

Nuevos medicamentos especiales

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* que asegura el libre movimiento de estas medicinas dentro de la Unión Europea y el acceso a los mercados. La regulación (EC) n° 1394/2007 también establece el nuevo *Comité en Terapias avanzadas* (CAT) 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.

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

MEDICAMENTO	INDICACIÓN	CLASIFICACIÓN	FECHA
Linfocitos autólogos de infiltración tumoral	Tratamiento del melanoma metastásico	Terapia celular somática	22/03/2017
Médula ósea derivada de células mesenquimales	Tratamiento de la enfermedad aguda del injerto contra el huésped	Terapia celular somática	05/01/2017
Antígeno quimérico 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 quimérico	Tratamiento de varios tipos de tumores	Terapia génica	20/10/2016
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 conteniendo 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 Ia 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

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

MEDICAMENTO	INDICACIÓN	CLASIFICACIÓN	FECHA
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, úlceras 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 keratinocitos 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

EVOLUCIÓN CRONOLÓGICA DE LAS CLASIFICACIONES Y EVALUACIONES DE LAS TERAPIAS AVANZADAS POR LA EMA

AÑO	CLASIFICACIÓN DE MEDICAMENTOS		MEDICAMENTOS EVALUADOS	
	REMITIDOS	ADOPTADOS	REMITIDOS	FAVORABLES
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
TOTAL	258	245	15	9

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	PRINCIPIO ACTIVO	LABORATORIO	AUTORIZACIÓN	INDICACIÓN
Ledoga	Clormetina	Actelion	2017/03/03	Linfoma cutáneo de células T tipo micosis fungoide
Cystadrops	Mercaptamina	Orphan Europe	2017/01/19	Cistinosis (depósitos corneales)
Ocaliva	Obetólico, ácido	Intercept	2016/12/12	Colangitis biliar primaria
SomaKit TOC	Edotreotida	Advanced Accelerator Applications	2016/12/08	Diagnóstico por imagen (PET)
Venclyxto	Venetoclax	AbbVie	2016/12/05	Leucemia linfocítica crónica
Ninlaro	Ixazomib	Takeda	2016/11/21	Mieloma múltiple
Lartruvo	Olaratumab	Eli Lilly	2016/11/09	Sarcoma de tejidos blandos
Onivyde	Irinotecan	Baxalta	2016/10/14	Adenocarcinoma metastásico de páncreas
Zalmoxis	Células T alogénicas modificadas genéticamente	MolMed	2016/08/18	Trasplante de células hepatopoyéticas pluripotentes haploindénticas
Galafold	Migalastat	Amicus	2016/05/26	Enfermedad de Fabry
Strimvelis	Fracción celular autóloga enriquecida con CD34+	GlaxoSmithKline	2016/05/26	Inmunodeficiencia severa combinada
Darzalex	Daratumumab	Janssen Cilag	2016/05/20	Mieloma múltiple
Alprolix	Eftrenonacog alfa	Swedish Orphan Biovitrum	2016/05/12	Hemofilia B
Uptravi	Selexipag	Actelion	2016/05/12	Hipertensión pulmonar
Idelvion	Albutrepononacog alfa	CSL Behring	2016/05/11	Hemofilia B

ESTADÍSTICA DE DESIGNACIÓN Y AUTORIZACIÓN DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA UNIÓN EUROPEA

Año	Solicitudes remitidas	Solicitudes evaluadas	Opiniones Positivas	(%)	Solicitudes Retiradas	(%)	Opiniones Negativas Finales	(%)	Designaciones	Fármacos Huérfanos autorizados	Designaciones huérfanas autorizadas ¹
2017	19	50	33	66%	17	34%	0	0%	20	1	1
2016	330	304	220	72%	82	27%	2	1%	209	14	14
2015	258	272	177	65%	94	35%	1	1%	190	14	21
2014	329	259	196	76%	62	24%	2	1%	187	15	16
2013	201	197	136	69%	60	30%	1	1%	136	7	8
2012	197	192	139	72%	52	27%	1	1%	148	10	12
2011	166	158	111	70%	45	29%	2	1%	107	5	5

ESTADÍSTICA DE DESIGNACIÓN Y AUTORIZACIÓN DE MEDICAMENTOS HUÉRFANOS EN LA UNIÓN EUROPEA (Cont.)

Año	Solicitudes remitidas	Solicitudes evaluadas	Opiniones Positivas	(%)	Solicitudes Retiradas	(%)	Opiniones Negativas Finales	(%)	Designaciones	Fármacos Huérfanos autorizados	Designaciones huérfanas autorizadas ¹
2010	174	176	123	70%	51	29%	2	1%	128	4	4
2009	164	136	113	83%	23	17%	0	0%	106	9	9
2008	119	118	86	73%	31	26%	1	1%	73	6	7
2007	125	117	97	83%	19	16%	1	1%	98	13	13
2006	104	103	81	79%	20	19%	2	2%	80	9	11
2005	118	118	88	75%	30	25%	0	0%	88	4	4
2004	108	101	75	74%	22	22%	4	4%	73	6	6
2003	87	96	54	56%	37	40%	1	1%	55	5	5
2002	80	75	43	57%	32	42%	2	3%	49	4	4
2001	83	90	62	70%	26	29%	1	1%	64	3	3
2000	72	32	26	81%	3	10%	0	0,0%	14	0	0
TOTAL	2.754	2.589	1.860	72%	706	27%	23	1%	1.825	129	143

¹ Indicaciones designadas que están incluidas en los medicamentos huérfanos autorizados.

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/ISCIII/es/contenidos/fd-el-instituto/fd-organizacion/fd-estructura-directiva/fd-subdireccion-general-servicios-aplicados-formacion-investigacion/fd-centros-unidades/instituto-investigacion-enfermedades-raras.shtml>

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

http://www.isciii.es/htdocs/centros/enfermedadesraras/enfermedadesraras_presentacion.jsp

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

http://www.imsero.es/imsero_01/index.htm

FEDERACIÓN ESPAÑOLA DE ENFERMEDADES RARAS (FEDER)

www.enfermedades-raras.org

– ASOCIACIONES DE PACIENTES EN ESPAÑA:

http://www.feder.org.es/asociaciones_listado.php

B) Instituciones y redes europeas

AGENCIA EUROPEA DE MEDICAMENTOS (EMA; EUROPEA MEDICINES AGENCY). 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

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

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>