

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 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 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 **terapia génica** en los últimos doce meses (cont.)

Medicamento	Indicación	Fecha
Células dendríticas autólogas electroporadas con un ARNm que codifica el antígeno tumoral <i>Wilms tumor-1</i>	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 (transcritas <i>in vitro</i>) que codifican para interferón- α 2b, 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

Clasificación de nuevos **medicamentos combinados de terapia avanzada** en los últimos doce meses

Medicamento	Indicación	Fecha
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Adrenoleucodistrofia, encefalopatía, epilepsia, osteoartritis, polineuropatía, atrofia muscular espinal, ataxia espinocerebelosa.	30/01/2020
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Alopecia areata, trastorno generalizado del desarrollo, infarto cerebral, diabetes, distrofia muscular, atrofia endometrial, esclerosis múltiple, neuropatía óptica, insuficiencia ovárica prematura, retinitis pigmentosa, espina bífida, lesión de la médula espinal, enfermedad de Stargardt.	11/12/2019
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

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

Medicamento	Indicación	Fecha
Condrocitos autólogos en transportador de fibrinógeno	Lesión articular de rodilla	30/01/2020
Condrocitos autólogos en suspensión	Lesión articular de rodilla	30/01/2020
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 fístulas 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 ex vivo (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

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 ceroides tipo 3	Enfermedad CLN3 o de Batten	11/12/2019
Vector viral recombinante adeno-asociado que expresa el gen humano neuronal de lipofuscinosis ceroides 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 <i>naïve</i>	16/10/2019
RNAm transcrito <i>in vitro</i> que codifica para un 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 quimérico (de tipo CD28/CD3-zeta) específico anti-CD19	Varios tipos de cáncer	23/07/2019

Continúa en la página siguiente →

Evolución cronológica de las clasificaciones y evaluaciones de las terapias avanzadas por la EMA

Año	Clasificación de medicamentos		Medicamentos evaluados	
	Remitidos	Adoptados	Remitidos	Favorables
2020	11	10	2	0
2019	70	67	2	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	426	406	26	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.