

64

CONGRESO NACIONAL
DE LA SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE FARMACIA HOSPITALARIA

SEVILLA 17/19 OCT 2019

Plan de Abordaje de las Terapias Avanzadas en el SNS VALTERMED

*M^a Dolores Fraga Fuentes
Subdirección Gral de Calidad
de Medicamentos y Productos Sanitarios
Sevilla, 19 de octubre de 2019*





1

Selección racional basada
en la mejor evidencia



4

Desarrollo de
planes
farmacéuticos

2

Precios asequibles:
adecuadas negociaciones



3

Financiación
sostenible.
Identificación de
ganancias de eficiencia

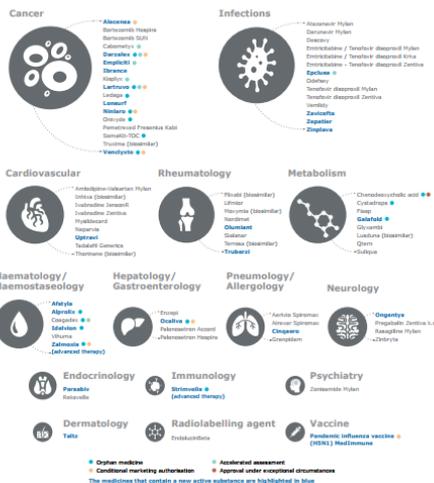
Autorizaciones 2016-2018

EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE. MEDICINES. HEALTH.

Human medicines highlights 2016

81 New active substances, 27 New active substances, 2 Negative opinions, 16 Withdrawn applications

Medicines recommended for approval in 2016

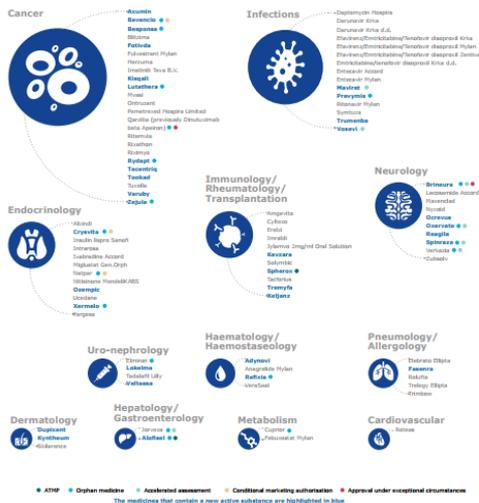


Authorisation of new medicines in 2017

92 New active substances, 35 New active substances, 6 Negative opinions, 14 Withdrawn applications

2 Advanced therapy medicinal products, 19 Orphan medicines, 7 Accelerated assessments, 3 Conditional marketing authorisations, 2 Approval under exceptional circumstances

Medicines recommended for approval

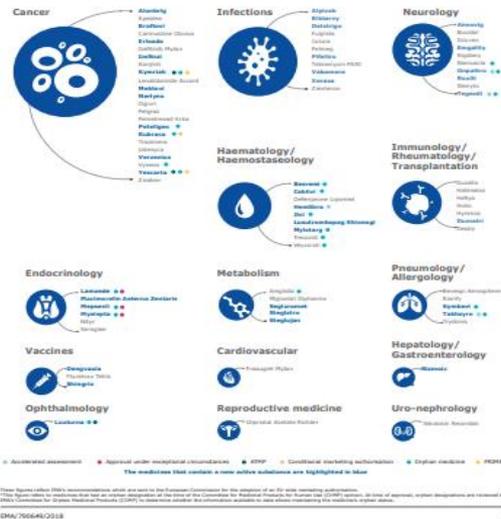


Authorisation of new medicines in 2018

84 New active substances, 42 New active substances, 5 Negative opinions, 10 Withdrawn applications

3 Advanced therapy medicinal products, 21 Orphan medicines, 4 Accelerated assessments, 1 Conditional marketing authorisation, 3 Approval under exceptional circumstances

Medicines recommended for approval



Advanced therapy medicinal products (ATMPs)

ATMPs are medicines based on genes, cells or tissues that offer ground-breaking new opportunities for the treatment of diseases. They are particularly important for severe, untreatable or chronic diseases for which conventional approaches have proven to be inadequate.



Cancer
Kymriah and Yescarta

the first two chimeric antigen receptors (CAR) T-cell therapies in the EU intended for the treatment of certain blood cancers. Kymriah and Yescarta are also the first medicines supported through EMA's PRIME Medicines (PRIME) scheme that received a positive opinion from the CHMP.



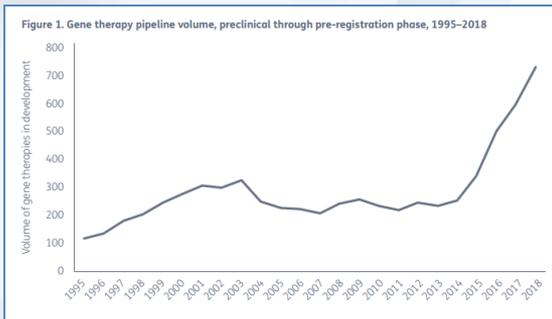
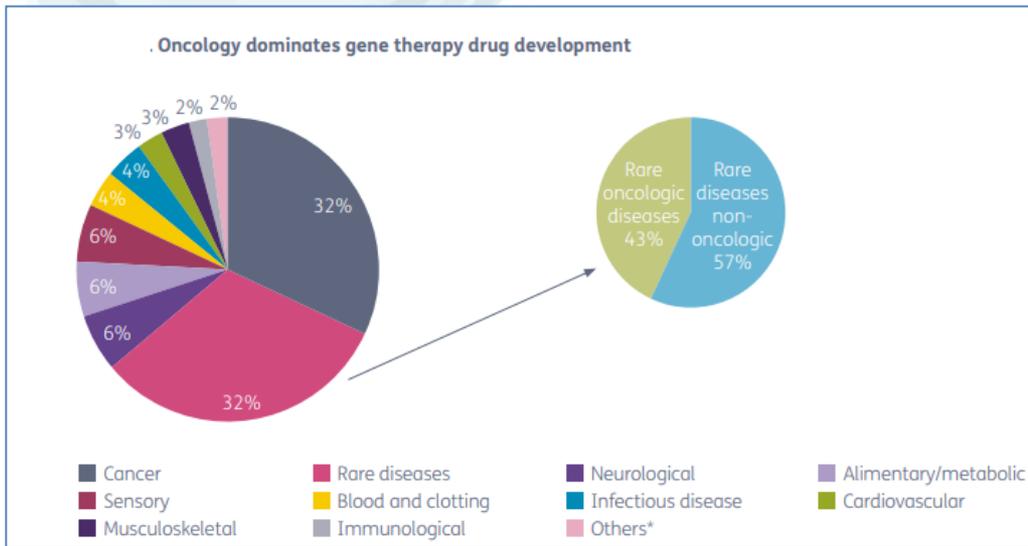
Ophthalmology
Luxturna

for the treatment of adults and children with inherited retinal dystrophy caused by RPE65 gene mutations, a rare genetic disorder which causes vision loss and usually leads to blindness.

Lo que viene.....estamos preparados???

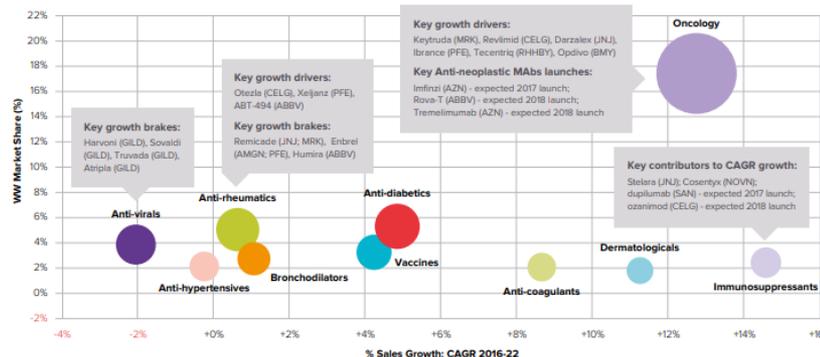


Lo que viene.....estamos preparados???



