

Regulación de terapias avanzadas En la UE



Sol Ruiz - AEMPS

regulatory approach

Legislation

Medical
Devices
93/42/EEC

?

Medicinal
Products
2001/83/EC

Science

Advanced Therapies

Medical
Devices

Tissue
Engineering

Cell Therapy

Gene Therapy

Biotech

Chemicals

	Country	Austria	Belgium	Bulgaria	Cyprus	Finland	France	Germany	Ireland	Netherlands	Poland	Slovakia	Spain	Sweden	UK
framework	not at all			●●	●●				●●	●●	●●	●			
	as medicinal product (MP)	●●	●●			●●		●●							
	as medical device (MD)														
	as MP or MD, decided on case-by-case basis												●●	●●	●●
	specific national guidance						●●								●●
	other regulations	●●											●		
authorisation	by product authorisation (PA)		●					●							
	by manufacturing authorisation (MA)	●●	●					●●							
	by accreditation... of the tissue establishment		●●									●			
	by PA and MA						●●	●					●●		
import	from EU MS mandatory through accredited... tissue establishment in your country		●●				●●					●	●●		
	from non-EU country mandatory through accredited... tissue establishment in your country		●●				●●					●	●●		

● autologous products

● allogeneic products

Ref. : Joint Research Centre, European Commission, 2003 (see also impact assessment of the proposal)

The logo of the European Commission, featuring a blue background with a white circle of twelve gold stars. The text "European Commission" is written in a white, serif font across the bottom of the logo.

European Commission

**Tissue-Engineering
&
Advanced Therapies**

Regulation 1394/2007

Regulation (EC) No 1394/2007

10.12.2007

EN

Official Journal of the European Union

L 324/121

REGULATION (EC) No 1394/2007 OF THE EUROPEAN PARLIAMENT AND OF THE COUNCIL

of 13 November 2007

on advanced therapy medicinal products and amending Directive 2001/83/EC
and Regulation (EC) No 726/2004

(Text with EEA relevance)

Specific rules regarding the **authorization, supervision and pharmacovigilance** of advanced therapy medicinal products (ATMPs)

Regulation (EC) No 1394/2007

- (a) 'Advanced therapy medicinal product' means any of the following medicinal products for human use:
- a gene therapy medicinal product as defined in Part IV of Annex I to Directive 2001/83/EC,
 - a somatic cell therapy medicinal product as defined in Part IV of Annex I to Directive 2001/83/EC,
 - a tissue engineered product as defined in point (b).

COMMISSION DIRECTIVE 2003/63/EC

of 25 June 2003

amending Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council on the Community code relating to medicinal products for human use

(Text with EEA relevance)

Previous definition of gene therapy medicinal products and somatic cell therapy medicinal products (now on Commission Directive 2009/120/EC)

Commission Directive 2009/120/EC

15.9.2009

EN

Official Journal of the European Union

L 242/3

DIRECTIVES

COMMISSION DIRECTIVE 2009/120/EC

of 14 September 2009

amending Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council on the Community code relating to medicinal products for human use as regards advanced therapy medicinal products

(Text with EEA relevance)

ANNEX

PART IV

ADVANCED THERAPY MEDICINAL PRODUCTS

2.1. Gene therapy medicinal product

Gene therapy medicinal product means a biological medicinal product which has the following characteristics:

- (a) it contains an active substance which contains or consists of a recombinant nucleic acid used in or administered to human beings with a view to regulating, repairing, replacing, adding or deleting a genetic sequence;
- (b) its therapeutic, prophylactic or diagnostic effect relates directly to the recombinant nucleic acid sequence it contains, or to the product of genetic expression of this sequence.

Gene therapy medicinal products shall not include vaccines against infectious diseases.

2.2. Somatic cell therapy medicinal product

Somatic cell therapy medicinal product means a biological medicinal product which has the following characteristics:

- (a) contains or consists of cells or tissues that have been subject to substantial manipulation so that biological characteristics, physiological functions or structural properties relevant for the intended clinical use have been altered, or of cells or tissues that are not intended to be used for the same essential function(s) in the recipient and the donor;
- (b) is presented as having properties for, or is used in or administered to human beings with a view to treating, preventing or diagnosing a disease through the pharmacological, immunological or metabolic action of its cells or tissues.

For the purposes of point (a), the manipulations listed in Annex I to Regulation (EC) No 1394/2007, in particular, shall not be considered as substantial manipulations.

Regulation (EC) No 1394/2007

Tissue engineered product means a product that:

- contains or consists of engineered cells or tissues, and
- is presented as having properties for, or is used in or administered to human beings with a view to regenerating, repairing or replacing a human tissue.

Regulation (EC) No 1394/2007; overview

- Principles applying to advanced therapies:
 - **marketing authorisation** (pre-market approval)
 - demonstration of **quality, safety & efficacy**
 - **post-authorisation vigilance**
- A centralized marketing authorization procedure:
 - pooling of Community expertise
 - ensure uniform and direct access to market
 - harmonised requirements & evaluation

scope

Advanced therapy medicinal products which are intended to be placed **on the market in Member States** and either **prepared industrially** or manufactured by a method involving an industrial process (Title II of Directive 2001/83).

scope

EXCLUDED from the scope of this Regulation:

advanced therapy medicinal products which are prepared on

- a **non-routine basis** according to specific quality standards,
- used **within the same Member State in a hospital**
- under the exclusive professional **responsibility of a medical practitioner** in order to comply with an **individual medical prescription** for a **custom-made product** for an individual patient

CHAPTER 7

COMMITTEE FOR ADVANCED THERAPIES

Article 20

Committee for Advanced Therapies

1. A Committee for Advanced Therapies shall be established within the Agency.



- **Committee for Advanced Therapies (CAT)**
 - pooling of Community expertise
 - multidisciplinary nature:
 - biotechnology
 - medical devices
 - risk management
 - ethics
 - (...)





- **5** CHMP members with their alternates (from the MS or identified by the CHMP)
- **1** M (1A) per MS from MS not represented through CHMP
- **2** M (2A) representing clinicians
- **2** M (2A) representing patients' associations
- Should include at least 2 M (2A) with expertise in MD
- List of expertise: medical devices, tissue engineering, gene therapy, cell therapy, biotechnology, surgery, pharmacovigilance, risk management and ethics

CHAPTER 2

MARKETING AUTHORISATION REQUIREMENTS

Article 3. Donation, procurement and testing

Where an advanced therapy medicinal product contains human cells or tissues, the donation, procurement and testing of those cells or tissues shall be made in accordance with Directive 2004/23/EC.

