

Principio activo	Medicamento®	Laboratorio	Autorización	Indicación autorizada	O*	BioSim
			EMA FDA			
NETARSUDIL / LATANOPROST	ROCKLATAN	Aerie Pharms	18/03/2019	* Glaucoma de ángulo abierto e hipertensión ocular		
SOLRIAMFETOL	SUNOSI	Jazz Pharma	20/03/2019	* Narcolepsia y apnea obstructiva del sueño	*	
SIPONIMOD	MAYZENT	Novartis	26/03/2019	* Esclerosis múltiple		
ESKETAMINA	SPRAVATO	Janssen	05/03/2019	* Depresión refractaria		
LUSUTROMBOPAG	LUSUTROMBOPAG SHIONOGI	Shionogi	31/7/2018	* Trombocitopenia asociada a hepatopatía		
NALDEMENIDE	RIZMOIC	Shionogi	18/02/2019	* Estreñimiento debido a opioides		
TRICLABENDAZOL	EGATEN	Novartis	13/02/2019	* Fascioliasis	*	
CAPLACIZUMAB	CABLIVI	Ablynx	06/02/2019	* Púrpura trombótica trombocitopénica	*	

Designación y autorización de medicamentos especiales en la UE

Nuevos medicamentos de 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 advan-

ced 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) nº 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 tera-

pia 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 terapia celular somática en los últimos doce meses

Medicamento	Indicación	Fecha
Linfocitos autólogos infiltradores del tumor expandidos <i>ex vivo</i> y específicos de neo-antígeno	Tumores sólidos	20/09/2019
Linfocitos autólogos infiltradores del tumor	Tumores sólidos	20/09/2019
Células de Müller derivadas de células madre embrionarias humanas	Glaucoma primario de ángulo abierto	27/06/2019
Células progenitoras y hematopoyéticas alogénicas tratadas <i>ex vivo</i> con el dominio de transducción de la proteína de transactivación del VIH-1 fusionada al factor de transcripción MYC	Mielofibrosis y leucemia mielógena aguda	29/05/2019
Células madre alogénicas derivadas de la médula ósea adulta transfectadas transitoriamente con un plásmido que codifica el dominio intracelular de Notch-1 humano	Déficits motores derivados de una lesión cerebral adquirida (lesión cerebral traumática o accidente cerebrovascular isquémico o hemorrágico)	24/04/2019
Células estromales mesenquimales derivadas de la médula ósea alogénicas (de donante humano) tratadas <i>ex vivo</i>	Enfermedad de injerto contra huésped	27/03/2019
Células citotóxicas naturales (<i>natural killer</i>) alogénicas expandidas	Mieloma múltiple	05/02/2019

Clasificación de nuevos productos de ingeniería tisular en los últimos doce meses

Medicamento	Indicación	Fecha
Células mesenquimales derivadas de tejido adiposo	Úlceras del pie diabético	16/10/2019
Células estromales y mesenquimales derivadas de tejido adiposo	Defectos óseos y de cartílago (incluyendo osteoartritis)	16/10/2019
Combinación de plasma rico en plaquetas y fracción estromal vascular	Cicatrización de heridas (como terapia adicional para la cirugía de fistulas perianales complejas y resistente al tratamiento)	16/10/2019
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
Células progenitoras hematopoyéticas CD34+ derivadas de sangre de cordón umbilical alogénicas expandidas <i>ex vivo</i> (para ser empleadas junto con células hematopoyéticas linfoides y mieloides maduras derivadas de sangre de cordón umbilical, alogénicas y no expandidas)	Reconstitución hematopoyética de pacientes clínicamente aptos para un trasplante alogénico de progenitores hematopoyéticos	27/03/2019
Células regenerativas autólogas derivadas de tejido adiposo combinadas con lipoaspirado completo	Atrofia hemifacial progresiva (syndrome de Parry-Romberg)	27/02/2019
Lipoaspirado completo con células regenerativas autólogas derivadas de tejido adiposo	Cicatrices por quemaduras	27/02/2019
Células regenerativas autólogas viables derivadas de tejido adiposo	Cicatrices por quemaduras	27/02/2019
Células nucleadas autólogas de sangre del cordón umbilical	Daño cerebral pediátrico, encefalopatía hipóxico-isquémica y parálisis cerebral	27/02/2019
Producto derivado del cultivo tisular alogénico del timo posnatal	Arritmia congénita (para la reconstitución inmunitaria)	05/02/2019

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 γ-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 Brachyru 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 (<i>transcritas in vitro</i>) que codifican para interferón-α2b, 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 ciclasa 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 α-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 β de CD18 de la integrina humana β2	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
TOTAL	415	396	23	15

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.