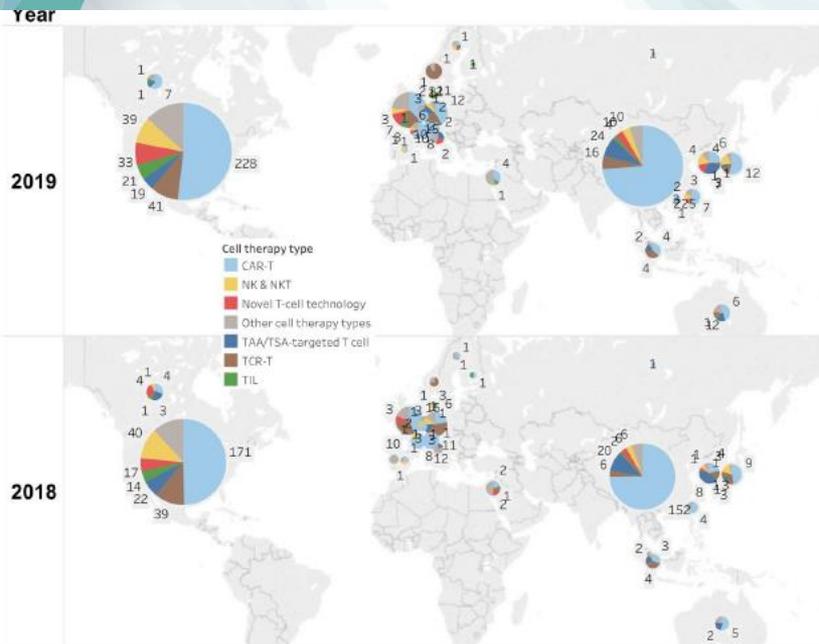
Top 10 Therapy Areas in 2022, Market Share & Sales Growth

Source: Evaluate, May 2017

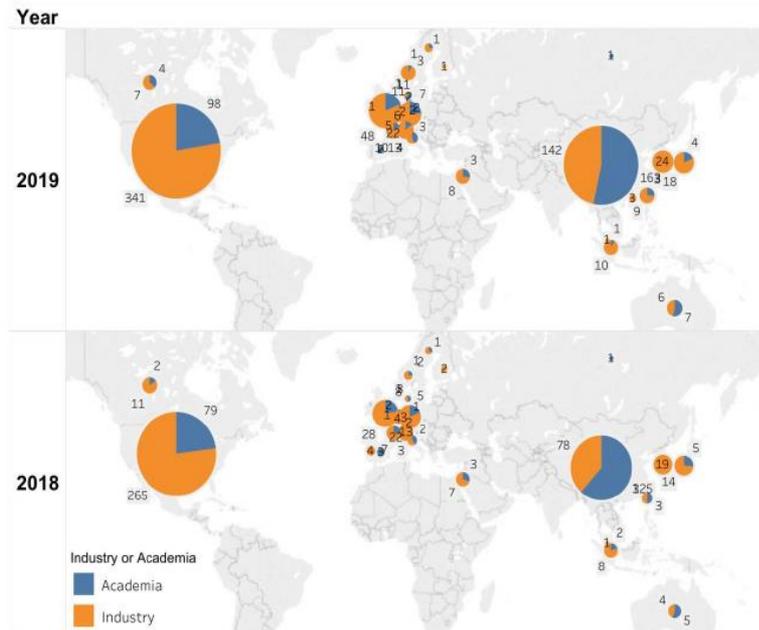


Alrededor de 350.000 pacientes habrán sido tratados con 30 a 60 medicamentos en 2030 (la mitad en leucemias y linfomas) Value Health 2019;22(6):621-6

Lo que viene.....estamos preparados???



Supplementary Figure 1 | Geographic distribution of cancer cell therapies in development in 2019 and 2018. The United States and China lead the field, and CAR-T is the most popular platform. Source: CRI IO Analytics and GlobalData.



Supplementary Figure 3 | Comparison of cancer cell therapy pipelines of 2019 and 2018 by ownership type. Source: CRI IO Analytics and GlobalData.

Lo que viene.....estamos preparados???

1.011, 258 más que en 2018



CAR-T, 568 ↑ 164



Fig 1 | Trends in the cancer cell therapy pipeline. The figure compares the characteristics of the pipeline of 1,011 active agents in March 2019 with that of 753 agents in March 2018, categorized by the type of platform (part a) and the top 10 targets (part b). In 2019, a total of 134 targets are being pursued, 20 more than in 2018. TAA, tumour-associated antigen; TSA, tumour-specific antigen. For details, see Supplementary Information and the dashboard in Related links. Sources: Cancer Research Institute IO analytics, ClinicalTrials.gov and Genentech data.

Yu JX et al. The global pipeline of cell therapies for cancer.

Nat Rev Drug Discov 2019. may 30

Lo que viene.....estamos preparados???

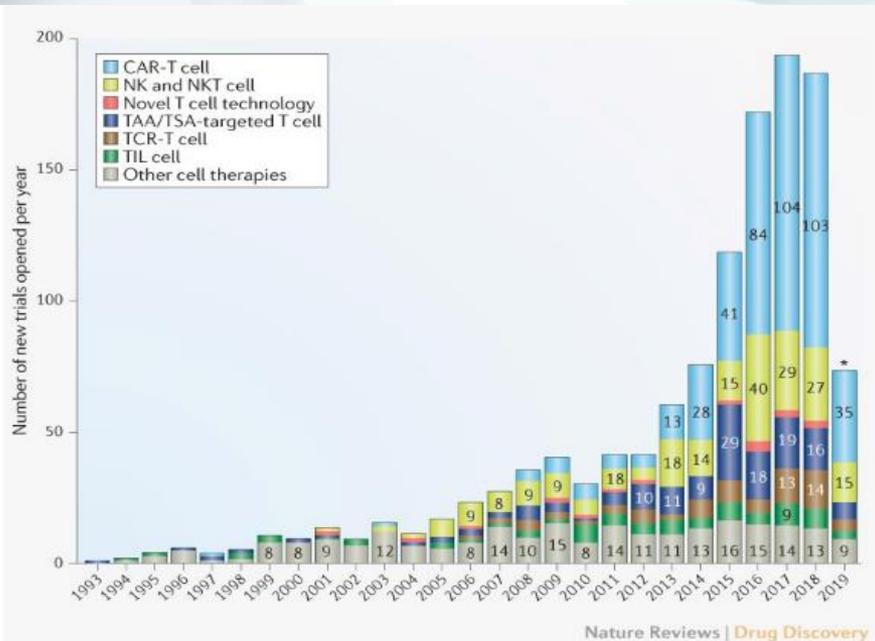


Fig. 2 | **The evolution of cell therapy trials for cancer since 1993.** Both currently active and inactive trials are included for this analysis, which is based on data extracted from ClinicalTrials.gov in March 2019, and so the data for this year is incomplete, indicated by an asterisk.