Article 4. Clinical trials

1. The rules set out in Article 6(7) and Article 9(4) and (6) of Directive 2001/20/EC in respect of gene therapy and somatic cell therapy medicinal products shall apply to tissue engineered products.
2. The Commission shall, after consulting the Agency, draw up detailed guidelines on good clinical practice specific to advanced therapy medicinal products.

Article 5. Good manufacturing practice

The Commission shall, after consulting the Agency, draw up guidelines in line with the principles of good manufacturing practice and specific to advanced therapy medicinal products.

Technical Requirements

Post-authorisation requirements

- **Follow-up of efficacy and safety** (adverse reactions and risk management): EMEA shall inform the relevant national competent authorities
- **Patient and product traceability** (hospital, institution)

Competitiveness Aspects

- Scientific Advice:
 - 90% fee reduction for SMEs, 65% for others
 - No limit in time
- Scientific opinion on the classification of a medicinal product as an ATMP or not: 60 days

Competitiveness Aspects

- **Certification of quality or quality + non-clinical data for SMEs**
 - It is not a marketing authorisation (MA)
 - It is not 'legally binding' for the Agency
 - Mostly quality and, where available, non-clinical data
- **Additional fee reduction if the applicant is a SME or hospital and can prove there is a particular public health interest in the Community**
 - 50% fee reduction on MA fee
 - 50% post-authorisation activities during the first year
 - Applies only during transitional period (up to 30.12.2011)

Final provisions

- Regulation applicable since the end of 2008
- **Transitional period:**
 - gene therapy and cell therapy products: 3 years (till 30.12.2011)
 - tissue engineered products: 4 years (30.12.2012)
- During transitional period, no MA fee for upgrade of products authorized at the national level
- Reporting 5 years after entry into force



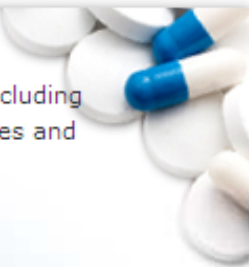
Text size: [A](#) [A](#) [A](#)

Site-wide search

GO

Search for medicines

Search our database of medicines - including Human medicines, Veterinary medicines and Herbal medicines.



Quick search

Or go to the Medicines section for more options to help you find what you need.

About the Agency

The European Medicines Agency is a decentralised body of the European Union, located in London.



Find out more about what we do

Find information for...

► Patients and carers

► Healthcare professionals

► Animal health professionals

► Business

► Media professionals

Latest news

Patient safety

Veterinary alerts

New Medicines

Public Consultations

01/10/2010 **European Medicines Agency awards first 'ENCePP study' seal for post-marketing study**

New seal awarded to transparent, independent observational study in patients with chronic obstructive pulmonary disease. ... [► Read more](#)

29/09/2010 **Warner Chilcott UK Ltd withdraws its application for an extension of indication for Intrinsa**

The European Medicines Agency (EMA) has been formally notified by Warner Chilcott UK Ltd of its decision to withdraw its application for an extension of indication for the centrally authorised medicine Intrinsa (testosterone) transdermal patch. ... [► Read more](#)

24/09/2010 **Meeting highlights from the Committee for Medicinal Products for Human Use (CHMP), 20-23 September 2010**

... [► Read more](#)

2015 Roadmap



Medicines and emerging science



Medicines for children





Text size: [A](#) [A](#) [A](#)

GO >



Pandemic influenza

Counterfeit medicines

Antimicrobial resistance

Medicines for children

Medicines for rare diseases

Medicines for older people

Transparency policy

Pathogenic agents in biological warfare

Safety monitoring of medicines

Medicines and emerging science

Home > Special Topics

Special topics

[Email a friend](#) [Print page](#) [Help](#)

ABCDEFGHIJ
KLMNOPQR
STUVWXYZ

This section of the website highlights topics and issues in which the European Medicines Agency is involved. Topics are regularly added to this section.



Text size: [A](#) [A](#) [A](#)

Site-wide search

GO ▶

▶ Home ▶ Special Topics ▶ Medicines and emerging science

Medicines and emerging science

[Email a friend](#) [Print page](#) [Help](#)

A key objective of the European Medicines Agency is to make safe and effective medicines available to patients. Better medicines should reach the market in a timely manner, and need to be evaluated using state-of-the-art methods.

The European Medicines Agency supports scientifically sound development of new therapies and technologies by working with interested parties in the European Union.

One of the goals of the long-term strategy of the Agency — the [European Medicines Agency Road Map to 2015](#) — is to foster research and innovation uptake in the development of pharmaceuticals

In 2004, the ['EMA/CHMP think-tank group on innovative drug development'](#) was set up, comprising European Medicines Agency staff and several members of the Committee for Medicinal Products for Human Use and its various working parties. The work of the think-tank focused on identifying scientific bottlenecks and emerging science in the development of medicines— both in industry's R&D and in the academic environment — and on generating recommendations for future European Medicines Agency actions.

The Agency also contributes to the [Innovative Medicines Initiative \(IMI\)](#). See an overview of the European Medicines Agency's participation in [Innovative Medicines Initiative \(IMI\) Research projects](#)

Find out more on the Agency's involvement in the following areas:

- ▶ [Advanced therapies](#)
- ▶ Innovative Development methods
 - ▶ [Nanotechnologies](#)

Support to business

Support to business on all the topics covered in this page is available at the Agency. See the [Innovation Task Force \(ITF\)](#) and the [Scientific Advice and Protocol Assistance](#) web pages for more information.

