

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 estromales mesenquimales alogénicas, derivadas de tejido adiposo y expandidas <i>ex-vivo</i>	Osteoartritis de rodilla	17/12/2021
Precusores de células T alogénicas, derivadas de sangre periférica y cultivadas <i>ex-vivo</i>	Aceleración de la reconstitución hematológica en adultos o niños que han recibido trasplante de células madre hematopoyéticas	17/12/2021
Células CD31+ aisladas	Disfunción eréctil	18/10/2021
Células autólogas renales seleccionadas	Enfermedad renal crónica	16/09/2021
Células <i>Natural Killer</i> citotóxicas alogénicas cargadas con anticuerpo monoclonal anti-CD20	Linfoma no Hodgkin de células B	16/09/2021
Células derivadas de líneas celulares leucémicas mielomonocíticas, con fenotipo de células dendríticas maduras, a las que se les ha detenido su proliferación	Leucemia mieloide aguda	24/06/2021
Células presentadoras de antígeno autólogas cargadas con antígeno SARS-CoV-2	Vacunación frente a SARS-CoV-2	28/05/2021

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

Medicamento	Indicación	Fecha
Células osteogénicas no viables de la matriz extracelular derivadas de células madre de tejido adiposo humano, asociadas con partículas de hidroxiapatita/fosfato de beta-tricalcio (HA/ β TCP)	Estimulación de la regeneración ósea en patologías con hueso hipóxico y/o necrótico	18/10/2021
Células endoteliales corneales alogénicas en una monocapa confluyente adherida a una lámina en forma de córnea de colágeno reticulado	Disfunción corneal	24/06/2021
Células endoteliales del cordón umbilical humano (CD31+) alogénicas, expandidas, diseñadas con ingeniería E4ORF1+	Nichos vasculares de órganos causadas por quimioterapia mieloablativa de dosis alta no penetrante en el sistema nervioso central (HDT) en pacientes con linfoma sistémico agresivo	24/06/2021
Condrocitos autólogos cultivados	Reparación de defectos del cartílago	28/05/2021

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

Medicamento	Indicación	Fecha
Virus recombinante adenoasociado de serotipo 2 que contiene un gen optimizado codificante para ND4	Neuropatía hereditaria óptica de Leber	17/12/2021
Células CAR-T transducidas por un vector lentiviral	Leucemia linfoblástica aguda y linfomas no Hodgkin de células B	17/12/2021
Virus adenoasociado recombinante de serotipo HSC 15 (rAAVHSC15) que expresa la proteína iduronato-2-sulfatasa humana	Mucopolisacaridosis de tipo II (síndrome de Hunter)	18/10/2021
ADN optimizado para codificar la secuencia de interés <i>COL7A1</i>	Epidermolisis bullosa distrófica	18/10/2021
Virus adenoasociado del serotipo 9 recombinante que codifica un transgén de la galactosilceramidasa humana con codón optimizado	Enfermedad de Krabbe	16/09/2021
Células HEK293 transfectadas con un vector lentiviral para expresar el antígeno tumoral de Wilms (WT1) y la molécula presentadora de antígeno, cluster of differentiation 1d	Tumores que expresan el antígeno WT1	16/09/2021
Nanopartícula basada en un vector lentiviral no pseudotipado (calvo) que codifica para un CAR anti-CD19 encapsulado	Neoplasia maligna de células B CD19 +	22/07/2021
Células T autólogas modificadas genéticamente <i>ex vivo</i> utilizando un cromosoma sintético que codifica para CCR6, IL-2, una versión truncada de CD34 y dos interruptores de seguridad de inducción independientes	Tumores sólidos en los que se puede identificar un ganglio linfático con drenaje (cáncer de colon y de vejiga urinaria)	22/07/2021
Adenovirus oncolítico	Neoplasia neuroendocrina progresiva confirmada histológica y radiológicamente de origen gastrointestinal, pancreático o bronquial con múltiples metástasis hepáticas	28/05/2021
Plásmido de ADN que codifica varios neoepítomos del tumor de un paciente, portado por un virus Vaccinia modificado de tipo salvaje Ankara y un anticuerpo monoclonal contra la proteína 4 asociada a linfocitos T citotóxicos	Cáncer	28/05/2021
Virus adenoasociado recombinante que codifica la proteína α -sarcoglicano humana	Distrofia muscular de cinturas tipo 2D / R3	28/05/2021

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

Medicamento	Indicación	Fecha
Células madre mesenquimales/estromales derivadas de tejido adiposo autólogo	Esclerosis lateral amiotrófica	18/10/2021
Células madre mesenquimales adiposas autólogas	Defectos del cartílago de origen degenerativo y tratamiento de la osteoartritis	16/09/2021
Células madre mesenquimales derivadas de la gelatina de Wharton	Artritis reumatoide, lupus eritematoso sistémico y esclerosis sistémica	16/09/2021
Células madre mesenquimales humanas alogénicas derivadas de la gelatina de Wharton	Aterosclerosis de las arterias de las extremidades inferiores	22/07/2021
Células madre mesenquimales criopreservadas autólogas expandidas ex vivo derivadas de la gelatina de Wharton	Displasia broncopulmonar en bebés prematuros	24/06/2021
Células madre mesenquimales humanas alogénicas derivadas de la gelatina de Wharton	Fibrosis pulmonar idiopática y tras COVID-19	24/06/2021
Células madre mesenquimales autólogas combinadas con una matriz precargada con BMP2	Lesión osteocondral femoral (grado III a IV)	28/05/2021

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	66	61	3	2
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	555	544	35	20