

Panel: Retos y aprendizajes de la
transferencia tecnológica para el desarrollo
de la terapia celular en países de medianos a
bajos ingresos

Dr Joan Garcia Lopez

EXPERIENCIA BANC DE SANG I TEIXITS

- El sector público, por sus características y misión debe colaborar en beneficio de los pacientes y la sociedad
- BST está abierto a la colaboración con Instituciones de dentro y fuera de España y con gobiernos de otros países.
- En programas:
 - Gubernamentales
 - Institucionales
 - Organizaciones
 - Sociedades científicas
 - Fomación “Ad personam”

EXPERIENCIA BANC DE SANG I TEIXITS

Àreas de conocimiento:

- Banco de Sangre (procesos)
- Inmunohematología
- Inmunología
- Banco de Sangre de Cordón
- Banco de Tejidos
- Banco de Leche Materna
- Terapia celular
- Terapia celular avanzada
- Educación

EXPERIENCIA BANC DE SANG I TEIXITS

Terapia Celular y Avanzada

- Consorcios de investigación (co-desarrollo)
- Convenios de colaboración y transferencia tecnológica
- Restricciones
 - Aseguramiento de Calidad
 - Regulatorias (cuando es posible la TT?)
 - PI compartida
 - Económicas (?)
- Necesidad de creación de un marco de actuación. Papel de las Sociedades Científicas

Regulación UE

- Directiva 2001/83/CE: Código comunitario de medicamentos
- Reglamento 726/2004/CE: Evaluación y autorización centralizada medicamentos
- **Reglamento 1394/2007/CE sobre medicamentos de terapia avanzada**
- Directiva 2009/120/CE: Requerimientos científicos y técnicos específicos dossier MTA

10.12.2007

ES

Diario Oficial de la Unión Europea

L 324/121

REGLAMENTO (CE) Nº 1394/2007 DEL PARLAMENTO EUROPEO Y DEL CONSEJO

de 13 de noviembre de 2007

sobre medicamentos de terapia avanzada y por el que se modifican la Directiva 2001/83/CE
y el Reglamento (CE) nº 726/2004

(Texto pertinente a efectos del EEE)

Reglamento 1394/2007/CE

Medicamento de terapia génica

Contiene o consiste en un ácido nucleico recombinante, con objeto de regular, reparar, sustituir, añadir o eliminar una secuencia génica

El efecto terapéutico, profiláctico o diagnóstico depende directamente de la secuencia del ácido nucleico recombinante que contenga o del producto de su expresión genética

Medicamento de terapia celular somática

Contiene o consiste en células o tejidos que han sido objeto de manipulación sustancial O por células o tejidos que no se pretende destinar a la misma función esencial en el receptor y en el donante

Para tratar, prevenir o diagnosticar una enfermedad mediante la acción farmacológica, inmunológica o metabólica de sus células o tejidos.

Producto de ingeniería tisular

Contiene o está formado por células o tejidos manipulados por ingeniería

Y

Se emplea o se administra a las personas para regenerar, restaurar o reemplazar un tejido humano

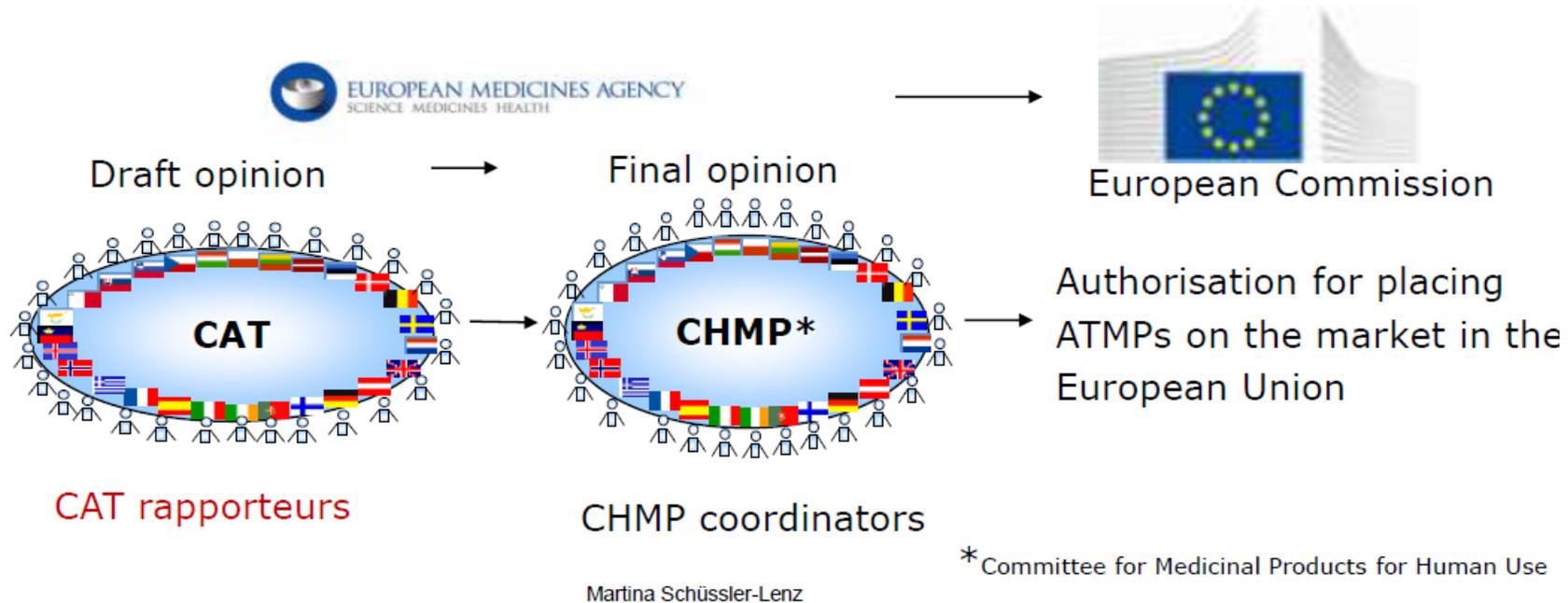
Incorpora, como parte integrante del mismo, uno o más productos sanitarios ("medical devices")