- Pandemic influenza
- Counterfeit medicines
- Antimicrobial resistance
- Medicines for children
- Medicines for rare diseases
- Medicines for older people
- Transparency policy
- Pathogenic agents in biological warfare
- Safety monitoring of medicines
- ▼ Medicines and emerging science
- Nanotechnology
- Pharmacogenomics and personalised medicine
- Biomarkers

[Human medicines](#)[Pre-authorisation](#)[Post-opinion](#)[Post-authorisation](#)[Product information](#)[Scientific advice and protocol assistance](#)[Scientific guidelines](#)[Innovation Task Force](#)[Regulatory and procedural guidance](#)[SME office](#)[Paediatric medicine](#)[Orphan designation](#)[Herbal products](#)[Referral procedures](#)[Article 58 applications](#)[Compassionate use](#)[Pharmacovigilance](#)[Advanced therapies](#)[EU Regulation](#)[ATMP classification](#)[Certification procedure for SMEs](#)[ATMPs MAA](#)[Home](#) ▶ [Regulatory](#) ▶ [Human medicines](#) ▶ [Advanced therapies](#)

Advanced therapies

[Email a friend](#) [Print page](#) [Help](#)

Advanced therapy medicinal products (ATMPs) are medicinal products for human use, and are based on gene therapy, somatic cell therapy or tissue engineering. They offer groundbreaking new treatment opportunities for diseases and injuries of the human body. The regulatory framework for ATMPs is established by [Regulation \(EC\) No 1394/2007 on advanced therapy medicinal products](#).

This section of the website is for those who require information on applications for ATMP marketing authorisation application classification and certification of quality and, where available, non-clinical data submitted by Small and Medium Enterprises developing ATMPs.

Support to companies

For companies or individuals wishing to exchange information informally in the early stages of the medicine development process with the European Medicines Agency, there is the the [Innovation Task Force \(ITF\)](#) which provides a forum for this dialogue. In addition, the Agency's [SME office](#), the [Scientific Advice and Protocol assistance](#) sector and the [orphan designation](#) sector provide support to companies working in the research and development of medicines.

Microsoft office documents

Important note on document formats: All Microsoft Office documents submitted to the European Medicines Agency must be in a format compatible with MS Office 2003. Office 2007 and Office 2010 formats cannot currently be accepted.

Related information

- ▶ [Further information relating to EU legislation on advanced therapies is available from the European Commission](#)
- ▶ [Committee for Advanced Therapies \(CAT\)](#)
- ▶ [Interested parties to the Committee for Advanced Therapies \(CAT\)](#)
- ▶ [Listing of Committee for Advanced Therapies \(CAT\) monthly reports](#)
- ▶ [Special topic: Medicines and emerging science](#)

Meetings

- ▶ [First workshop on advanced therapy medicinal products](#)

Contact point:

when the rubber hits the road



- ❑ **ChondroCelect** (autologous chondrocytes): marketing authorization granted (July 2009)
- ❑ **Cerepro** (AdV-HSVtk): withdrawn by the applicant before the final opinion on the second MAA
- ❑ **Advexin** (AdV-p53): withdrawn by the applicant before the final opinion
- ❑ **Glybera** (AAV-LPL): under evaluation

Applicant: TiGenix, Leuven, Belgium

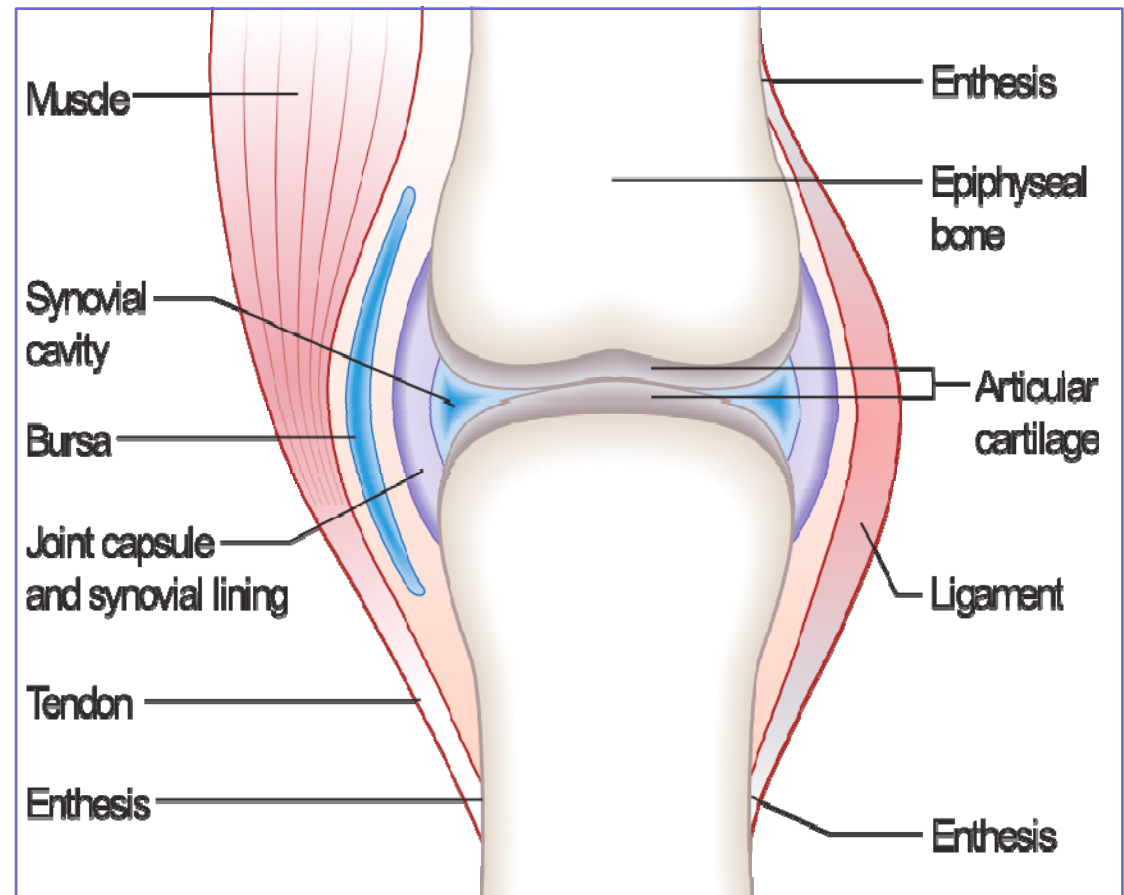
Indication: Repair of single symptomatic cartilaginous defects of the femoral condyle of the knee (ICRS^{*)} grade III or IV). Concomitant asymptomatic cartilage lesions (ICRS grade I or II) might be present.

