

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
Células alogénicas mesenquimales estromales derivadas de tejido de cordón umbilical	Enfermedades inflamatorias e inmunológicas (enfermedad aguda de injerto contra huésped, lupus eritematoso sistémico, esclerosis sistémica, síndrome de distrés respiratorio agudo)	11/12/2020
Linfocitos autólogos infiltradores de tumor	Melanoma avanzado	11/12/2020
Células CD34+ derivadas de cordón umbilical expandidas y células CD34- derivadas de cordón umbilical no expandidas	Trasplante de células madre hematopoyéticas	15/10/2020
Células madre endometriales humanas autólogas	Terapia con células madre para la insuficiencia ovárica (que incluye reserva ovárica reducida, fallo ovárico prematuro, insuficiencia ovárica primaria o respuesta ovárica pobre)	15/10/2020
Células madre alogénicas pluripotentes inducidas por irradiación que expresan genes y neoantígenos embrionarios cáncer-específicos	Tumores sólidos, incluyendo todos los cánceres epiteliales en el subgrupo que incluyen una firma de tipo mesenquimatoso del tallo y neoplasias malignas hematopoyéticas	15/10/2020
Linfocitos T reguladores autólogos con los marcadores CD3+, CD4+, CD25alto, CD127- y FoxP3+	Tratamiento y prevención de la progresión de la esclerosis múltiple	15/10/2020
Suspensión de células CD34+ alogénicas derivadas de sangre del cordón umbilical	Trastornos metabólicos hereditarios (adrenoleucodistrofia cerebral, síndrome de Hurler) con indicación de trasplante de células hematopoyéticas	23/07/2020

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

Medicamento	Indicación	Fecha
Aspirado concentrado de célula ósea autólogo	Reparación ósea en una variedad de defectos óseos, tales como fracturas, artroplastia, quistes óseos, osteonecrosis o necrosis avascular	03/03/2021

Medicamento	Indicación	Fecha
Condrocitos articulares humanos autólogos expandidos <i>in vitro</i>	Reparación de defectos del cartílago de espesor completo, localizados y sintomáticos en la rodilla en pacientes con placas de crecimiento epifisario cerradas	03/03/2021
Agregados (de tamaño definido) de células beta pancreáticas secretoras de insulina derivadas de células madre embrionarias	Diabetes mellitus tipo 1	23/07/2020