Medicamento combinado de terapia avanzada

Evaluación solicitudes autorización

EMA Committee for Advanced Therapies (CAT)

Quality, safety, efficacy -> positive benefit-risk assessment



Acceso temprano a medicamentos

- Evaluación acelerada
 - Medicamento de interés para la salud pública, innovación terapéutica para una necesidad médica no cubierta
 - Reducción del tiempo de evaluación EMA de 210 a 150 días
- Autorización condicional
 - Antes de la recogida completa de datos de seguridad y eficacia
 - La evidencia deberá completarse tras la autorización en los plazos acordados
 - Válida 1 año (renovable)
 - Medicamentos huérfanos, enfermedades seriamente debilitantes, situaciones de emergencia

Acceso temprano a medicamentos

- Autorización bajo circunstancias excepcionales
 - Sin disponer de datos completos de eficacia y seguridad (sí suficientes)
 - Enfermedades muy raras, no se espera se pueda aportar evidencia completa o hacerlo iría en contra de los principios éticos generalmente aceptados
 - Obligación de seguimiento de la seguridad del producto y notificación de cualquier incidente relacionado con su uso.
- Exención Hospitalaria
- Reglamento 1394/2007/CE excluye de su ámbito de aplicación MTA:
 - preparados ocasionalmente
 - de acuerdo con normas de calidad específicas
 - empleados en un mismo Estado miembro, en una institución hospitalaria y bajo la responsabilidad profesional exclusiva de un médico colegiado
 - con el fin de cumplir una prescripción facultativa individual de un producto hecho a medida destinado a un solo paciente
 - Autorización por las autoridades competentes nacionales de los EM de la UE

MTA autorizados en la UE (a junio 2022)

Nombre	Titular comercialización	Indicación	Año autorización	Situación
1. <i>ChondroCelect</i>	TiGenix	Defectos del cartilago	2009	RETIRADO (2016)
2. <i>Glybera</i>	Uniqure	Deficiencia lipoprotein lipasa	2012	NO RENOVACIÓN (2017)
3. <i>MACI</i>	Vericel	Defectos del cartilago	2013	NO RENOVACIÓN (2018)
4. <i>Provenge</i>	Dendreon	Cáncer próstata metastásico	2013	RETIRADO (2015)
5. <i>Holoclar</i>	Holostem	Deficiencia severa células limbares oculares	2015	AUTORIZADO (CONDICIONAL)
6. <i>Imlygic</i>	Amgen	Melanoma	2015	AUTORIZADO
7. <i>Strimvelis</i>	Orchard Therapeutics	Inmunodeficiencia combinada severa por déficit ADA	2015	AUTORIZADO
8. <i>Zalmoxis</i>	MolMed	Tratamiento TPH en elevado riesgo neoplasias hematológicas	2016	RETIRADO (2019)
9. <i>Spherox</i>	CO.DON	Defectos del cartilago de la rodilla	2017	AUTORIZADO
10. <i>Alofisel</i>	Takeda	Fístulas perianales enfermedad Crohn	2018	AUTORIZADO
11. <i>Kymriah</i>	Novartis	Leucemia linfática aguda, linfoma de células B	2018	AUTORIZADO
12. <i>Yescarta</i>	Kite Pkarma	Linfoma de células B	2018	AUTORIZADO
13. <i>Luxturna</i>	Novartis	Pérdida de visión por distrofia retiniana heredada mutación RPE65	2018	AUTORIZADO
14. <i>Zynteglo</i>	Bluebird Bio	Beta talasemia	2019	AUTORIZADO (CONDICIONAL)
15. <i>Zolgensma</i>	Novartis	Atrofia Muscular Espinal	2020	AUTORIZADO (CONDICIONAL)
16. <i>Tecartus</i>	Kite Pharma	Linfoma células del manto	2020	AUTORIZADO (CONDICIONAL)
17. <i>Libmeldy</i>	Orchard Therapeutics	Leucodistrofia metacromática	2020	AUTORIZADO
18. <i>Skysona</i>	Bluebird Bio	Adrenoleucodistrofia cerebral	2021	RETIRADO (2021)
19. <i>Abecma</i>	BMS	Mieloma Múltiple	2021	AUTORIZADO (CONDICIONAL)
20 <i>Breyanzi</i>	BMS	Linfoma de células B	2022	AUTORIZADO
21. <i>Carvykti</i>	Janssen	Mieloma Múltiple	2022	AUTORIZADO (CONDICIONAL)
22. <i>Roctavian</i>	Biomarin	Hemofilia A	2022	OPINIÓN + CHMP (CONDICIONAL)

- Medicamento de terapia génica
- Medicamento de terapia celular somática
- Producto de ingeniería tisular
- Medicamento combinado de TA