**Investigación redundante
Menos en tumores sólidos
(90% de la incidencia global
de cáncer)**

Yu JX et al. *The global pipeline of cell therapies for cancer.*
Nat Rev Drug Discov 2019. may 30



Líneas temporales pre y peri lanzamiento comercial

2-3 años antes de probable autorización por la EMA

Horizon scanning

Adelantarse, Conocer pipeline, datos de pérdida de patente, de pérdida de exclusividad en el mercado

1 año hasta EMA autorización

Evaluación clínica, valoración incertidumbres

Mejorar evaluación crítica

EMA autorización IPT

Precio y financiación a nivel nacional

Decisiones precio y financiación

Manejar incertidumbres

Seguimiento post-autorización

Problema



Mínimo beneficio: de 23 medicamentos que mejoran la supervivencia 11(48%) no cumplen criterio de beneficio clínicamente significativo¹

Población no representativa: ventajas marginales aplicadas al mundo real pueden desaparecer

Variables subrogadas: pobre correlación con la supervivencia. Necesidad de validación^{2,3}

Elevado riesgo de sesgo: en diseño, realización y análisis⁴

¹Davis C et al. BMJ 2017;359:j4530

²Kemp R, Prasad V. BMC Medicine 2017;15:134

³Kim C, Prasad V. Mayo Clin Proc 2016;91:713-25

Naci et al. BMJ 2019;366:15221

SI NO ERES
PARTE DE LA
SOLUCIÓN
ERES PARTE
DEL PROBLEMA

64

CONGRESO
NACIONAL
SOCIEDAD
ESPAÑOLA DE
FARMACIA
HOSPITALARIA

SEVILLA
17/19 OCT
2019



**Expectativas, ¿adecuadamente
manejadas?
Excelencia para profesional?
Valen lo que cuestan
Sabemos lo que dan de si los
fase II**

64

CONGRESO
NACIONAL
SOCIEDAD
ESPAÑOLA DE
FARMACIA
HOSPITALARIA

SEVILLA
17/19 OCT
2019

Plan de Terapias avanzadas en el SNS

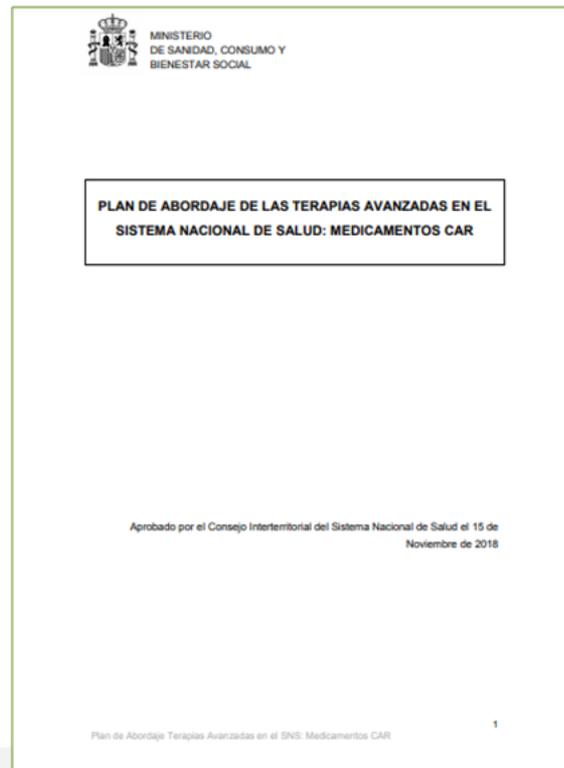
Se enmarca en el Plan Estratégico de
Medicina de Precisión del SNS

Aprobación por la CE de las
primeras terapias celulares
industriales



Kymriah: Tisagenlecleucel
Yescarta: Axicabtagén
ciloleucel

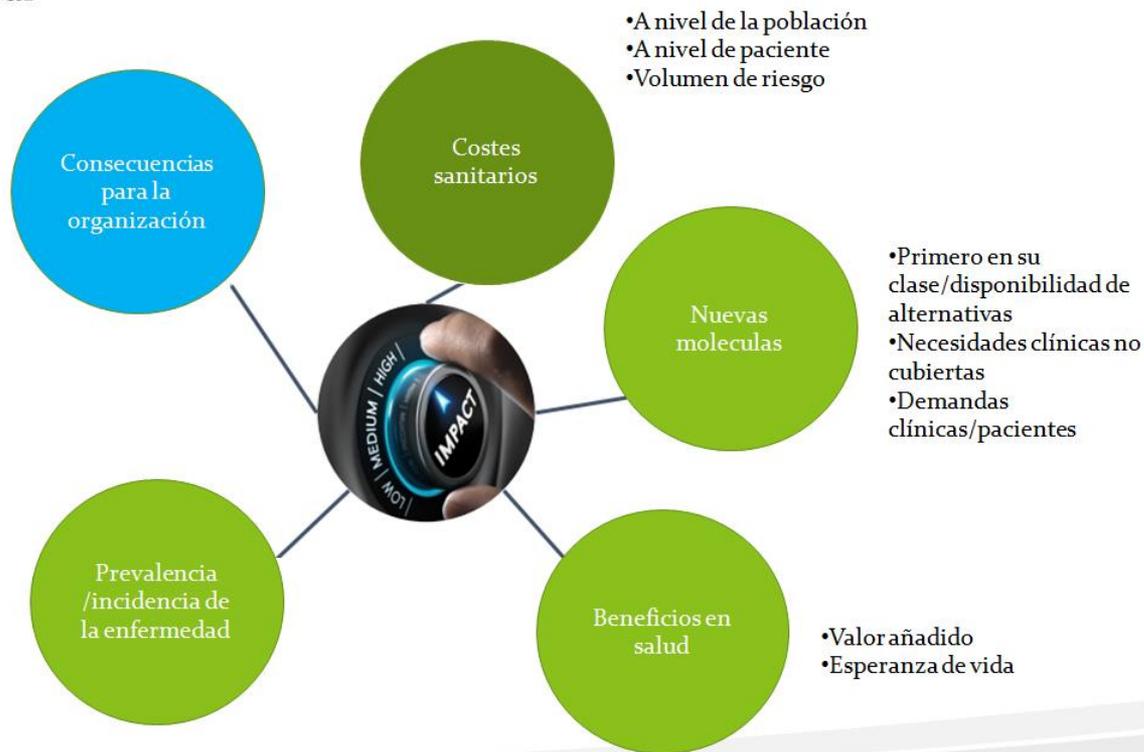
Agosto de
2018



Parámetros a considerar

- Utilización de servicios
- Infraestructura
- Impacto en la prestación de servicios
- Impacto en el manejo de la enfermedad

- Población de pacientes
- Designación de huérfano



Plan de Terapias avanzadas en el SNS

Posicionamiento-priorización-
protocolización



Pago por resultados



Protocolos farmacoclinicos
nacionales

Registro-VALTERMED

Plan de Terapias avanzadas en el SNS

Medicamentos CAR

- Medicamentos **alto impacto sanitario** (proceso asistencial complejo) y **alto impacto económico**
- No exentos de **elevado riesgo** para el paciente (frecuencia ingreso UCI aprox. 30% con aparición de efectos adversos graves potencialmente mortales como el síndrome de liberación de citocinas)

➔ Retos en el Sistema Nacional de Salud

- **Equidad, calidad y seguridad** en su utilización
- **Eficiencia: sostenibilidad**

Plan de Terapias avanzadas en el SNS

Modelo asistencial para garantizar la equidad en el acceso a los medicamentos CAR-T y la cohesión en la toma de decisiones



**ACUERDO DE PAGO POR RESULTADOS: TISAGENLEUCUCEL ENERO DE 2019
(PRIMEROS EN EUROPA PARA LAS DOS INDICACIONES)**



**ACUERDO DE PAGO POR RESULTADOS: AXICABTAGÉN CILOLEUCEL JULIO
DE 2019**

Incertidumbres clínicas y económicas: compartir riesgos- crear cultura de registro- resultados en salud

Diseño del Plan

PARTICIPATIVO: LIDERAZGO COMPARTIDO

- **Ministerio:** Secretaria General de Sanidad y Consumo: la Agencia Española del Medicamento y Productos Sanitarios, la ONT , el Instituto de Salud Carlos III y la Dirección General de Cartera básica de servicios del SNS y Farmacia,
- **CCAA** a través de 3 Comisiones Delegadas (Comisión Permanente de Farmacia, Comisión de Prestaciones, Aseguramiento y Financiación y la Comisión de Trasplantes).
- **Sociedades Científicas:** Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia, Sociedad Española de Oncología Médica, Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátrica Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria, Sociedad Española de Inmunología y Sociedad Española de Farmacología Clínica.
- **Asociaciones de pacientes:** Foro Español de Pacientes, Alianza General de Pacientes, Plataforma de Organizaciones de Pacientes.

