

# 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 (2013-2023).

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

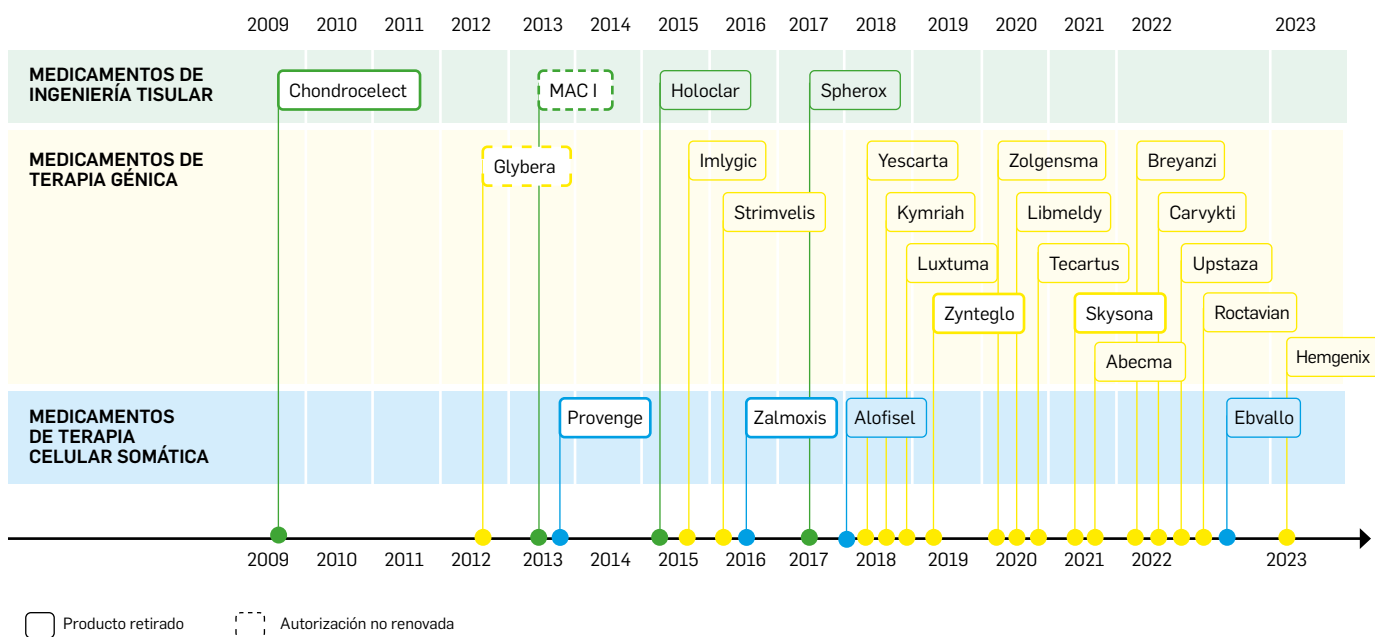
Medicamento®	Tipo de terapia avanzada	Indicación	Fecha de autorización	Huérfano	Observaciones
<b>HOLOCLAR</b>	Medicamento de ingeniería tisular	Deficiencia moderada a grave de células madre limbares por quemaduras oculares por agentes físicos o químicos	17/02/2015	Sí	
<b>IMLYGIC</b>	Medicamento de terapia génica	Melanoma irreseccable metastásico con afectación regional, o a distancia y sin metástasis	16/12/2015	No	
<b>STRIMVELIS</b>	Medicamento de terapia génica	Inmunodeficiencia combinada grave debida a la deficiencia de adenosin deaminasa	26/05/2016	Sí	
<b>ZALMOXIS</b>	Medicamento de terapia celular	Adyuvante en el trasplante de células madre hematopoyéticas haploidenticas en pacientes con neoplasias hematológicas de alto riesgo	18/08/2016	Sí	Autorización de comercialización retirada en octubre de 2019
<b>SPHEROX</b>	Medicamento de ingeniería tisular	Reparación de lesiones sintomáticas del cartilago articular del cóndilo femoral y la rótula de la rodilla	10/07/2017	No	
<b>ALOFISEL</b>	Medicamento de terapia celular	Fístulas perianales complejas en pacientes con enfermedad de Crohn luminal inactiva o leve	23/03/2018	Sí	
<b>YESCARTA</b>	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*
<b>KYMRIAH</b>	Medicamento de terapia génica	Leucemia linfoblástica aguda de células B, linfoma B difuso de célula grande y linfoma folicular	23/08/2018	Sí	PRIME*

Continúa en la página siguiente →

Medicamento®	Tipo de terapia avanzada	Indicación	Fecha de autorización	Huérfano	Observaciones
LUXTURNA	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	$\beta$ -talasemia dependiente de transfusión (TDT) que no tienen un genotipo $\beta^0/\beta^0$	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	20/02/2023	Sí	PRIME*

\*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.

## Medicamentos de terapia avanzada aprobados en el periodo 2009-2023



## 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.

### Nuevos medicamentos huérfanos autorizados en los últimos doce meses

Medicamento®	Principio activo	Laboratorio	Autorización	Indicación
Rezzayo	Rezafungina	Mundipharma GmbH	22/12/2023	Candidiasis invasiva en adultos
Loargys	Pegzilarginasa	Immedica Pharma	15/12/2023	Deficiencia de arginasa 1 (ARG1-D)
Agamree	Vamorolona	Santhera Pharmac.	14/12/2023	Distrofia muscular de Duchenne
Tepkinly	Eporitamab	AbbVie	22/09/2023	Linfoma difuso de células grandes B
Tevimbra	Tislelizumab	Novartis	15/09/2023	Carcinoma esofágico de células escamosas
Talvey	Talquetamab	Janssen-Cilag	21/08/2023	Mieloma múltiple en recaída y refractario
Ztalmy	Ganaxolona	Marinus Pharm,	26/07/2023	Crisis epilépticas en trastorno por déficit de CDKL5
Hyftor	Sirolimus	Plusultra pharma GmbH	15/05/2023	Angiofibroma y esclerosis tuberosa
Tibsovo	Ivosidenib	Servier	04/05/2023	Leucemia mieloide aguda y colangiocarcinoma
Hemgenix	Etranacogén dezaparvovec	CSL Behring	20/02/2023	Hemofilia B