

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 (2014-2024).

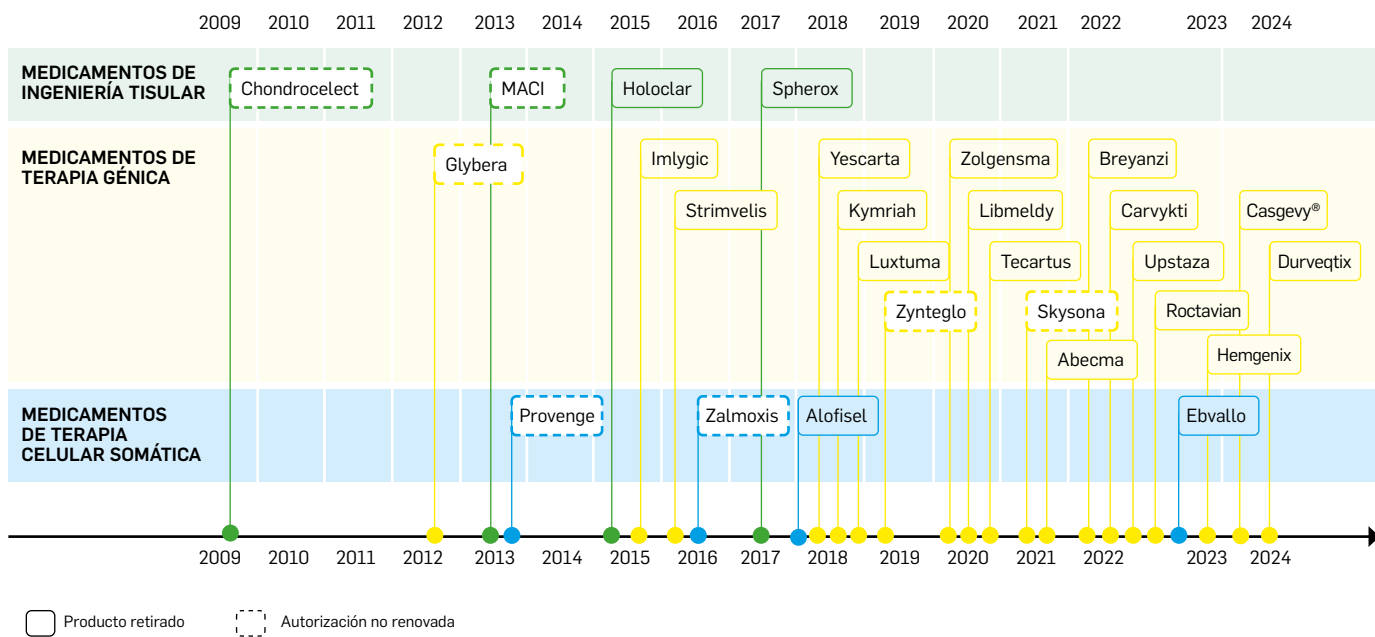
Medicamentos de terapia avanzada aprobados en la UE en los últimos 10 años

Medicamento®	Tipo de terapia avanzada	Indicación	Fecha de autorización	Huérfano	Observaciones
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 irreseccable 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	Aduvante en el trasplante de células madre hematopoyéticas haploidénticas 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 cartilago 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	
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*

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	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	PRIME*
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*
CASGEVY	Medicamento de terapia génica	Beta talasemia y anemia de células falciformes	09/02/2024	Sí	PRIME*
DURVEQTIX	Medicamento de terapia génica	Hemofilia B	24/07/2024	No	PRIME*

*PRIME (*PRI*ority *ME*dicines 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 2009-2024



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
Vyloy	Zolbetuximab	Astellas Pharma	19/09/2024	Adenocarcinoma gástrico o de la unión gastroesofágica HER2 negativo
Iqirvo	Elafibránor	Ipsen Pharma	19/09/2024	Colangitis biliar primaria
Winrevair	Sotatercept	Merck	22/08/2024	Hipertensión arterial pulmonar
Adzynma	Versión recombinante de ADAMTS13 (apadamtasa α y cinaxadamtasa α)	Takeda	01/08/2024	Púrpura trombótica trombocitopénica congénita
Qalsody	Tofersén	Biogen	29/05/2024	Esclerosis lateral amiotrófica asociada a mutación en el gen SOD
Fabhalta	Iptacopán	Novartis	17/05/2024	Hemoglobinuria paroxística nocturna
Filspari	Esparsentán	Vifor France	19/04/2024	Nefropatía primaria por IgA