

## 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 conteniendo 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.

## Medicamentos huérfanos autorizados en los últimos doce meses

Medicamento	Principio activo	Laboratorio	Autorización	Indicación
Polivy	Polatuzumab vedotina	Roche	16/01/2020	Linfoma difuso de células grandes B refractario o recurrente
Xospata	Gilteritinib	Astellas Pharma	24/10/2019	Leucemia mieloide aguda con mutación de FLT3
Epidyolex	Cannabidiol	GW Pharma	19/09/2019	Epilepsia asociada a los síndromes de Lennox-Gastaut o al de Dravet
Zynteglo	Células CD34+ autólogas y células madre hematopoyéticas transfectadas con el gen beta-A-T87Q-globina	Bluebird Bio	29/05/2019	Beta-talasemia
Palyzniq	Pegvaliasa	Biomarin Int.	03/05/2019	Fenilcetonuria
Waylivra	Volanesorsen	Akcea Therapeutics	03/05/2019	Síndrome de quilomicronemia familiar (hiperlipoproteinemia tipo I)

## Instituciones y redes españolas

- **Instituto de Salud Carlos III (Ministerio de Ciencia e Innovación):**  
**Instituto de Investigación en Enfermedades Raras:**  
<https://www.isciii.es/QuienesSomos/CentrosPropios/IIER/Paginas/default.aspx>  
**CIBERER** (Centro de Investigación Biomédica en Red de Enfermedades Raras): <https://www.ciberer.es/>
- **Instituto de Mayores y Servicios Sociales (IMSERSO, Ministerio de Derechos Sociales y Agenda 2030):**  
[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:** <https://enfermedades-raras.org/index.php/asociaciones/nuestros-socios>

## Instituciones y redes europeas

- **Agencia Europea de Medicamentos (EMA; European Medicines Agency).** Apartado de Medicamentos Huérfanos (inglés): <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview>  
<https://www.ema.europa.eu/en/committees/committee-orphan-medicinal-products-comp>
- **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>

## 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>