Composition: 0.4 mL cell suspension
10,000 cells / μ L

Excipients: DMEM

Dosage: 0.8 - 1 million cells / cm^2

Shelf life: 48 hours



^{*)} International Cartilage Repair Society



MINISTERIO
DE SANIDAD
Y POLÍTICA SOCIAL

am agencia española de
medicamentos y
productos sanitarios

advanced therapies in spain

Usuario: Contraseña:

- Grupo 1:
J. García-Sancho, A. Sánchez, A. San Román
- Grupo 2:
J.J. Toledo, J. López Barneo, R. Parda
- Grupo 3:
Bernat Soria, Francisco Bedoya
- Grupo 4:
Isabel Fariñas
- Grupo 5:
Salvador Martínez, José María Moraleda
- Grupo 6:
J. Alberch, J. Canals
- Grupo 7:
Lina Badimón, Jerónimo Blanco
- Grupo 8:
Antonio Bernad, Damián G. Olmo
- Grupo 9:
Miguel Torres
- Grupo 10:
Agustín Zapata
- Grupo 11:
José Carlos Segovia
- Grupo 12:
Alberto Martínez Serrano
- Grupo 13:
José Becerra Rata
- Grupo 14:
Felipe Prósper
- Grupo 15:
C. del Cañizo, J. San Miguel
- Grupo 16:
José Luis Labandeira García
- Grupo 17:
José Manuel García Verdugo

27 groups listed

www.red-tercel.com

Introducción :

Esta red multidisciplinaria consta de 19 grupos de gran tradición en Fisiología Celular Básica, Desarrollo, y Genética cuyos investigadores han comprendido la necesidad de establecer contactos grupos clínicos cercanos para abordar los problemas científicos, terapéuticos y organizativos que hagan posible en el futuro la aplicación y gestión de estas nuevas terapias dentro de nuestro sistema sanitario público.

El número componentes de la Red TERCEL podría incrementarse con nuevos grupos emergentes sin otro requisito que la calidad científica y la aplicabilidad al sistema de salud.

Experiencia del Experiencia de los grupos integrantes de la red

La red de terapia celular surge desde unos planteamientos de investigación básica puestos al servicio de la mas alta tecnología sanitaria. Para ello el catalizador ha sido la necesidad de poner al servicio de las distintas redes temáticas de enfermedades de alta prevalencia el interés y la ilusión por esta nueva terapia de un grupo de científicos básicos que desde la Fisiología celular (Grupos 1,2,3), la Embriología y el Desarrollo (grupos3, 5) la Biología Molecular (grupos 4,6) y la investigación vascular grupo (7) han desarrollado.

Estos científicos han brindado su larga experiencia en el estudio de la caracterización morfofuncional células aisladas a la puesta en marcha de diseños de aplicación clínica con sus colegas médicos mas cercanos.

En este sentido fue pionero **el grupo 2, que dirige el Dr. López Barneo en Sevilla** . Este grupo inició en los años 80 los estudios de "Patch Clamp" en España y mas tarde los aplicó a la fisiología de células quimiorreceptoras aisladas del seno carotídeo. Con este bagaje de indudable valor, inició sus ensayos de terapia celular de células procedentes de glomus carotídeo en animales hace cinco años y desde hace dos realiza autotransplantes de células dopaminérgicas procedentes del glomus en pacientes de Parkinson. Estas células son disociadas agudamente y transplantadas a la substancia nigra del paciente. El ensayo piloto de factibilidad y seguridad, desarrollado en el **Hospital Virgen de las Nieves de Granada** , está en fase de análisis de resultados por NMR cuantitativa y su puesta en marcha puede ser un modelo para todos nosotros.

En segundo lugar estaría el modelo del **grupo 3 que dirige el Dr. Bernat Soria en Alicante** . Este grupo de científicos



SUBDIRECTORATE-GENERAL FOR RESEARCH IN CELL THERAPY AND REGENERATIVE MEDICINE

PUBLIC HEALTH SERVICES

RESEARCH AND ASSESSMENT

CELL THERAPY AND REGENERATIVE MEDICINE

TRAINING AND SCIENTIFIC DOCUMENTATION

THEMATIC NETWORKS AND CO-OPERATIVE RESEARCH CENTRES

INTERNATIONAL RESEARCH PROGRAMMES

- ▶ **Presentation**
- ▶ Legislation
- ▶ Documents of interest
- ▶ Courses
- ▶ Useful Links
- ▶ National Bank for Cell Lines

You are at: [Home](#) > [Subdirectorate-General for Research in Cell Therapy and Regenerative Medicine](#) > [Presentation](#)

Presentation

Scientific evidence indicates that Cell Therapy and Regenerative Medicine are a way of providing therapeutic solutions in pathological situations currently lacking treatment, or to improve already existing ones. Furthermore, Cell Therapy and Regenerative Medicine will shortly provide very valuable information on the mechanism regulating the viability, proliferation, and cellular differentiation in normal and pathological conditions.

The Ministry of Health and Consumption understands and assumes that research with human stem cells, from adults and embryos, is a priority. Since it involves an area in which society is particularly sensitive, it is essential to combine support for research with exquisite control of the ethical limits for carrying out this research. To harmonize strategic stem cell research interests and its ethical and legal implications, the General Sub-Department for Cell Therapy and Regenerative Medicine was created with the following priorities:

- A- Monitoring and control of stem cell research projects.
- B- The creation and coordination of the National Bank for Cell Lines.

Functions

1. Notwithstanding the competencies of the National Transplants and Regenerative Medicine Centre, the Spanish Agency of Medicines and Healthcare Products, and the responsibilities of other bodies in the department, the General Sub-Department for Cell Therapy and Regenerative Medicine, has the following functions:

The promotion, evaluation, coordination, and monitoring of cell therapy and regenerative medicine research undertaken by the National Healthcare System and the remaining science and technology system.