Objetivo del Plan

Organizar de forma **planificada, equitativa, segura y eficiente** la utilización de los medicamentos CAR en el SNS.

Impulsar la **investigación pública** y la **fabricación propia y pública** de estos medicamentos en el ámbito académico del SNS.

Modelo Organizativo

- **Red de centros designados** para la utilización de los medicamentos CAR en el SNS: cumplan los mejores estándares de calidad y seguridad asistencial siendo su selección realizada en base a criterios objetivos y transparentes.
- **Centros de fabricación propia** de medicamentos CAR: autorizados bajo la norma de exención hospitalaria (*Real Decreto 477/2014, de 13 de junio, por el que se regula la autorización de medicamentos de terapia avanzada de fabricación no industrial*)

Modelo Asistencial

- **Unidades multidisciplinares** para el abordaje integral de la utilización del medicamento y del manejo clínico del/ de la paciente.
- Grupo de **expertos** en la utilización de los medicamentos CAR a nivel del **SNS** formado por expertos gestores y clínicos: Ministerio, CCAA y SSCC

Grupos de trabajo

- Grupo de expertos para la definición de criterios para la designación de centros
- Grupo de expertos en la utilización de los medicamentos CAR, a nivel del SNS
- Grupo de expertos para la optimización de la gestión farmacéutica en la utilización de los medicamentos CAR-T
- Grupo de trabajo Institucional (GTI)

Criterios y estándares para la designación de centros

64

CONGRESO
NACIONAL
SOCIEDAD
ESPAÑOLA DE
FARMACIA
HOSPITALARIA

SEVILLA
17/19 OCT
2019



MINISTERIO
DE SANIDAD, CONSUMO
Y BIENESTAR SOCIAL

SECRETARÍA GENERAL DE SANIDAD Y CONSUMO

DIRECCIÓN GENERAL DE CARTERA BÁSICA DE
SERVICIOS DEL SNS Y FARMACIA

Componentes del grupo de expertos para la definición de criterios para la designación de centros del "Plan de abordaje de las terapias avanzadas en el SNS: medicamentos CAR" (ordenados alfabéticamente por primer apellido):

Josefa María Aldana Espinal. Representante de Andalucía

Cristina Avendaño Solá, Representante de la Sociedad Española de Farmacología Clínica

Encarnación Cruz Martos. Representante de la Comunidad de Madrid

Luis De La Cruz Merino. Representante de la Sociedad Española de Oncología Médica

Jorge Gayoso Cruz. Representante de la Organización Nacional de Trasplantes

Marcos González Díaz. Representante de Castilla y León

Manel Juan Otero. Representante de la Sociedad Española de Inmunología

Jose María Moraleda Jiménez. Servicio Hematología y Hemoterapia. Representante del Instituto de Salud Carlos III

Nekane Murga Elizagaechearría. Representante del País Vasco

Susana Rives Solá. Representante de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátricas

Pablo Rodríguez Martínez. Representante de la Comunitat Valenciana

Antonia Sampol Mayol. Representante de Islas Baleares

Isabel Lopez San Roman. Representante de Castilla La Mancha

Jorge Sierra Gil. Representante de la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia

Mercedes Suarez Dominguez. Representante de Galicia

Ana Tejerina Puente. Representante de Cantabria

Marcos Timón Jiménez. Representante de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios

Esteve Trias Adroher. Representante de Cataluña

Joan Vinent Genestar. Representante de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria

Coordinador por: Dolores Fraga Fuentes. Subdirectora de Calidad y Medicamentos. Dirección General de Cartera Básica de Servicios del SNS y Farmacia.

Experiencia:

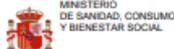
- Actividad total en trasplantes alogénicos de progenitores hematopoyéticos complejos
- Actividad total de aféresis de progenitores hematopoyéticos
- Actividad total de procesamiento celular complejo
- Experiencia clínica con medicamentos CAR-T

Calidad y seguridad:

- Unidad multidisciplinar
- Comité clínico-patológico
- Acreditación JACIE-CAT-ONT
- Acreditación CSUR TPH infantil (LLA)

Investigación: Experiencia preclínica con células inmunoefectoras

Producción propia: Certificado de cumplimiento de normas de correcta fabricación de la AEMPS



MINISTERIO
DE SANIDAD, CONSUMO
Y BIENESTAR SOCIAL

SECRETARÍA GENERAL DE SANIDAD Y CONSUMO

DIRECCIÓN GENERAL DE CARTERA BÁSICA DE
SERVICIOS DEL SNS Y FARMACIA

CRITERIOS Y ESTÁNDARES PARA LA DESIGNACIÓN DE CENTROS PARA UTILIZACIÓN DE CAR-T EN LINFOMA DIFUSO DE CÉLULAS B GRANDES RECIDIVANTE O REFRACTARIO Y EN LEUCEMIA LINFOBLÁSTICA AGUDA DE CÉLULAS B REFRACTARIA EN EL SISTEMA NACIONAL DE SALUD

Desarrollado en el grupo de expertos para la definición de criterios para la designación de centros del "Plan de abordaje de las terapias avanzadas en el SNS: medicamentos CAR"

Remitido a la Comisión Permanente de Farmacia y a la Comisión de Prestaciones, Aseguramiento y Financiación para aportaciones

Validado por el grupo de trabajo institucional

Aprobado por el Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud (4 de marzo de 2019)



MINISTERIO
DE SANIDAD, CONSUMO
Y BIENESTAR SOCIAL

SERVICIOS DEL SNS Y FARMACIA

CRITERIOS Y ESTÁNDARES PARA LA DESIGNACIÓN DE CENTROS PARA LA UTILIZACIÓN DE CAR-T EN LA INDICACIÓN DE LINFOMA DIFUSO DE CÉLULAS B GRANDES RECIDIVANTE O REFRACTARIO

