxis®)	Tratamiento adjunto en el trasplante de células hematopoyéticas	MolMed S.p.A.	23/08/2016
Lenalidomida (Revlimid®)	Tratamiento del linfoma de células del manto	Celgene Europe Limited	12/07/2016
Daratumumab (Darzalex®)	Tratamiento del mieloma	Janssen-Cilag International	24/05/2016
Proteína recombinante de fusión consistente en el factor IX de coagulación humano unido a la zona Fc de IgG1 humana (Alprolix®)	Tratamiento de la hemofilia B	Biogen Idec Limited	13/05/2016
Proteína recombinante de fusión ligada al factor IX de coagulación humano con albúmina humana (Idelvion®)	Tratamiento de la hemofilia B	CSL Behring GmbH	13/05/2016
1-[3-[3-(4-clorofenil)propoxi]propil]piperidina (Wakix®)	Tratamiento de la narcolepsia	Bioprojet Pharma	04/04/2016
Factor X de coagulación humano (Coagadex®)	Tratamiento de la deficiencia hereditaria de factor X	Bio Products Laboratory	18/03/2016
Gliceril tri-(4-fenilbutirato) (Revicti®)	Tratamiento de la deficiencia de carbamoil fosfato sintasa	Horizon Therapeutics Limited	01/12/2015
Gliceril tri-(4-fenilbutirato) (Revicti®)	Tratamiento de la deficiencia de ornitina carbamoil transferasa	Horizon Therapeutics Limited	01/12/2015
Gliceril tri-(4-fenilbutirato) (Revicti®)	Tratamiento de la citrulinaemia tipo I	Horizon Therapeutics Limited	01/12/2015
Gliceril tri-(4-fenilbutirato) (Revicti®)	Tratamiento de la aciduria arginosuccinica	Horizon Therapeutics Limited	01/12/2015
Gliceril tri-(4-fenilbutirato) (Revicti®)	Tratamiento de la hiperargininemia	Horizon Therapeutics Limited	01/12/2015
Gliceril tri-(4-fenilbutirato) (Revicti®)	Tratamiento de la deficiencia de ornitina translocasa	Horizon Therapeutics Limited	01/12/2015

**MEDICAMENTOS DESIGNADOS COMO HUÉRFANOS EN LA UNIÓN EUROPEA (EMA)  
EN EL MES DE ENERO DE 2017**

MEDICAMENTO	INDICACIÓN	LABORATORIO
Ácido (6aR, 10aR)-3-(1',1'-dimetilheptil)-delta-8-tetrahidro-cannabinol-9-carboxílico	Tratamiento de la esclerosis sistémica	TMC Pharma Services Ltd
Ácido 3-pentilbenzenoacético	Tratamiento del síndrome de Alström	ProMetis Pharma SMT Limited
Ácido 5-aminolevulínico	Diagnóstico del glioma	Centre Hospitalier Universitaire de Lille
Antroquinonol	Tratamiento del cáncer de páncreas	Biological Consulting Europe Ltd
Células dendríticas autólogas incubadas ex vivo con zebularina y factor VIII	Tratamiento de la hemofilia A	Idogen AB
Fluticasona	Tratamiento de la esofagitis eosinofílica	Adare Pharmaceuticals srl
Línea de células humanas de hepatoma HepaRG en hígado bioartificial	Tratamiento del fallo agudo de hígado	Hep-Art Medical Devices BV
Leuprorelina	Tratamiento del hipogonadismo congénito	Stichting Centre for Human Drug Research (CHDR)
Hidroxicloroquina	Tratamiento del síndrome de antifosfolípidos	Centre Hospitalier Universitaire d'Angers
Pentosano	Tratamiento de la cistitis intersticial	Kyoto Tech Limited
Pr-D-Cys-Met-Pip-Arg-Leu-Arg-Sar-Cys-Lys-Arg-Pro-Tyr-Tle-Leu-OH	Tratamiento de la asfixia perinatal	VECT-HORUS
Vector viral recombinante serotipo 9 adenoasociado contenido el humano N-alfa-acetilglucosaminidasa	Tratamiento del síndrome Sanfilippo B	Ser-mes Planificación SL
IgG recombinante degradadora de enzimas de <i>Streptococcus pyogenes</i>	Prevención del rechazo tras el trasplante de órganos sólidos	Hansa Medical AB
Trans-resveratrol	Tratamiento de la ataxia espinocerebral	Luis Pereira de Almeida

