

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
Precursores 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

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

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

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

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