> **Who we are and what we do**

- Creation
- Mission
- Leadership
- Governing bodies
- Organisation chart
- Where we are
- Who our patrons are

> **Research center**

> **Stem Cell Bank**

> **Technical platforms**



Who we are and what we do

Mission

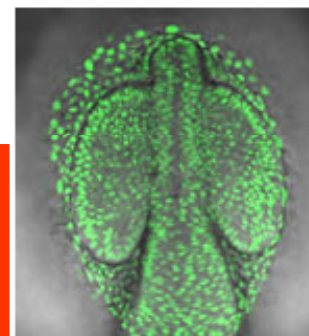
• Following the approval of the new Assisted Reproduction Act (November 2003), it is now possible to carry out research in Spain with stem cells derived from frozen human embryos.

The Spanish Ministry of Health (MSC), together with the Autonomous Communities, approved the creation of three research centres (July 2004):

- Catalonia (CMRB)
- Andalusia (CABIMER)
- Valencia (Centro de Investigación Príncipe Felipe)

The basic task of these centres is to carry out research with human embryonic stem cells and different animal models in order to understand:

- The basic mechanisms of initial development and organogenesis.
- Application of the cell lines derived from stem cells to diseases (regenerative medicine) in which there is a loss of cells (degenerative diseases).



Our mission is to carry out research into the field of **stem cells**, **regeneration** and **embryonic development**.



Parc
 Recerca
 Biomèdica
 Barcelona

www.cmrbarcelona.org/en/sobre_el_CMAR/index.html

ONT

- ONT
- History
- Spanish Model
- Who?
- Services
- Donation
- Coordinators
- Transplant Teams
- Quality
- Estadistics
- International
- Documents
- Activities
- Library
- Legislation
- Mailbox for professionals
- Interregional Council
- Contact
- Links



The essential mission of the ONT is to facilitate donation and transplantation of organs, tissues, and cells. It is then necessary to reach every one and develop a whole multidisciplinary activity in which new technologies play an increasingly important role.

We would like that those visiting this page, either health professionals, mass media professionals, or simply people interested on transplantation, will find all the relevant information on the issue and, of course, a material that will help them solving their uncertainties or curiosity.

A special greeting to all the people visiting us from Latin America



Press area

More news

26/10/2006



Newsletter 2006



www.ont.es

> 350 centers authorized for the extraction, processing and/or transplantation of cells and tissues (2007)

2006

Figura 5. Pacientes trasplantados
bone-tendon

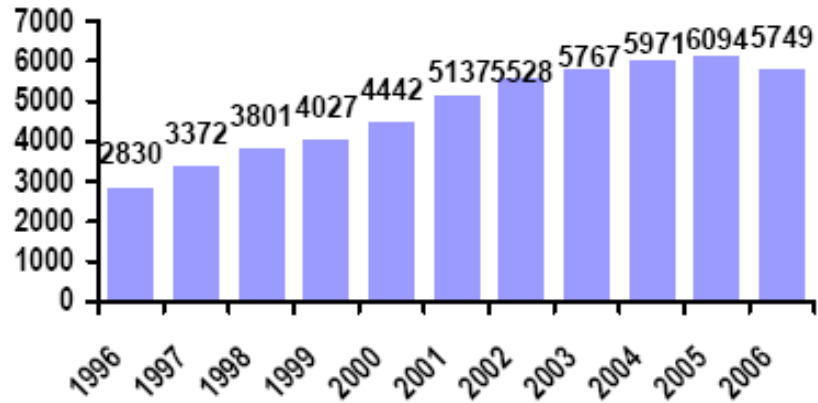


Figura 3. Pacientes trasplantados de piel
skin

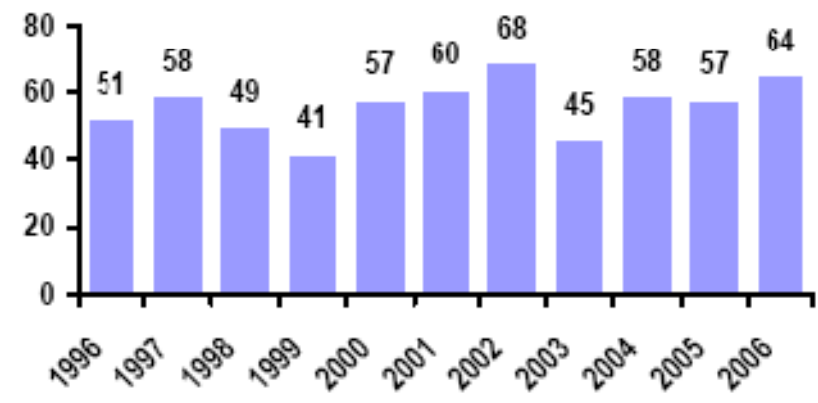


Figura 3. Cultivo de condrocitos
chondrocytes

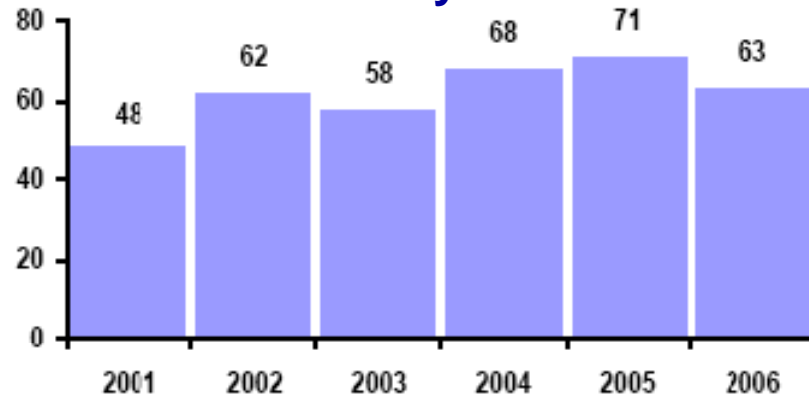
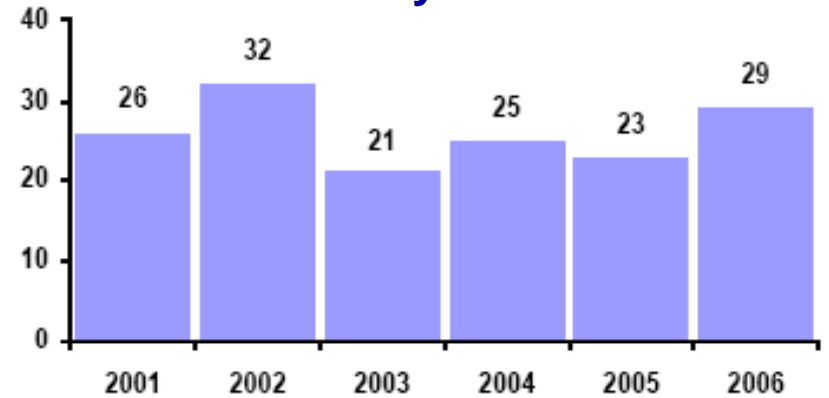