CRITERIOS	ESTÁNDAR		
	MÍNIMO 50%	MEDIO 70%	ÓPTIMO 100%
Disponer de una unidad multidisciplinaria formada por los roles profesionales que intervienen en el proceso			
CONSENSO	1.- Existencia de una <u>unidad multidisciplinaria</u> de TPH o terapia CAR-T para los ensayos clínicos o unidad de terapias avanzadas que incluya en su <u>organigrama funcional</u> los principales especialistas de CAR-T. 2.- En el momento de solicitar la acreditación, presentar el <u>acuerdo firmado</u> entre la <u>Dirección y el centro</u> , las <u>Servicios de Hematología, Farmacia, UCI, Radiología y Laboratorio</u> , <u>Hemato-oncología pediátrica</u> , <u>Neumología</u> , <u>Inmunología</u> , <u>Farmacología clínica</u> (o en su defecto profesional sanitario que realice funciones de farmacoposición) por el que se crea la nueva unidad multidisciplinaria específica con un responsable del programa de terapia celular CAR-T en todo el proceso desde el ingreso hasta el seguimiento al alta.	Cumplimiento de lo anterior y además: 1. Que la unidad multidisciplinaria sea específica de CAR-T. 2. Que disponga de procedimientos normalizados de trabajo (PNIT) definidos y consensuados; 3. Que acredite reuniones periódicas mediante actas (mínimo 5-6).	Cumplimiento de lo anterior y además: 1. Que exista un seguimiento de las indicaciones definidas; 2. Que acredite reuniones periódicas, tanto formativas como operativas mediante actas (>10).
Actividad total de trasplantes alogénicos de progenitores hematopoyéticos: complejo (donantes no emparentados, sangre de cordón umbilical, haploidenticos) en los últimos 3 años (2016-2018)*			
CONSENSO	Al menos el percentil 50	Percentil >50 a 75	>Percentil 75
Disponer de la acreditación JACIE-CAT-ON†			
CONSENSO		Acreditación de aféresis y procesamiento. Solicitud de acreditación de trasplante alogénico con check list documentado y enviado.	Acreditación para trasplante alogénico o en proceso de reacreditación con vigencia de acreditación previa vencida con fecha de menos de un año
Disponer de un comité clínico-patológico, multidisciplinaria, para la revisión de candidatos a medicamentos CAR-T			
CONSENSO	Disponer de comité de TPH o tumores o asimilable (representación hematológica, y en éste los especialistas implicados en el seguimiento de la eficacia y seguridad del medicamento y del paciente)	Cumplimiento de lo anterior y además: 1. Que el Comité sea específico de terapia avanzada. 2. Que acredite reuniones periódicas y actividad de casos (mínimo entre el percentil 50-75%) mediante actas que reflejen a su vez su coordinación con la UMD.	Cumplimiento de lo anterior y además: 1. Que el Comité sea específico de terapia CAR-T. 2. Que acredite reuniones periódicas y actividad de casos (superior al percentil 75%)

3



MINISTERIO
DE SANIDAD, CONSUMO
Y BIENESTAR SOCIAL

SECRETARÍA GENERAL DE SANIDAD Y CONSUMO

DIRECCIÓN GENERAL DE CARTERA BÁSICA DE
SERVICIOS DEL SNS Y FARMACIA

Disponer de experiencia clínica con medicamentos CAR-T			
CONSENSO	Al menos el percentil 50.	Percentil >50 a 75.	>Percentil 75.
Disponer de un certificado de cumplimiento de las normas de correcta fabricación de la AEMPS			
CONSENSO		Disponer de una certificación GMP para la fabricación de medicamentos de terapia avanzada.	Disponer de una certificación GMP para la fabricación de medicamentos de terapia celular específica: CAR.
Actividad total de aféresis** de progenitores hematopoyéticos en los últimos 3 años (2016-2018)*			
CONSENSO	Al menos el percentil 50.	Percentil >50 a 75.	>Percentil 75.
Actividad total de procesamiento celular complejo en los últimos 3 años (del centro o del banco de progenitores de referencia) (2016-2018)*			
CONSENSO	Al menos el percentil 50.	Percentil >50 a 75.	>Percentil 75. Selección celular, de linfocitos específicos, mesenquimales.
Disponer de experiencia preclínica con células inmunoelectoras			
CONSENSO	Disponer de al menos un proyecto de investigación financiado mediante concurrencia competitiva sobre terapia avanzada	1. Disponer de ≥1 proyecto de investigación sobre células inmunoelectoras y 2. Disponer de comunicaciones a congresos	1. Disponer de ≥1 proyecto de investigación sobre CAR células inmunoelectoras y 2. Disponer de publicaciones en revistas indexadas nacionales o internacionales o patentes.

* Analizar por separado actividad en adultos y pediátricos.

** Se incluyen aféresis, linfoaféresis y fotoaféresis. Sólo contabilizan las solicitudes por centro evaluado

CRITERIOS PARA LA DESIGNACIÓN DE CENTROS DE LBDCC

CRITERIOS	OBLIGADO / RECOMENDACIÓN	NIVEL DE IMPORTANCIA	PUNTUACIÓN GLOBAL	PUNTUACIÓN POR CRITERIO
Disponer de una unidad multidisciplinaria formada por los roles profesionales que intervienen en el proceso	OBLIGADO	ALTA	48,3	16,1
Actividad total de trasplantes alogénicos de progenitores hematopoyéticos complejos (donantes no emparentados, sangre de cordón umbilical, haploidénticos) en los últimos 3 años (2016-2018)	OBLIGADO	ALTA		16,1
Disponer de la acreditación JACIE-CAT-ONT	RECOMENDADO	ALTA		16,1
Disponer de un comité clínico-patológico, multidisciplinaria, para la revisión de candidatos a medicamentos CAR-T	OBLIGADO	MEDIA	20	10
Disponer de experiencia clínica con medicamentos CAR-T	RECOMENDADO	MEDIA		10
Actividad total de aféresis** de progenitores hematopoyéticos en los últimos 3 años (2016-2018)*	RECOMENDADO	BAJA	26,7	6,675
Actividad total de procesamiento celular complejo en los últimos 3 años (del centro o del banco de progenitores de referencia) (2016-2018)	RECOMENDADO	BAJA		6,675
Disponer de un certificado de cumplimiento de las normas de correcta fabricación de la AEMPS	RECOMENDADO	BAJA		6,675
Disponer de experiencia preclínica con células inmunoefectoras	RECOMENDADO	BAJA		6,675
BONUS SI EL CENTRO CUMPLE TODOS LOS CRITERIOS				5
TOTAL			100	100

ESTÁNDARES DE LOS CRITERIOS PARA LA DESIGNACIÓN DE CENTROS DE LBDCC								
CRITERIOS DE CALIFICACIÓN: A. Cumple con el MÍNIMO del criterio asociado (50%); B. cumple con el MEDIO del criterio asociado (70%); C. Cumple con el ÓPTIMO del criterio asociado (100%); D. No cumple con el criterio asociado (0 puntos).								
CRITERIOS	PUNTUACIONES				A	B	C	D
	A	B	C	D				
Disponer de una unidad multidisciplinaria (UMD) formada por los roles profesionales que intervienen en el proceso	A, 4,85	11,27	16,1	0				
MINIMO	Existencia de una UMD de TPH o terapia CAR-T para los ensayos clínicos o unidad de terapias avanzadas Organigrama funcional que incluya los principales especialistas de CAR-T cells Acuerdo firmado entre Gerencia y al menos los servicios implicados en todo el proceso desde ingreso hasta seguimiento al alta Coordinador responsable de la UMD							
MEDIO	Cumplimiento de lo anterior UMD específico de CAR-T Que disponga de procedimientos normalizados de trabajo (PNT) definidos y consensuados Que acredite revisiones periódicas mediante actas (mínimo 5-6)							
ÓPTIMO	Cumplimiento de lo anterior Que exista un seguimiento de los indicadores definidos Que acredite revisiones periódicas, tanto formativas como operativas mediante actas (10)							
Actividad total de trasplantes alogénicos de progenitores hematopoyéticos complejos (donantes no emparentados, sangre de cordón umbilical, haploidénticos) en los últimos 3 años	A	B	C	D				
Actividad 2016: Adultos Niños	Actividad 2017: Adultos Niños	Actividad 2018: Adultos Niños						
MINIMO	Al menos el percentil 50 (XX)							
MEDIO	Percentil >50 a 75 (XX)							
ÓPTIMO	> Percentil 75 (XX)							
Disponer de la acreditación JACIE-CAT-ONT		B	C	D				
MEDIO	Acreditación de aféresis y procesamiento					11,27	16,1	0

