

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
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
Agregados (de tamaño definido) de células beta pancreáticas secretoras de insulina derivadas de células madre embrionarias	Diabetes mellitus tipo 1	23/07/2020
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

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

Medicamento	Indicación	Fecha
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 (<i>CNGB3</i>)	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
Vector viral adeno-asociado de serotipo 5 que expresa el gen humano de la GTPasa regular de la retinitis pigmentosa (<i>RPGR</i>)	Retinitis pigmentosa debida a defectos en el gen <i>RPGR</i> y ligada al cromosoma X	28/02/2020
Vector viral adeno-asociado de serotipo 9 que expresa el gen humano de la aspartilglucosaminidasa (<i>AGA</i>) con los codones optimizados	Aspartilglucosaminuria debida a una mutación con pérdida de función del gen <i>AGA</i>	28/02/2020
Vector viral recombinante adeno-asociado que expresa el gen humano neuronal de lipofuscinosis ceroid tipo 3	Enfermedad CLN3 o de Batten	11/12/2019
Vector viral recombinante adeno-asociado que expresa el gen humano neuronal de lipofuscinosis ceroid 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 transcrito <i>in vitro</i> que codifica para un factor de crecimiento-1 similar a la insulina	Lesión musculoesquelética	16/10/2019

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

Medicamento	Indicación	Fecha
Células madre mesenquimales derivadas de tejido adiposo autólogo	Lesiones de cartílago	23/07/2020
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Síndrome cerebeloso, encefalitis, enfermedad de Krabbe, meningitis, meningiomielocel, 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 ftofobia, rechazo primario o repetido de trasplante de médula ósea, parálisis supranuclear progresiva, atrofia multisistémica	26/06/2020

Medicamento	Indicación	Fecha
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	28/05/2020
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Adrenomieloneuropatía	06/05/2020
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Degeneración macular asociada a la edad, trastornos coriorretinianos, incapacidad de regeneración de huesos fracturados, epidermolisis bullosa, encefalopatía hipóxica-isquémica.	28/02/2020
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

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	64	71	5	1
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	479	467	29	16

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.