

# 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 T citotóxicos autólogos específicos de antígeno	Cánceres que sobreexpresan el antígeno específico	23/04/2021
Células dendríticas autólogas activadas contra péptidos tumorales	Cáncer	23/04/2021
Macrófagos M1 autólogos	Cáncer	23/04/2021
Células Natural Killer citotóxicas autólogas	Cáncer	23/04/2021
Células plasmáticas autólogas que producen anticuerpos monoclonales contra un antígeno tumoral específico	Cáncer	23/04/2021
Células dendríticas autólogas activadas contra péptidos del virus SARS-CoV-2	Prevención de la infección por SARS-CoV-2	30/03/2021
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

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
Aspirado concentrado de célula ósea autólogo	Reparación ósea en una variedad de defectos óseos (fracturas, artroplastia, quistes óseos, osteonecrosis o necrosis avascular)	03/03/2021
Condrocitos articulares humanos autólogos expandidos <i>in vitro</i>	Reparación de defectos del cartílago de espesor competo, 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
Dos ARNm que codifican para las proteínas E6 y E7 del virus del papiloma humano (VPH)	Carcinoma recurrente/metastásico VPH16+	30/03/2021
Plásmido de ADN que codifica para el gen de transferencia humano	Retinitis pigmentosa	30/03/2021
Exosomas derivados de cordón umbilical humano que contienen ARNm y proteína hTERT recombinante, hsa-miR-125b-5p, hsa-miR-125b-1-3p, AntimiR-21-5p	Enfermedad pulmonar obstructiva crónica y síndrome de dificultad respiratoria aguda	30/03/2021
Cóctel de bacteriófagos compuesto por cuatro fagos armados con CRISPR	Profilaxis de la infección por <i>E. coli</i> del torrente sanguíneo en pacientes neutropénicos con neoplasia hematológica	30/03/2021
Células T autólogas con un receptor de antígeno químérico 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
Delolimogén mupadenorepvec (adenovirus oncolítico que expresa dos transgenes inmunoestimuladores: TMZ-CD40L y 4-1BBL)	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 ceroide neuronal (CLN-5)	Lipofuscinosis ceroide 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 químérico (CAR) dirigido contra el receptor acoplado a proteína G miembro D del grupo 5 de la familia C	Mieloma múltiple en recaída o refractariedad	15/10/2020
Vector viral recombinante adeno-asociado (serotipo 9) que expresa un codón optimizado del transgén humano de la lipofuscinosis-7 ceroide neuronal (CLN-7)	Lipofuscinosis ceroide neuronal tipo 7	15/10/2020
Vector viral recombinante adeno-asociado (serotipo 9) que expresa el gen ATP7B humano	Enfermedad de Wilson	15/10/2020

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 CNGA3	18/09/2020
Células T reguladoras naïve autólogas transducidas con un vector lentiviral que codifica para un CAR (receptor de antígeno químico) que reconoce el antígeno HLA-A*02	Prevención del rechazo inmunomediado del trasplante renal en pacientes con HLA-A*02 incompatible	18/09/2020
Mycobacterium bovis 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 CNGB3	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
Células madre mesenquimales humanas alogénicas derivadas de la gelatina de Wharton	Fístula anal, alopecia androgénica inespecífica, síndrome del pie diabético, enfermedades musculares y tendinosas, enfermedad de Parkinson	30/03/2021
Células madre mesenquimales humanas alogénicas derivadas de la gelatina de Wharton sembradas en la estructura dérmica	Úlceras cutáneas	30/03/2021
Células madre mesenquimales humana autólogas derivadas del tejido adiposo	Fístula anal, alopecia androgénica inespecífica, enfermedades musculares y tendinosas	30/03/2021
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, meningomielocele, 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

Medicamento	Indicación	Fecha
Células madre mesenquimales viables y alogénicas derivadas de gelatina de Wharton	Epilepsia resistente a fármacos, enfermedad de Behçet, cloroideremia, 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	21	26	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
<b>TOTAL</b>	<b>520</b>	<b>509</b>	<b>32</b>	<b>18</b>

## 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.