Clasificación de nuevos productos de terapia génica en los últimos doce meses

Medicamento	Indicación	Fecha
Células T autólogas con un receptor de antígeno quimérico anti-CD19	Neoplasias malignas de células B	01/02/2021
ARN mensajero codificante para la enzima desramificante del glucógeno	Enfermedad de almacenamiento de glucógeno tipo 3	01/02/2021
ARN mensajero codificante para la interleucina-2 humana, unido a un ARN de interferencia dirigido al factor de crecimiento vascular endotelial A	Tumores sólidos	01/02/2021
Delolomogén mupadenorepvec (adenovirus oncolítico que expresa dos transgenes inmunoestimuladores: <i>TMZ-CD40L</i> y <i>4-1BBL</i>)	Cáncer	11/12/2020
Células CD34+ autólogas transducidas con un vector lentiviral para expresar cistinosina	Cistinosis	11/12/2020
Vector viral recombinante adeno-asociado (serotipo 9) que expresa un codón optimizado del transgén humano de la lipofuscinosis-5 cerioide neuronal (CLN-5)	Lipofuscinosis cerioide neuronal tipo 5	16/11/2020
Células CAR-T alogénicas genéticamente modificadas a través de CRISPR/Cas9 para dirigirse específicamente frente a CD70	Carcinoma de células renales y neoplasias malignas hematológicas	15/10/2020
Células T humanas autólogas modificadas <i>ex vivo</i> con un vector lentiviral para expresar un receptor de antígeno quimérico (CAR) dirigido contra el receptor acoplado a proteína G miembro D del grupo 5 de la familia C	Mieloma múltiple en recaída o refracteriedad	15/10/2020
Vector viral recombinante adeno-asociado (serotipo 9) que expresa un codón optimizado del transgén humano de la lipofuscinosis-7 cerioide neuronal (CLN-7)	Lipofuscinosis cerioide neuronal tipo 7	15/10/2020
Vector viral recombinante adeno-asociado (serotipo 9) que expresa el gen <i>ATP7B</i> humano	Enfermedad de Wilson	15/10/2020
Vector viral recombinante adeno-asociado (serotipo 8) que contiene un gen optimizado codificante para la proteína humana de apertura del canal de nucleótidos cíclicos – subunidad alfa 3 (CNGA3)	Acromatopsia debida a mutaciones en el gen <i>CNGA3</i>	18/09/2020
Células T reguladoras naïve autólogas transducidas con un vector lentiviral que codifica para un CAR (receptor de antígeno quimérico) que reconoce el antígeno HLA-A*02	Prevención del rechazo inmunomediado del trasplante renal en pacientes con HLA-A*02 incompatible	18/09/2020
<i>Mycobacterium bovis</i> vivo atenuado y genéticamente modificado para expresar un gen codificante para la listeriolisina de <i>Listeria monocytogenes</i>	Cáncer de vejiga que no invade el músculo	18/09/2020
Vector viral recombinante adeno-asociado que contiene el gen humano de la subunidad beta 3 del canal cerrado de nucleótidos cíclicos (CNGB3)	Acromatopsia causada por mutaciones en el gen <i>CNGB3</i>	26/06/2020
Cepa de <i>Lactococcus lactis</i> genéticamente modificada para secretar pro-insulina e interleucina 10 humanas	Diabetes mellitus de reciente diagnóstico	26/06/2020
Células autólogas CD34+ transducidas con vector lentiviral que codifica el gen de la gamma-globina	Beta talasemia y anemia de células falciformes	26/06/2020
Células madre hematopoyéticas autólogas transducidas con un vector lentiviral que codifica el gen humano de la alfa-galactosidasa	Enfermedad de Fabry	26/06/2020
Células madre hematopoyéticas autólogas transducidas con un vector lentiviral que codifica el gen humano de la glucocerebrosidasa	Enfermedad de Gaucher	26/06/2020
Matriz activada de octocalcio y un plásmido que expresa el gen VEG-A	Varias patologías óseas	28/05/2020
Vector viral recombinante adeno-asociado que contiene el gen humano de beta-sarcoglicano	Distrofia muscular tipo 2E de la cintura	28/05/2020
Células autólogas CD34+ transducidas con vector lentiviral que codifica el gen del IL-2R	Inmunodeficiencia severa combinada ligada al cromosoma X	06/05/2020

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

Medicamento	Indicación	Fecha
Páncreas biónico bioimpreso en 3D compuesto por islotes de Langerhans y matriz no-viable imprimible derivada de porcino más vasos sanguíneos descelularizados derivados de porcino	Pancreatitis crónica tardía	11/12/2020
Páncreas biónico bioimpreso en 3D compuesto por células liberadoras de insulina y glucagón y matriz no-viable imprimible derivada de porcino más vasos sanguíneos descelularizados derivados de porcino	Diabetes tipo I frágil	11/12/2020
Células madre mesenquimales autólogas derivadas de tejido adiposo	Síndrome del pie diabético	16/11/2020
Células madre mesenquimales autólogas derivadas de tejido adiposo	Lesiones de cartílago	23/07/2020
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Síndrome cerebeloso, encefalitis, enfermedad de Krabbe, meningitis, meningiomelocle, mielitis, osteoartritis, atrofia muscular bulbar y espinal	23/07/2020
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Infección por SARS-CoV-2 (COVID-19), atrofia óptica, ictiosis folicular con alopecia y síndrome de fotofobia, rechazo primario o repetido de trasplante de médula ósea, parálisis supranuclear progresiva, atrofia multisistémica	26/06/2020
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Epilepsia resistente a fármacos, enfermedad de Behçet, clorideremia, síndrome alcohólico fetal, demencia frontotemporal, parálisis bulbar progresiva, degeneración macular viteliforme	28/02/2020
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Adrenomieloneuropatía	06/05/2020

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

Año	Clasificación de medicamentos		Medicamentos evaluados	
	Remitidos	Adoptados	Remitidos	Favorables
2021	15	4	0	0
2020	74	87	8	3
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	504	487	32	18