Criterios y estándares para la designación de centros. Ejemplos con LLA

CRITERIOS	OBLIGADO / RECOMENDACIÓN	NIVEL DE IMPORTANCIA	PUNTUACIÓN GLOBAL	PUNTUACIÓN POR CRITERIO
Disponer de una unidad multidisciplinaria formada por los roles profesionales que intervienen en el proceso	OBLIGADO	ALTA	45	15
Actividad total de trasplantes alogénicos de progenitores hematopoyéticos complejos (donantes no emparentados, sangre de cordón umbilical, haploidénticos) en los últimos 3 años (2016-2018)	OBLIGADO	ALTA		15
Disponer de la acreditación JACIE-CAT-ONT	RECOMENDADO	ALTA		15
Disponer de un comité clínico-patológico, multidisciplinaria, para la revisión de candidatos a medicamentos CAR-T	OBLIGADO	MEDIA	30	10
Disponer de la acreditación como CSUR de TPH alogénico infantil	RECOMENDADO	MEDIA		10
Disponer de experiencia clínica con medicamentos CAR-T	RECOMENDADO	MEDIA		10
Actividad total de aféresis** de progenitores hematopoyéticos en los últimos 3 años (2016-2018)*	RECOMENDADO	BAJA	20	5
Actividad total de procesamiento celular complejo en los últimos 3 años (del centro o del banco de progenitores de referencia) (2016-2018)	RECOMENDADO	BAJA		5
Disponer de un certificado de cumplimiento de las normas de correcta fabricación de la AEMPS	RECOMENDADO	BAJA		5
Disponer de experiencia preclínica con células inmunoeefectoras	RECOMENDADO	BAJA		5
BONUS SI EL CENTRO CUMPLE TODOS LOS CRITERIOS			5	5
TOTAL			100	100

* Analizar por separado actividad en adultos y pediátricos.

** Se incluyen aféresis, linfoaféresis y fotoaféresis. Sólo contabilizan las solicitadas por centro evaluado

El 4 de marzo de 2019 se aprobó en el seno del Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud (SNS) los criterios y estándares para la designación de centros para la utilización de los medicamentos CAR-T en el SNS, enmarcados en el “Plan para el abordaje de las terapias avanzadas en el SNS: medicamentos CAR”.

Método

Tras la aprobación de los criterios y estándares por el Consejo Interterritorial del SNS el pasado 4 de marzo de 2019, se han desarrollado las siguientes etapas:

1. Solicitud del Secretario General de Sanidad y Consumo de la propuesta de centros para la utilización de los medicamentos CAR-T junto con las puntuaciones de cada criterio, aportando a su vez la información que se considerase necesaria.
2. Análisis de la información.
3. Remisión a las CCAA de las puntuaciones provisionales de los centros propuestos posibilitando un periodo de alegaciones.
4. Análisis de las alegaciones recibidas.
5. Remisión a las CCAA de las puntuaciones definitivas añadiendo el análisis de cada una de las alegaciones realizadas.
6. Solicitud de la Directora General de Cartera Básica de Servicios del SNS y Farmacia de la capacidad asistencial de cada uno de los centros propuestos.
7. Determinación de la propuesta de centros para ser designados.

SECRETARÍA GENERAL DE SANIDAD Y CONSUMO	
	DIRECCIÓN GENERAL DE CARTERA BÁSICA DE SERVICIOS DEL SNS Y FARMACIA
<h2>Cuestionario de autoevaluación para selección de centros para utilización de CAR-T</h2>	
<p><i>Desarrollado en el grupo de expertos para la definición de criterios para la designación de centros del "Plan de abordaje de las terapias avanzadas en el SNS: medicamentos CAR"</i> Remitido a la Comisión Permanente de Farmacia y a la Comisión de Prestaciones, Aseguramiento y Financiación para aportaciones Validado por el grupo de trabajo institucional. Aprobados los criterios y estándares por el Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud (4 de marzo de 2019)</p>	
<p>Componentes del grupo de expertos para la definición de criterios para la designación</p> <p>Josefa María Aldana Espinal. Representante de Andalucía Cristina Avendaño Solá. Representante de la Sociedad Española de Farmacología Clínica Encarnación Cruz Martos. Representante de la Comunidad de Madrid Luis De La Cruz Merino. Representante de la Sociedad Española de Oncología Médica Jorge Gayoso Cruz. Representante de la Organización Nacional de Trasplantes Marcos González Díaz. Representante de Castilla y León Manel Juan Otero. Representante de la Sociedad Española de Inmunología Jose María Moraleda Jiménez. Servicio Hematología y Hemoterapia. Representante del Instituto de Nekane Murga Eizagaachevarría. Representante del País Vasco Susana Rives Solá. Representante de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pablo Rodríguez Martínez. Representante de la Comunitat Valenciana Antonia Sampol Mayol. Representante de Islas Baleares Ísabel Lopez San Roman. Representante de Castilla La Mancha Jorge Sierra Gil. Representante de la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia Mercedes Suarez Dominguez. Representante de Galicia Ana Tejerina Puente. Representante de Cantabria Marcos Timón Jimenez. Representante de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Esteve Trias Adroher. Representante de Cataluña Joan Vinent Genestar. Representante de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria Coordinador por: Dolores Fraga Fuentes. Subdirectora de Calidad y Medicamentos. Dirección</p>	

INSTRUCCIONES PARA COMPLETAR EL AUTOCUESTIONARIO

Tal como se especifica en el **Plan de abordaje de las terapias avanzadas en el SNS de medicamentos CAR**, aprobado por el Consejo Interterritorial del SNS el 15 de noviembre de 2018, se creará un **grupo de expertos para la definición de criterios para la designación de centros**. El objetivo del grupo será proponer al grupo de trabajo institucional los criterios de selección técnicos que deben cumplir los centros que sean designados para la utilización de los medicamentos CAR-T atendiendo tanto a la seguridad clínica como a la visión estratégica de la traslación de la investigación independiente a la práctica clínica. Este autocuestionario recoge los criterios y estándares elaborados por el grupo de trabajo.

Cada CCAA cumplimentará los datos correspondientes a los centros que va a solicitar para su designación lo que permitirá la valoración del cumplimiento de los criterios y los estándares definidos, estableciéndose un ranking en su cumplimiento. Con objeto que la planificación obedezca a las necesidades asistenciales, el número de centros necesarios se establecerá en función de éstas, redimensionándose conforme la demanda asistencial lo requiera. En la **pestaña de datos** se indicarán los datos del tipo y actividad del centro en los últimos tres años (2016-2018). En el caso de los criterios de **Unidad multidisciplinaria** y **Comité clínico patológico**, se debe completar con datos adicionales para determinar si alcanza el **estándar mínimo, medio u óptimo**.

En las **pestañas de checklist** (uno para LBDCG y otro para LLA) está el cuestionario de autoevaluación con los criterios establecidos y los estándares mínimo, medio y óptimo. La puntuación establecida según el estándar que está recogido en la columna de puntuaciones, CRITERIOS DE CALIFICACION: A. Cumple con el **MÍNIMO** del criterio enunciado (50%); B. cumple con el **MEDIO** del criterio enunciado (70%); C. Cumple con el **ÓPTIMO** del criterio enunciado (100%); D. No cumple con el criterio enunciado (0 puntos). En la columna de puntuación se escribe en el **cuadro en blanco** la puntuación correspondiente, por ejemplo si en el primer criterio solo se alcanza el mínimo pondremos que tenemos 8,05 puntos, ya que corresponde el 50% de la puntuación del criterio (ver pestaña de puntuación de criterios) y así sucesivamente en todos los criterios. Si se cumplen todos los criterios se añade un bonus de 5 puntos.

En la **pestaña LDBDG** están recogidos los CRITERIOS Y ESTÁNDARES DE LOS CRITERIOS PARA LA DESIGNACIÓN DE CENTROS DE Linfoma B difuso de célula grande (LBDCG).

