

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.

La siguiente tabla recoge los medicamentos de terapia avanzada que han recibido autorización de comercialización en la UE durante en los últimos 10 años (2012-2022).

Medicamentos de terapia avanzada aprobados en la UE en los últimos 10 años

Medicamento®	Tipo de terapia avanzada	Indicación	Fecha de autorización	Huérfano	Observaciones
MACI	Medicamento de ingeniería tisular combinada con terapia avanzada	Lesiones del cartílago de la rodilla de superficie de 3 a 20 cm ²	27/06/2013	No	Autorización de comercialización no renovada (finalizada en junio de 2018)
PROVENGE	Medicamento de terapia celular	Cáncer de próstata metastásico resistente a la castración asintomático o mínimamente sintomático	06/09/2013	No	Autorización de comercialización retirada en mayo de 2015
HOLOCLAR	Medicamento de ingeniería tisular	Deficiencia moderada a grave de células madre limbares por quemaduras oculares por agentes físicos o químicos	17/02/2015	Sí	
IMLYGIC	Medicamento de terapia génica	Melanoma irresecable metastásico con afectación regional, o a distancia y sin metástasis	16/12/2015	No	
STRIMVELIS	Medicamento de terapia génica	Inmunodeficiencia combinada grave debida a la deficiencia de adenosin deaminasa	26/05/2016	Sí	
ZALMOXIS	Medicamento de terapia celular	Ayudante en el trasplante de células madre hematopoyéticas haploideénticas en pacientes con neoplasias hematológicas de alto riesgo	18/08/2016	Sí	Autorización de comercialización retirada en octubre de 2019
SPHEROX	Medicamento de ingeniería tisular	Reparación de lesiones sintomáticas del cartílago articular del cóndilo femoral y la rótula de la rodilla	10/07/2017	No	
ALOFISEL	Medicamento de terapia celular	Fístulas perianales complejas en pacientes con enfermedad de Crohn luminal inactiva o leve	23/03/2018	Sí	

Medicamentos de terapia avanzada aprobados en la UE en los últimos 10 años (cont.)

Medicamento®	Tipo de terapia avanzada	Indicación	Fecha de autorización	Huérfano	Observaciones
YESCARTA	Medicamento de terapia génica	Linfoma B difuso de células grandes refractario o en recaída y linfoma B primario mediastínico de células grandes	23/08/2018	Sí	PRIME*
KYMRIAH	Medicamento de terapia génica	Leucemia linfoblástica aguda de células B, linfoma B difuso de célula grande y linfoma folicular	23/08/2018	Sí	PRIME*
LUXTURN A	Medicamento de terapia génica	Pérdida de visión debido a una distrofia retiniana hereditaria asociada a la mutación RPE65 bialélica confirmada	22/11/2018	Sí	
ZYNTEGLO	Medicamento de terapia génica	β -talasemia dependiente de transfusión (TDT) que no tienen un genotipo β^0/β^0	29/05/2019	Sí	PRIME* Autorización de comercialización retirada en marzo de 2022
ZOLGENSMA	Medicamento de terapia génica	Atrofia muscular espinal en 5q con mutación bialélica en el gen <i>SMN1</i> , o con mutación bialélica en el gen <i>SMN1</i> y hasta 3 copias del gen <i>SMN2</i>	18/05/2020	Sí	PRIME*
LIBMELDY	Medicamento de terapia génica	Leucodistrofia metacromática por mutaciones paralelas en el gen de la arilsulfatasa A	17/12/2020	Sí	
TECARTUS	Medicamento de terapia génica	Linfoma de células del manto refractario o en recaída	14/12/2020	Sí	PRIME*
SKYSONA	Medicamento de terapia génica	Adrenoleucodistrofia cerebral inicial en pacientes con una mutación genética en <i>ABCD1</i>	16/07/2021	Sí	PRIME* Autorización de comercialización retirada en noviembre de 2021
ABECMA	Medicamento de terapia génica	Mieloma múltiple en recaída y refractario	18/08/2021	Sí	PRIME*
BREYANZI	Medicamento de terapia génica	Linfoma B difuso de células grandes en recaída o refractario, linfoma B primario mediastínico de células grandes y linfoma folicular de grado 3B	04/04/2022	No	PRIME*
CARVYKTI	Medicamento de terapia génica	Mieloma múltiple en recaída y refractario	25/05/2022	Sí	PRIME*
UPSTAZA	Medicamento de terapia génica	Deficiencia de L-aminoácido aromático descarboxilasa y fenotipo grave	18/07/2022	Sí	
ROCTAVIAN	Medicamento de terapia génica	Hemofilia A	24/08/2022	Sí	
EBVALLO	Medicamento de terapia celular	Trastorno linfoproliferativo postrasplante positivo a virus de Epstein-Barr recidivante o refractario	16/12/2022	Sí	PRIME*
HEMGENIX	Medicamento de terapia génica	Hemofilia B	Opinión positiva – diciembre 2022	Sí	PRIME* Decisión de la Comisión pendiente

*PRIME (PRiority MEdicines scheme): esquema de medicamentos prioritarios que se estableció en marzo de 2016 para dar un apoyo científico y regulatorio, temprano y más eficaz, a los medicamentos que tienen el potencial de abordar de manera significativa necesidades médicas no cubiertas de ciertos grupos de pacientes.

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

Año	Clasificación de medicamentos		Medicamentos evaluados	
	Remitidos	Adoptados	Remitidos	Favorables
2023	5	7	0	0
2022	51	46	1	6
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	611	597	36	26

Medicamentos de terapia avanzada aprobados en el periodo 2009-2022

