

## Panorama actual de los medicamentos de terapia avanzada

### Current overview of advanced therapies medical products

Ruiz de Almirón de Andrés, Blanca

Universidad de Granada: Estudiante de Medicina y Máster en Abogacía

#### Estimado Editor:

Como afirma el profesor Campos (1), en las últimas décadas además de curar mediante la cirugía, la física, la química y la palabra, se ha aprendido que la célula y los tejidos también lo hacen.

La práctica y avance de estas terapias, bien sea génica, celular o ingeniería tisular, depende de la regulación sobre su desarrollo y acceso a las mismas, resultando relevante una normativa específica y moderna. Ahora bien, la investigación biomédica sigue avanzado a pasos de gigante y en ocasiones, parece ir por delante de la norma complicando así la traslación clínica.

La legislación europea establece, que al igual que los medicamentos biotecnológicos, los medicamentos de terapia avanzada deben seguir el procedimiento único de evaluación científica respecto a la calidad, seguridad y eficacia, por parte de la Agencia Europea de Medicamentos. Por lo que es de manifiesto que la regulación a la que están sometidas estas terapias resulta estricta y teniendo en cuenta las características específicas de estos productos, que no se asemejan a la fabricación industrial de los fármacos, dificulta su desarrollo. Como novedad esta normativa introdujo la "exención hospitalaria" mediante la cual, aquellos medicamentos preparados ocasionalmente para una prescripción facultativa individual destinada a un solo paciente y empleados en un mismo hospital, quedarían excluidos de su ámbito de aplicación y serían las autoridades correspondientes de los Estados miembros, los encargados de la autorización, trazabilidad, farmacovigilancia y las normas de calidad específicas (2).

En España por ejemplo, solo va a ser posible solicitarla siempre que se demuestren la eficacia y seguridad, teniendo que presentar a su vez los datos de calidad clínicos y no clínicos. Siendo una alternativa al procedimiento de autorización centralizado, cuando no sean fabricados industrialmente, ni se pretenda su comercialización, pero no por ello como alternativa al ensayo clínico (3).

En consecuencia, en España se desarrolló en 2014 un Real Decreto que regula la autorización de medicamentos de terapia avanzada de fabricación no industrial, estableciendo los requisitos y garantías de estos en lo relativo a su autorización, mientras que en todo lo no previsto, se remite a la legislación de medicamentos de uso humano convencionales (4). De modo que, resulta fragmentada y poco específica.

En definitiva, habría que encontrar un equilibrio entre un sistema que siga garantizando la calidad, eficacia y seguridad del producto, velando siempre por la seguridad del paciente, y a su vez, que permita el desarrollo de estas terapias de acuerdo a las normas GMP (*Good Manufacturing Practices*), pero sin ser tratadas como cualquier medicamento de fabricación industrial. No hay que olvidar que la producción de las terapias avanzadas es generalmente individualizada, por lo que debería adoptarse un sistema de ensayos clínicos diferente a los requeridos para los productos químicos convencionales.

#### REFERENCIAS BIBLIOGRÁFICAS

1. Campos, A. La célula y el tejido como medicamento. De la médula ósea al tejido nervioso. Discurso de apertura. Universidad de Granada, 2013, pag. 26.
2. Reglamento (CE) n° 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) n° 726/2004
3. Cuende, N., Boniface, C., Bravery, C. et al. The puzzling situation of hospital exemption for advanced therapy medicinal products in Europe and 'stakeholders' concerns. *Cytotherapy*. 2014 Dec;16(12):1597-600. doi: 10.1016/j.jcyt.2014.08.007.
4. Real Decreto 477/2014, de 13 de junio, por el que se regula la autorización de medicamentos de terapia avanzada de fabricación no industrial.