## PUBLICACIONES Y PÁGINAS WEB DE INTERÉS

### A) Instituciones y redes españolas

INSTITUTO DE SALUD CARLOS III (MINISTERIO DE CIENCIA E INNOVACIÓN):

– INSTITUTO DE ENFERMEDADES RARAS:

[http://www.isciii.es/htdocs/centros/enfermedadesraras/enfermedadesraras\\_presentation.jsp](http://www.isciii.es/htdocs/centros/enfermedadesraras/enfermedadesraras_presentation.jsp)

– CIBERER (Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras):

[http://www.isciii.es/htdocs/centros/enfermedadesraras/enfermedadesraras\\_presentation.jsp](http://www.isciii.es/htdocs/centros/enfermedadesraras/enfermedadesraras_presentation.jsp)

INSTITUTO DE MAYORES Y SERVICIOS SOCIALES (IMSERSO, MINISTERIO DE SANIDAD, POLÍTICA SOCIAL E IGUALDAD):

[http://www.imserso.es/imserso\\_01/index.htm](http://www.imserso.es/imserso_01/index.htm)

FEDERACIÓN ESPAÑOLA DE ENFERMEDADES RARAS (FEDER)

[www.enfermedades-raras.org](http://www.enfermedades-raras.org)

– ASOCIACIONES DE PACIENTES EN ESPAÑA:

[http://www.feder.org.es/asociaciones\\_listado.php](http://www.feder.org.es/asociaciones_listado.php)

### B) Instituciones y redes europeas

AGENCIA EUROPEA DE MEDICAMENTOS. APARTADO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS (INGLÉS):

[http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/special\\_topics/general/general\\_content\\_000034.jsp&murl=menus/special\\_topics/special\\_topics.jsp&mid=WC0b01ac058002d4eb&jsenabled=true](http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/special_topics/general/general_content_000034.jsp&murl=menus/special_topics/special_topics.jsp&mid=WC0b01ac058002d4eb&jsenabled=true)

COMISIÓN EUROPEA: WEB OFICIAL DE LA COMISIÓN EUROPEA SOBRE ENFERMEDADES RARAS Y MEDICAMENTOS HUÉRFANOS (ESPAÑOL).

[http://ec.europa.eu/health/rare\\_diseases/policy/index\\_es.htm](http://ec.europa.eu/health/rare_diseases/policy/index_es.htm)

ORPHANET: PORTAL DE INFORMACIÓN OFICIAL DE LA UNIÓN EUROPEA SOBRE ENFERMEDADES RARAS Y MEDICAMENTOS HUÉRFANOS (ESPAÑOL).

<http://www.orpha.net/consor/cgi-bin/index.php?lng=ES>

EURORDIS: FEDERACIÓN EUROPEA DE ASOCIACIONES DE PACIENTES CON ENFERMEDADES RARAS (ESPAÑOL).

<http://www.eurordis.org/es>

### C) Otras instituciones y redes internacionales

FOOD & DRUG ADMINISTRATION (FDA, ESTADOS UNIDOS). APARTADO DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS (INGLÉS):

<http://www.fda.gov/ForIndustry/DevelopingProductsforRareDiseasesConditions/default.htm>

PHARMACEUTICALS & MEDICAL DEVICES AGENCY. AGENCIA DE MEDICAMENTOS Y DISPOSITIVOS MÉDICOS, DE JAPÓN (INGLÉS):

<http://www.pmda.go.jp/english/index.html>