

Comitetele EMA: Comitetul pentru Terapii Avansate (CTA)

Introducere

Comitetul pentru Terapii Avansate (CTA) din cadrul Agenției Europene a Medicamentului (EMA) evaluează calitatea, siguranța și eficacitatea medicamentelor care reprezintă terapii avansate (advanced-therapy medicinal products – ATMP). ATMP sunt medicamente de uz uman obținute din gene și celule sau țesuturi și includ terapiile genice, medicamentele pentru terapia cu celule somatice, medicamentele obținute prin ingineria țesuturilor și terapiile combinate. Acest articol conține o serie de informații privind ATMP și discută despre conceptele de reglementare și legislația care guvernează activitatea CTA.

Comitetul EMA pentru Terapii Avansate (CTA)

ATMP pot oferi noi oportunități de tratament pentru numeroase boli, precum Alzheimer, cancerul, bolile genetice precum distrofia musculară sau plăgile arse de la nivelul pielii.

Există patru grupuri principale de ATMP:

- **Medicamentele pentru terapia genică (Gene-therapy medicines – GTMP)**

GTMP conțin gene care au efecte terapeutice. GTMP introduc în celule gene „recombinante”, deseori utilizând un virus ca vector (vehicul utilizat pentru transferarea materialului genetic într-o celulă țintă) pentru transportul genelor. O genă recombinată este o secvență de ADN creată în laborator, care combină ADN din

diferite surse. Atunci când gena pătrunde în celulele pacientului, acestea produc o proteină care poate contribui la vindecarea sau încetinirea progresiei unei varietăți de boli, precum tulburările genetice, cancerul sau bolile cronice.

- **Medicamentele pentru terapia cu celule somatice**

Medicamentele pentru terapia cu celule somatice conțin celule (excluzând gameții) sau țesuturi ale căror caracteristici biologice au fost modificate. Acestea pot fi utilizate pentru vindecarea, diagnosticarea sau prevenția bolilor. Un exemplu de terapie cu celule somatice constă în utilizarea de celule canceroase modificate ale unui pacient, care să se lupte cu celulele canceroase rămase în corp.

- **Medicamentele obținute prin ingineria țesuturilor**

Medicamentele obținute prin ingineria țesuturilor conțin celule sau țesuturi care au fost modificate substanțial (aceasta fiind definiția ingineriei în acest caz) pentru a putea repara, regenera sau înlocui țesuturi. Un exemplu de produs obținut prin ingineria țesuturilor este pielea artificială utilizată pentru tratarea pacienților cu arsuri.

- **ATMP combinate**

ATMP combinate conțin unul sau mai multe dispozitive medicale, care fac parte integrantă din medicament.

Aceste tratamente au un potențial enorm pentru pacienți, deoarece tehnologiile aflate la baza terapiilor avansate pot avea efecte pozitive pe termen lung. Acestea pot reprezenta tratamente eficiente pentru pacienți și pot reduce, în consecință, costurile medicale pe termen lung.

Deși generează așteptări enorme, terapiile avansate sunt, de asemenea, asociate cu:

- **Riscuri noi, semnificative**, precum
 - riscul de infecție virală dacă un vector viral se reactivează,
 - riscul de cancer,
 - riscurile pentru personalul medical și îngrijitori în caz de expunere accidentală la tratament.
- **Probleme etice**, precum
 - nerespectarea drepturilor donatorilor aflați în viață, prin lipsa informării acestora,
 - expunerea pacienților la produse nesigure/cu eficiență nedemonstrată constând în celule (stem).

Terapiile avansate sunt deseori dezvoltate de către companii mici sau unități de cercetare ale spitalelor. Legislația din U.E. prevede stimulente care încurajează cercetarea și dezvoltarea terapiilor avansate, precum reducerea tarifelor percepute pentru consultanța științifică oferită de EMA. Sunt disponibile noi proceduri de reglementare pentru dezvoltatorii de ATMP (clasificarea ATMP și certificarea ATMP).

Concepte de reglementare și legislația aplicabilă

Începând cu anul 2008, procedura centralizată (PC) trebuie utilizată pentru toate ATMP. Acest lucru permite medicamentelor să beneficieze de o singură procedură de evaluare și autorizare, valabilă în întreaga U.E. Acest lucru facilitează punerea pe piață a produselor de către companii și accesarea produselor de către pacienții din diferitele state membre.

ATMP sunt medicamente complexe, care impun utilizarea unor criterii de evaluare diferite de cele utilizate în domeniul farmaceutic convențional. De exemplu, pentru produsele care conțin sau constau în organisme modificate genetic (OMG), este necesară o evaluare a riscurilor de mediu care să determine riscurile la adresa sănătății oamenilor și mediului

înconjurător.

Legislația prevede ca domeniile de expertiză ale membrilor CTA să acopere toate domeniile relevante pentru terapiile avansate, inclusiv:

- dispozitivele medicale,
- ingineria țesuturilor,
- terapia genică,
- terapia cu celule,
- biotehnologia,
- chirurgia,
- farmacovigilența,
- gestionarea riscurilor și
- etica.

Pentru fiecare produs, CTA pregătește o opinie în versiune preliminară. Aceasta este trimisă către CHMP. Pe baza opiniei CTA, CHMP emite o recomandare privind acordarea/respingerea, variația, suspendarea sau revocarea autorizației de punere pe piață. Recomandarea este apoi trimisă Comisiei Europene pentru adoptarea deciziei privind autorizația de punere pe piață.

După ce produsele sunt autorizate și puse pe piață, EMA continuă să evalueze siguranța și eficiența acestora. EMA oferă, de asemenea, companiilor consultanță științifică pentru a le ajuta să conceapă sisteme de monitorizare a siguranței acestor medicamente.

Comaniile care produc ATMP trebuie să își poată urmări produsele, din unitățile de producție până în spitalele sau instituțiile în care acestea sunt administrate pacienților. Spitalele au, de asemenea, obligația să urmărească toți pacienții care primesc aceste produse. Sistemele implementate trebuie să permită urmărirea completă, prin sisteme de codificare anonimă în cazul donatorilor externi:

- la instituția care gestionează țesuturile: legătura dintre donatori și donații;

- în unitatea de producție: legătura dintre donații și produse;
- în spital sau instituția medicală: legătura dintre produse și pacienți.

Resurse suplimentare

- European Medicines Agency (2015). *Committee for Advanced Therapies (CAT)*. Retrieved 3 September, 2015 from 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*. Retrieved 4 September, 2015, from <http://fr.slideshare.net/BhaleraoSudhir/tissue-engineering-12323232>
- World Health Organisation (2015). *Health policy and the ethical, legal, and social issues (ELSI) in genomics*. Retrieved 4 September, 2015 from <http://www.who.int/genomics/policy/ELSI/en/>

Atașamente

A2-5.08.3-v1.1