En la **pestaña LLA** están recogidos los CRITERIOS Y ESTÁNDARES DE LOS CRITERIOS PARA LA DESIGNACIÓN DE CENTROS DE LLA

La puntuación establecida para cada uno de los criterios está recogida en la **pestaña puntuación de criterios**

Los percentiles se obtendrán de los datos de actividad de los distintos centros a nivel nacional

El modelo organizativo que se propone es la designación de centros de referencia para la utilización de los medicamentos CAR en el SNS. El objetivo es disponer de **centros seleccionados que cumplan los mejores estándares de calidad y seguridad asistencial** siendo su selección realizada en base a criterios objetivos y transparentes.

CRITERIOS DE CALIFICACION: A. Cumple con el **MINIMO** del criterio enunciado (50%); B. cumple con el **MEDIO** del criterio enunciado (70%); C. Cumple con el **ÓPTIMO** del criterio enunciado (100%); D. **No cumple con el criterio enunciado (0 puntos).**

CRITERIOS		PUNTUACIONES			
		A	B	C	D
Disponer de una unidad multidisciplinar (UMD) formada por los roles profesionales que intervienen en el proceso		8,05	11,27	16,1	0
MINIMO	Existencia de una UMD de TPH o terapia CAR-T para los ensayos clínicos o unidad de terapias avanzadas				
	Organigrama funcional que incluya los principales especialistas de CAR-T cells				
	Acuerdo firmado entre Gerencia y al menos los servicios implicados en todo el proceso desde ingreso hasta seguimiento al alta				
	Coordinador responsable de la UMD				
MEDIO	Cumplimiento de lo anterior				
	UMD específica de CAR-T Que disponga de procedimientos normalizados de trabajo (PNT) definidos y consensuados Que acredite reuniones periódicas mediante actas (mínimo 5-6)				
ÓPTIMO	Cumplimiento de lo anterior				
	Que exista un seguimiento de los indicadores definidos Que acredite reuniones periódicas, tanto formativas como operativas mediante actas (>10)				
Actividad total de trasplantes alogénicos de progenitores hematopoyéticos complejos (donantes no emparentados, sangre de cordón umbilical, haploidénticos) en los últimos 3 años		8,05	11,27	16,1	0
Actividad 2016: Adultos Niños		Actividad 2017: Adultos Niños		Actividad 2018: Adultos Niños	
MINIMO	Al menos el percentil 50 (XX).				
MEDIO	Percentil >50 a 75 (XX)				
ÓPTIMO	> Percentil 75 (XX)				
Disponer de la acreditación JACIE-CAT-ONT			B	C	D
			11,27	16,1	0
MEDIO	Acreditación de aféresis y procesamiento				
ÓPTIMO	Acreditación para trasplante alogénico. Fecha de acreditación:				
	En proceso de reacreditación con vigencia de acreditación previa vencida con fecha de menos de un año				
Disponer de un comité clínico-patológico, multidisciplinar, para la revisión de candidatos a medicamentos CAR-T		5	7	10	0
MINIMO	Disponer de comité de TPH o tumores o asimilable (representación hematólogos, y todos los especialistas implicados en el seguimiento de la eficacia y seguridad del medicamento y del paciente)				
	Cumplimiento de lo anterior				
	Comité específico de terapia avanzada.				
	Acreditación reuniones periódicas en actas				
MEDIO	Actividad de casos documentadas en actas (percentil 50-75)				
	Coordinación con la UMD				
	Cumplimiento de lo anterior				
	Comité específico de terapia CAR-T.				
ÓPTIMO	Acreditación reuniones periódicas en actas				

ANÁLISIS
PUNTUACIONES
ALEGACIONES

Estimación de pacientes a tratar

1. Para LBDCG:

ESTIMACIÓN PACIENTES	Nº CENTROS NECESARIOS (considerando la capacidad asistencial declarada)
339	8

Epidemiología y capacidad asistencial

2. Para LLA en pacientes mayores de 18 años

ESTIMACIÓN PACIENTES TOTALES	ESTIMACIÓN PACIENTES CON MÁS DE 18 AÑOS (30%)	Nº CENTROS NECESARIOS (considerando la capacidad asistencial declarada)
68	20.4	8

3. Para LLA en pacientes menores de 18 años

ESTIMACIÓN PACIENTES TOTALES	ESTIMACIÓN PACIENTES CON MÁS DE 18 AÑOS (70%)	Nº CENTROS NECESARIOS (considerando la capacidad asistencial declarada)
68	47.6	3

TERAPIAS AVANZADAS

PLAN DE ABORDAJE DE LAS TERAPIAS AVANZADAS EN EL SISTEMA NACIONAL DE SALUD: MEDICAMENTOS CAR 

1. Criterios y estándares para la designación de centros para la administración de las CAR-T:

- > Criterios y estándares designación de centros CAR-T 
- > Lista comprobación cumplimiento criterios centros CAR-T 
- > Manual Instrucciones Autoevaluación CAR-T 

2. Red de centros designados para el uso de medicamentos CAR-T en el SNS.

- > Complejo Asistencial de Salamanca en LBDCG  y en LLA  >18 años
- > Hospital Clinic de Barcelona en LBDCG  y en LLA  >18 años
- > Hospital Clínico Universitario de Valencia en LBDCG  y en LLA  >18 años
- > Hospital de la Santa Creu i Sant Pau en LBDCG  y en LLA  >18 años
- > Hospital Universitario Gregorio Marañón en LBDCG  y en LLA  >18 años
- > Hospital Universitario i Politècnic La Fe en LBDCG  y en LLA  >18 años
- > Hospital Universitario Virgen del Rocío de Sevilla en LBDCG  y en LLA 
- > Hospital Vall d'Hebrón en LBDCG  y en LLA  >18 años
- > Hospital del Niño Jesús en LLA  <18 años
- > Hospital Sant Joan de Deu en LLA  en <18 años
- > Hospital Vall d'Hebrón en LLA  <18 años
- > Centros asistenciales adicionales:
 - ICO Hospital Duran i Reynals en LBDCG  y en LLA  >18 años
 - ICO Hospital Germans Trias i Pujol en LBDCG  y en LLA  >18 años
 - Hospital Universitario La Paz en LLA  <18 años
- > Centro con carácter excepcional
 - Hospital Universitario de Gran Canaria Dr Negrín en LBDCG  y en LLA  >18 años

1. Centros designados para el tratamiento de LBDCG y LLA-B en adultos en el SNS:

- a. Hospital Clinic de Barcelona (actualmente cualificado para utilizar axicabtagén ciloleucel y con el ensayo clínico académico en curso).
- b. Hospital Universitario Gregorio Marañón (actualmente cualificado para utilizar axicabtagén ciloleucel y para tisagenlecleucel).
- c. Hospital Vall d'Hebron (actualmente cualificado para utilizar tisagenlecleucel y axicabtagén ciloleucel).
- d. Hospital Universitari i Politècnic La Fe (en proceso de cualificación de tisagenlecleucel y axicabtagén ciloleucel).
- e. Complejo Asistencial de Salamanca (cualificado para utilizar axicabtagén ciloleucel y tisagenlecleucel).
- f. Hospital Universitario Virgen del Rocío de Sevilla (cualificado para utilizar tisagenlecleucel y en proceso de cualificación de axicabtagén ciloleucel)
- g. Hospital Clínico Universitario de Valencia (en proceso de cualificación de axicabtagén ciloleucel y tisagenlecleucel).
- h. Hospital de la Santa Creu i Sant Pau (cualificado para utilizar tisagenlecleucel).