Figura 1. Cultivos de queratinocitos
keratinocytes





Start

Agenda of acts

Press releases

Speeches and interventions

Information Campaigns

Biographies

Photographs

Contact

Balance of two years of government

Chiken Flu

Notas de Prensa

El Gobierno ha acordado impulsar terapias avanzadas en medicina regenerativa para buscar alternativas al tratamiento de 12 patologías

- Se trata de un acuerdo enmarcado en la iniciativa del Plan de Investigación Biomédica del Ministerio de Sanidad y Consumo y contará con 21 millones de euros de financiación. En total, el presupuesto del Departamento para 2008 incluirá 417 millones dedicados a investigación
- Los trabajos se concentrarán en el trasplante de islotes pancreáticos, terapias celulares de diversas patologías (diabetes, cardiopatía, Esclerosis Lateral Amiotrófica, Esclerosis Múltiple, Enfermedad Injerto contra Huésped, Enfermedad de Crohn, lesiones medulares y distrofias musculares) y regeneración hepática, de piel, hueso y cartílago
- Además, se potenciará la investigación en psiquiatría infantil y juvenil, en genética humana y en enfermedades raras y medicamentos huérfanos
- El Consejo de Ministros también ha aprobado una acción transversal en cáncer, que comenzará a desarrollarse en 2008. Además, se ejecutarán otras acciones transversales en medicina regenerativa; nanobiotecnología, bioingeniería y tecnología sanitaria; y moléculas innovadoras

11 de octubre de 2007. El Consejo de Ministros ha aprobado hoy el **Plan de Terapias Avanzadas en el ámbito de la Medicina Regenerativa** del Ministerio de Sanidad y Consumo, que se enmarca dentro del Plan de Investigación Biomédica que comenzará a desarrollarse el próximo año. Asimismo, el Consejo ha aprobado la **Acción Transversal en Cáncer** y ha recibido un informe del Ministro de Sanidad y Consumo, Bernat Soria, sobre investigación biomédica.

Este Plan de Terapias Avanzadas, que estará dotado con 21 millones de euros, incluirá ensayos clínicos con pacientes para buscar alternativas en el tratamiento de, al menos, 12 patologías. Las partidas destinadas a investigación cuentan en el proyecto de presupuesto ministerial de 2008 con 417 millones de euros, un 25% más que este año.

El **Plan de Terapias Avanzadas en el ámbito de la Medicina Regenerativa** aprobado por el Consejo de Ministros el titular de Sanidad y Consumo, Bernat Soria, pretende localizar alternativas terapéuticas para 12 patologías que en la actualidad no cuentan con un protocolo terapéutico. Este programa de investigación incluirá ensayos clínicos en pacientes y abordará el tratamiento de las siguientes **patologías**.

- Trasplante de islotes pancreáticos.
- Terapia celular a complicaciones de la diabetes.
- Pie diabético.
- Cardiopatía diabética.

BIOMEDICINA/El proyecto de Bernat Soria, aprobado ayer, pretende acercar las últimas investigaciones a los enfermos / El cáncer tendrá un plan propio para nuevas terapias

Sanidad impulsa ensayos clínicos con células madre para males incurables

ROSAM. TRISTÁN

MADRID.- Los enfermos de 12 patologías para las que no existe tratamiento y la esperanza de vida es muy limitada contarán «lo antes posible» con terapias de medicina regenerativa que aún están en fase de ensayo clínico. Éste es el objetivo del nuevo Plan de Terapias Avanzadas que ayer aprobó el Gobierno para acercar los más novedosos resultados científicos a los pacientes.

El ministro de Sanidad y Consumo, Bernat Soria, no dudó en exponer diapositivas que mostraran los efectos de estos 12 males al resto de los miembros del Consejo de Ministros, antes de que se diera vía libre a su plan. «Hay patologías que no tienen alternativa terapéutica y para las que esperar significa la muerte a una fecha determinada, como las distrofias musculares, que afectan a más de 100.000 personas», explicaba en la rueda de prensa posterior a la reunión del Gabinete.

Este Plan de Terapias Avanzadas de Medicina Regenerativa —es decir, tratamientos con células madre—, pretende poner en contacto a los profesionales médicos del sistema nacional de salud con los investigadores, con objeto de que se pongan en marcha ensayos clínicos en varios hospitales españoles al mismo tiempo, una vez que se hayan iniciado en algún centro, ya sea dentro del país o en el extranjero.

Perfiles diferentes

En declaraciones a EL MUNDO, el ministro de Sanidad precisó



El ministro de Sanidad, Bernat Soria, en la rueda de prensa posterior al Consejo de Ministros de ayer. / DIEGO SINOVA

LAS 12 PATOLOGÍAS DEL PLAN

- 1. Trasplante de islotes pancreáticos.
- 2. Terapia celular para la diabetes (pie y cardiopatía).
- 3. Terapia celular para cardiopatías.
- 4. Terapia celular para esclerosis lateral amiotrófica.
- 5. Terapia celular para esclerosis múltiple.
- 6. Regeneración de la piel.
- 7. Terapia de la enfermedad injerto contra huésped.
- 8. Terapia celular de la Enfermedad de Crohn.
- 9. Regeneración de hueso y cartílago.
- 10. Terapia celular de lesiones medulares.
- 11. Regeneración hepática.
- 12. Terapia celular de las distrofias musculares.

El cáncer será otro de los puntos calientes a la hora de aplicar las últimas innovaciones terapéuticas a los enfermos. «Son enfermos que tampoco pueden esperar cinco o seis años a que acaben los ensayos clínicos en el extranjero para poder aplicarlos aquí», argumentaba ayer Bernat Soria.

