

Comités de la EMA: Comité de Terapias Avanzadas (CAT)

Introducción

El Comité de Terapias Avanzadas (CAT) de la Agencia Europea de Medicamentos (EMA) evalúa la calidad, seguridad y eficacia de los medicamentos de terapia avanzada. Los medicamentos de terapia avanzada son medicamentos de uso humano producidos a partir de genes y células o tejidos e incluyen los medicamentos para la terapia génica, los medicamentos para la terapia celular somática, los medicamentos de ingeniería de tejidos y los tratamientos combinados. En el siguiente artículo se incluye más información sobre los medicamentos de terapia avanzada y se analizan los conceptos reglamentarios y la legislación de las actividades del CAT.

Comité de Terapias Avanzadas (CAT) de la EMA

Los medicamentos de terapia avanzada pueden ofrecer nuevas posibilidades de tratamiento para diversas enfermedades, como la enfermedad de Alzheimer, el cáncer, las enfermedades genéticas (como la distrofia muscular) o las lesiones cutáneas por quemaduras.

Hay cuatro grupos principales de medicamentos de terapia avanzada:

- **Medicamentos de terapia génica**

Los medicamentos de terapia génica contienen genes que producen un efecto terapéutico. En el caso de los medicamentos para la terapia génica, se introducen genes «recombinantes» en las células utilizando frecuentemente

un virus como vector (vehículo usado para transferir material genético a una célula objetivo). Un gen recombinante es un segmento de ADN que se produce en el laboratorio combinando ADN de distintos orígenes. Cuando el gen entra en las células del paciente, estas producen una proteína que puede reducir la progresión o curar una serie de enfermedades, como alteraciones genéticas, cáncer o enfermedades de larga duración.

- **Medicamentos para a terapia celular somática**

Los medicamentos para la terapia celular somática contienen células (asexuales) o tejidos manipulados para modificar sus características biológicas. Se pueden usar para curar, diagnosticar o prevenir enfermedades. Un ejemplo de a terapia celular somática es el uso de células cancerosas manipuladas para combatir las células cancerosas restantes del organismo.

- **Medicamentos de ingeniería de tejidos**

Los medicamentos de ingeniería de tejidos contienen células o tejidos manipulados genéticamente (modificados considerablemente) para poder usarlos con el fin de reparar, regenerar o reemplazar tejido. Un ejemplo de medicamento de ingeniería de tejidos es la piel artificial usada para tratar a los pacientes con quemaduras.

- **Medicamentos combinados de terapia avanzada**

Los medicamentos combinados de terapia avanzada contienen uno o varios productos sanitarios como parte fundamental del tratamiento.

Estos tratamientos pueden ser muy beneficiosos para los pacientes, ya que las tecnologías aplicadas pueden tener efectos positivos a largo plazo. Pueden ser eficaces para los pacientes y reducir los costes de gestión sanitaria a largo plazo.

Aunque las expectativas son enormes, los tratamientos avanzados también se asocian a lo siguiente:

- **Nuevos riesgos considerables:**

- Riesgo de infección por virus en caso de reactivación de un vector vírico
- Riesgo de cáncer
- Riesgo de exposición accidental de los profesionales sanitarios y los cuidadores al tratamiento

- **Problemas éticos:**

- Violación de los derechos de los donantes vivos por falta de información
- Administración de productos no comprobados o seguros con células (madre) a los pacientes

Los tratamientos avanzados suelen ser desarrollados por pequeñas compañías o unidades de investigación de los hospitales. La legislación de la UE ofrece incentivos para promover la investigación y el desarrollo de tratamientos avanzados mediante la reducción de las tarifas de asesoramiento científico de la EMA. Hay una serie de procedimientos reglamentarios nuevos para los diseñadores de medicamentos de terapia avanzada (clasificación y certificación de medicamentos de terapia avanzada).

Conceptos reglamentarios y legislación aplicable

Desde el año 2008, todos los medicamentos de terapia avanzada requieren el uso del procedimiento centralizado (PC). Esto garantiza el aprovechamiento del procedimiento de evaluación y autorización único de la UE. Además, facilita a las compañías la comercialización de los productos y el acceso de los pacientes de los distintos Estados miembros a estos productos.

Los medicamentos de terapia avanzada son productos complejos que requieren criterios de evaluación que van más allá de los

que se usan en el ámbito farmacéutico tradicional. Por ejemplo, en el caso de los productos que contienen o se componen de organismos modificados genéticamente, se requiere la evaluación del riesgo medioambiental para determinar los riesgos para la salud humana y el medio ambiente.

La legislación requiere que los expertos del CAT analicen todas las áreas relevantes para las terapias avanzadas, lo que incluye lo siguiente:

- Productos sanitarios
- Ingeniería de tejidos
- Terapia génica
- Tratamiento con células
- Biotecnología
- Cirugía
- Farmacovigilancia
- Gestión de riesgos
- Ética

El CAT prepara un borrador de dictamen para cada producto. Este dictamen se envía al CHMP. Según el dictamen del CAT, el CHMP adopta una recomendación para la concesión o denegación, variación, suspensión o revocación de una autorización de comercialización. A continuación, la recomendación se envía a la Comisión Europea para tomar una decisión sobre la autorización de comercialización.

Una vez que los productos se han autorizado y comercializado, la EMA realiza una evaluación adicional de la seguridad y la eficacia. Además, la EMA ofrece asistencia científica a las compañías para facilitar el diseño de sistemas para el control de la seguridad de estos medicamentos.

Las compañías que producen medicamentos de terapia avanzada deben poder rastrear de todos sus productos desde el centro de producción hasta los hospitales o centros en los que son administrados a los pacientes. Además, los hospitales deben

poder rastrear a todos los pacientes que reciben estos medicamentos. Los sistemas usados deben permitir el seguimiento completo mediante sistemas de codificación anónima en el caso de los donantes externos:

- En el centro de tejidos: relación entre el donante y la donación.
- En el centro de producción: relación entre la donación y el producto.
- En el hospital o consulta: relación entre el producto y el paciente.

Otros recursos

- European Medicines Agency (2015). *Committee for Advanced Therapies (CAT)*. Recopilado el 3 de septiembre de 2015 de http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/about_us/general/general_content_000266.jsp.
- Bhalerao, N., Bhol, R., Paranjpe, G., Jadhav, S., & Bodkhe, P. (2012) *Tissue engineering*. Recopilado el 4 de septiembre de 2015 de <http://fr.slideshare.net/BhaleraoSudhir/tissue-engineering-12323232>.
- World Health Organisation (2015). *Health policy and the ethical, legal, and social issues (ELSI) in genomics*. Recopilado el 4 de septiembre de 2015 de <http://www.who.int/genomics/policy/ELSI/en/>.

Anexos

A2-5.08.3-v1.1