Nuevas patentes

Sanidad, que cuenta para este plan sobre el cáncer con 30 millones de euros de presupuesto y otros 60 millones en aportaciones de las comunidades autónomas, fundaciones y empresas, espera que esta estrategia sirva para pro-

Biomedical Research Plan 2008

Spanish Ministry of Health

OBJECTIVE: promote research on advanced therapies for the treatment of **12 pathologies:**

diabetes, cardiopathies, MS, ALS, GvHD, Crohn's disease, muscular dystrophies, skin regeneration, medullar lesions, hepatic regeneration, bone and cartilage regeneration

BUDGET: **21 million €** (total research: 417 million €)

- Activity
- Citizens
- Human health prof.
- Veterinary health prof.
- Industry
- Clinical Investigation
- Grupos de Trabajo



Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios

Electronic Submission @

CIMA: Centro de Información Online de Medicamentos
Acceso a Veterinaria

Guía de Prescripción Terapéutica

Wholesalers Directory

Legislation

Informe Mensual

Archivo de Última Información

Suscríbete a las Listas de Correo de la AEMPS

X ANIVERSARIO AGENCIA ESPAÑOLA DE MEDICAMENTOS Y PRODUCTOS SANITARIOS

Información sobre la nueva Gripe A/ H1N1

Presentación de la AEMPS

+ Destacados

- Dictamen positivo para la autorización de dos nuevas vacunas frente al virus de la gripe A (H1N1) pandémico en Europa (actualización), 7 de octubre de 2009
- Publicación de la Memoria anual de actividades de la AEMPS 2008, 21 de septiembre de 2009
- Actualización de la nota informativa sobre la preparación y administración de Oseltamivir y Zanamivir, 7 de agosto de 2009

Plano de Ubicación

Líneas de Autobuses

TELÉFONO DE INFORMACIÓN AL LA AEMPS 902 510 100 Costo de la llamada 0,067 €

060.es

W3C WAI-AA WCAG 1.0

www.agemed.es/en/home.htm



Who we are

Legislation

Warnings

Pharmaceutical Inspection and Enforcement

Medical Devices, Cosmetics, Hygiene Products and Biocides

Clinical investigation

Documents

Eventos y Congresos

Contracting Party Profile

Empleo público

Scholarships

Artículos y Publicaciones

Investigación clínica

Investigación clínica con medicamentos

- [Ensayos clínicos con medicamentos de uso humano](#)
- [Inspección de Buena Práctica Clínica y Normas de Correcta Fabricación \(NCF\) en medicamentos en investigación](#)
- [Estudios posautorización de tipo observacional con medicamentos de uso humano](#)

Investigación clínica con productos sanitarios

- [Punto de contacto, Comités Éticos, Normativas, Instrucciones y formularios, Normas técnicas y Tasas](#)

Oficina de Apoyo a la investigación clínica independiente

- [Acceso a Oficina de apoyo](#)

Enlaces de interés

- [Centro Coordinador de Comités Éticos de Investigación Clínica \(CC-CEIC\)](#)
- [Comisión Europea - Ensayos clínicos](#)
- [Clinical Trial Facilitation Group](#)

Terapias avanzadas

- [Terapias avanzadas](#)

Convocatoria de ayudas 2009



Terapias avanzadas

Sección divulgativa que pretende ayudar a conocer algunos aspectos prácticos de la regulación de los medicamentos de terapia avanzada, dirigida en particular a los profesionales de la salud que trabajan o están interesados en introducirse en este campo. Elaborada desde la AEMPS. Fecha de publicación septiembre de 2009.

Índice

- [¿Qué son los medicamentos de terapia avanzada?](#)
- [¿Cómo se definen los diferentes medicamentos de terapia avanzada?](#)
- [¿Qué no es una "manipulación sustancial"?](#)
- [¿Cuándo un producto de terapia avanzada no es medicamento?](#)
- [¿Cuál es el procedimiento de autorización de comercialización los medicamentos de terapia avanzada?](#)
- [¿Cómo se regulan los ensayos clínicos de medicamentos de terapia avanzada?](#)
- [¿Cuándo se pueden considerar iguales dos medicamentos de terapia avanzada a efectos de la autorización de un ensayo clínico?](#)
- [¿Cuál es la situación de los medicamentos de terapia avanzada respecto al cumplimiento de Normas de Correcta Fabricación para la autorización de un ensayo clínico?](#)
- [¿Cómo se aplica el "uso compasivo" a los medicamentos de terapia avanzada?](#)
- [¿Cómo se regula la importación/exportación de los medicamentos de terapia avanzada?](#)

¿Qué son los medicamentos de terapia avanzada? ▲

Los medicamentos de terapia avanzada son medicamentos de uso humano basados en genes (terapia génica), células (terapia celular) o tejidos (ingeniería tisular) e incluyen productos de origen autólogo, alogénico o xenogénico. Constituyen nuevas estrategias terapéuticas y su desarrollo contribuirá a ofrecer oportunidades para algunas enfermedades que hasta el momento carecen de tratamientos eficaces.

Who we are

Legislation

Warnings

Pharmaceutical Inspection and Enforcement

Medical Devices, Cosmetics, Hygiene Products and Biocides

Clinical investigation

Documents

Eventos y Congresos

Contracting Party Profile

Empleo público

Scholarships

Artículos y Publicaciones

AGENCIA ESPAÑOLA
DE MEDICAMENTOS Y PRODUCTOS SANITARIOS

MEMORIA DE ACTIVIDADES DE LA AEMPS

2009



GOBIERNO
DE ESPAÑA

MINISTERIO
DE SANIDAD
Y POLÍTICA SOCIAL

 agencia española de
medicamentos y
productos sanitarios

MEDICAMENTOS DE USO HUMANO

Actividad en Terapias Avanzadas

El reglamento europeo 1394/2007 del Parlamento Europeo y del Consejo establece que se entiende por «*medicamento de terapia avanzada*», cualquiera de los siguientes medicamentos para uso humano:

- Un medicamento de terapia génica, tal como se define en el anexo I, parte IV, de la Directiva 2001/83/CE o,
- Un medicamento de terapia celular somática, tal como se define en el anexo parte IV, de la Directiva 2001/83/CE o,
- Un producto de ingeniería tisular, entendido como aquel que: a) contiene o está formado por células o tejidos manipulados por ingeniería, y b) del que se alega que tiene propiedades, se emplea o se administra a las personas para regenerar, restaurar o reemplazar un tejido humano.

De acuerdo con la normativa europea y española, los medicamentos de terapias avanzadas de fabricación no industrial son medicamentos exentos de una autorización de comercialización, según el Reglamento europeo y el Real Decreto 1345/2007 de registro, si bien la AEMPS debe asegurarse de que se cumplen las normas de calidad, seguridad, trazabilidad y farmacovigilancia equivalentes a las previstas a escala comunitaria para los medicamentos de fabricación industrial

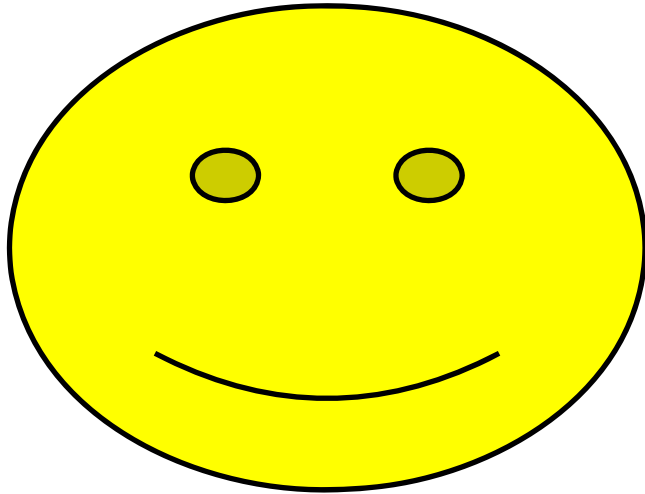
En el año 2009 la Comisión Europea autorizó por el procedimiento centralizado el primer medicamento de terapia avanzada. Durante este periodo España participó en la evaluación como coponente en tres solicitudes de autorización.

La AEMPS ha evaluado ya más de 70 solicitudes de ensayos clínicos con Terapias Avanzadas y los Productos en Fase de Investigación clínica (PEIs) correspondientes, en los que apreciamos una tendencia al crecimiento en los últimos años:

Tabla 18 **Número de ensayos de terapias avanzadas autorizados.**

Nº DE ENSAYOS	2005	2006	2007	2008	2009
Autorizados	2	6	9	18	10

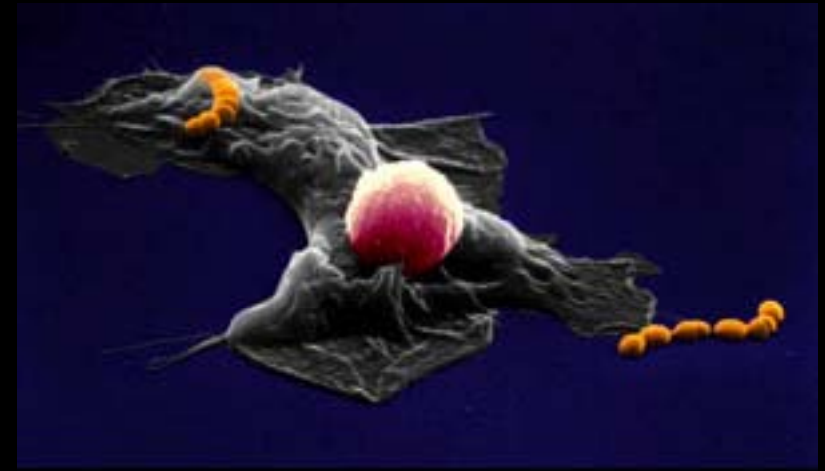
Las actividades de la AEMPS han incluido también la certificación de las normas de correcta fabricación (GMPs), precisas para la producción de los PEIs que se someten a ensayos clínicos.



Challenges

- A large and well established network of research centers
- An important investment to develop new therapies based on cells and tissues
- A large network of hospitals/institutions already involved in CT procedures
- Increase in the number of clinical trials using ATMPs
- Expertise within the Agency(ies)
- Timely compliance with the new regulation for those products falling within the scope
- Regulatory burden

Terapia celular somática

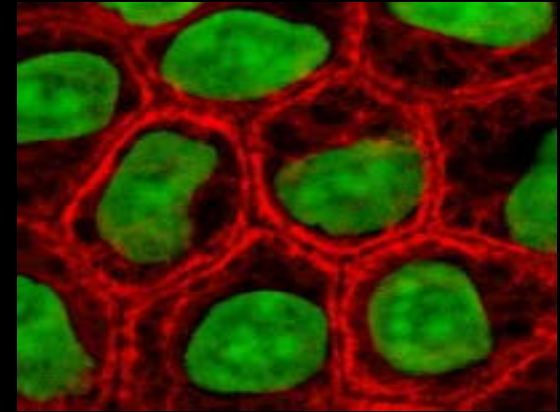


©James A. Sullivan

www.cellsalive.com

- Estudio de cardioregeneración celular mediante inyección de células AC133⁺ obtenidas a partir de sangre periférica movilizadas con G-CSF en pacientes con infarto de miocardio
- Estudio de la capacidad de mioblastos autólogos de implantarse sobre el tejido cicatricial en pacientes que han sufrido un infarto de miocardio

Terapia celular somática



- Estudio de la seguridad, tolerabilidad y eficacia del implante bilateral de células epiteliales retinianas pigmentarias humanas en pacientes con enfermedad de Parkinson avanzada
- Trasplante alogénico de progenitores hematopoyéticos con administración de linfocitos T que expresan genes suicidas (HSV-tk) para el tratamiento de la enfermedad del injerto contra el huésped

Terapia
celular
Somática

Las células constituyen el medicamento

- Autólogas
- Heterólogas (implante alogénico)
- Xenogénicas
- Modificadas genéticamente
- En combinación con biomoléculas, sustancias químicas o productos sanitarios

Implicaciones en la calidad, seguridad y eficacia del producto

A fluorescence microscopy image showing a field of cells. The nuclei are stained blue, and the cytoplasm or specific organelles are stained red. The cells are arranged in a somewhat regular pattern, with some elongated structures visible. The background is black.

gracias!

sruiz@aemps.es