Se han designado dos centros adicionales que únicamente utilizarán los medicamentos CAR-T en el caso de que la actividad sobrepase a los centros que están designados: ICO Hospital Duran i Reynals e ICO Hospital Germans Trias i Pujol (ambos cualificados para tisagenlecleucel).

https://www.msccbs.gob.es/profesionales/farmacia/Terapias_Avanzadas.htm

GRUPO DE EXPERTOS EN LA UTILIZACIÓN DE MEDICAMENTOS CARA NIVEL SNS

Definir las recomendaciones para armonizar el proceso asistencial



Protocolo farmacoclínico
Protocolo manejo EA
Procedimientos técnicos
obtención muestra y
administración

Definir el modelo para la medición de los resultados en salud en la práctica clínica, con el objetivo de determinar el valor terapéutico añadido de los medicamentos CART



VALTERMED

PROTOCOLO FARMACOCLÍNICO DEL USO DE TISAGENLEUCEL EN
LINFOMA B DIFUSO DE CÉLULAS GRANDES EN EL SISTEMA NACIONAL DE
SALUD

Desarrollado por el grupo de expertos en la utilización de medicamentos CAR del ¹Plan
abordaje de las terapias avanzadas en el SNS: medicamentos C

Remitido a la Comisión Permanente de Farmacia y a la Comisión de Prestación
Aseguramiento y Financiación para aportación

Validado por el grupo de trabajo instituci

Aprobado por el Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud (8 de mayo
2019)

3. CRITERIOS DE SELECCIÓN DE PACIENTES

Se consideran **pacientes candidatos a iniciar el tratamiento** con tisagenlecleucel aquellos que **cumplan con todos los siguientes criterios:**

- Edad ^a ≥ 18 años
- Diagnóstico histológico de linfoma difuso de células grandes (LBDCG).
- Antes de considerar el inicio del tratamiento con tisagenlecleucel, el paciente debe haber recibido un tratamiento sistémico para su linfoma difuso de células grandes, que puede haber sido con o sin quimioterapia, y haber alcanzado una remisión parcial o superior.
- Enfermedad eritroblástica definida por un hemograma que muestre una anemia con hemoglobina < 10 g/dl y/o plaquetas < 100.000/mm³.

^a No hay evidencia de beneficio en pacientes con edad < 18 años.
^b En el EC pivotal no se incluyeron pacientes con T/histiocitos, ni pacientes con tumor es CD20-negativo.

4. CONSIDERACIONES GENERALES PARA EL TRATAMIENTO CON TISAGENLEUCEL

Todos los pacientes o sus representantes legales deben ser informados de los beneficios y riesgos y deben firmar un consentimiento informado.

Dosis para pacientes adultos LBDCG

0,6 a 6 x 10⁶ células T CAR-positivas viables (no basado en el peso).

En el caso de iniciarse el tratamiento con tisagenlecleucel, se deben considerar las siguientes condiciones:

- **Condiciones de inicio del tratamiento:** El paciente debe haber alcanzado una remisión parcial o superior tras el tratamiento con quimioterapia de linfoma difuso de células grandes, que puede haber sido con o sin quimioterapia, y haber alcanzado una remisión parcial o superior.
- **Condiciones de inicio del tratamiento:** El paciente debe haber alcanzado una remisión parcial o superior tras el tratamiento con quimioterapia de linfoma difuso de células grandes, que puede haber sido con o sin quimioterapia, y haber alcanzado una remisión parcial o superior.

5. EVALUACIÓN Y SEGUIMIENTO

El/La médico/a que sea responsable del paciente en cada una de las etapas del proceso deberá registrar la siguiente información en VALTERMED[®].

Datos generales del paciente (se recogerán en VALTERMED antes de iniciar el tratamiento para realizar la evaluación):

- Código SNS/CIPA:
- NHC
- Sexo:
- Fecha de nacimiento:
- Datos antropométricos previos a la terapia. Peso (Kg): Altura (cm):
- **Caracterización de la enfermedad hematológica al diagnóstico**
- Fecha del diagnóstico:

^a En el proceso de desarrollo de VALTERMED y hasta que éste sistema de información esté operativo se empleará un Excel creado al efecto o similar.

3. Procedimiento para la valoración de solicitudes por el grupo de expertos del SNS.

- > Procedimiento para la valoración grupo CAR-T 
- > Anexos procedimiento valoración grupo expertos CAR-T 

4. Procedimiento para la derivación de pacientes a los centros designados para la utilización de medicamentos CAR en el SNS.

5. Procedimientos técnicos para la obtención de la muestra para la fabricación de medicamentos que contienen células T CAR anti-CD19 y para su utilización.

6. Protocolo clínico para el manejo de efectos adversos graves en pacientes tratados con medicamentos que contienen células T CAR anti-CD19

7. Protocolos farmacoclinicos del uso de tisagenlecleucel en el SNS:

1. En linfoma B difuso de células grandes 
2. En leucemia linfoblástica aguda de células B 

https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/Terapias_Avanzadas.htm

Procedimiento de valoración de solicitudes CAR-T

MINISTERIO DE SANIDAD, CONSUMO Y BIENESTAR SOCIAL
SECRETARÍA GENERAL DE SANIDAD Y CONSUMO
DIRECCIÓN GENERAL DE CARTERA BÁSICA DE SERVICIOS DEL SNS Y FARMACIA

Componentes del grupo de expertos en la utilización de medicamentos CAR del "Plan de abordaje de las terapias avanzadas en el SNS: medicamentos CAR"
(ordenados alfabéticamente por primer apellido):

M^a Antonia Agustí Escasany. Representante de Cataluña
Marta Alcaraz Borrajo. Representante de la Comunidad de Madrid
José Luis Bello López. Representante de Galicia
Gonzalo Calvo Rojas. Representante de la Sociedad Española de Farmacología Clínica
Jorge Camarero Jiménez. Representante de de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios
Rafael F. Duarte. Representante del Comité de Expertos de Trasplante Progenitores hematopoyéticos de la Organización Nacional de Trasplantes (ONT)
Jorge Gayoso Cruz. Representante de la ONT
Manuel Juan Otero. Representante de la Sociedad Española de Inmunología
Ana Lozano Blázquez. Representante de Asturias
Joaquín Martínez López. Representante de la Sociedad Española de Hematología y Hemoterapia
José Antonio Pérez Simón. Representante de Andalucía
José Luis Poveda. Representante de la Sociedad Española de Farmacia Hospitalaria
Mariano Provencio Pulla. Representante de la Sociedad Española de Oncología
Fermín Sánchez-Guijo Martín. Representante de Castilla y León
Susana Rives Solá. Representante de la Sociedad Española de Hematología y Oncología Pediátrica
Carlos Solano Vercet. Representante del Comité de Expertos de Trasplante Progenitores hematopoyéticos de ONT

Coordinador por: Dolores Fraga Fuentes. Subdirectora de Calidad y Medicamentos. Dirección General de Cartera Básica de Servicios del SNS y Farmacia.

1. Solicitud de valoración
2. Verificación de la información remitida antes del envío a expertos
3. Remisión de la información al grupo de expertos
4. Valoración por el grupo de expertos
5. Análisis de las valoraciones realizadas
6. Remisión de la valoración a la CCAA solicitante

Proceso

Solicitud de valoración al grupo de expertos en la utilización de medicamentos CAR

La Comunidad Autónoma de origen, previa valoración del caso en las estructuras que se corresponda en cada comunidad (servicios de farmacia hospitalaria, comisiones de farmacia y terapéutica hospitalarias y/o autonómicas), a través de los órganos gestores que determine, remitirá la solicitud de valoración normalizada (anexo 1), cumplimentada en todos sus epígrafes, junto con el informe clínico del paciente, previamente anonimizado, a la Subdirección de Calidad y Medicamentos de la Dirección General de Cartera de Servicios del SNS y Farmacia (terapias.avanzadas.SNS@mscbs.es). En el informe de solicitud se identificará al paciente por las siglas de centro (3), fecha de recepción (AAAAMMDD, 8 números) y número consecutivo en cada centro. Ej HCA2019012901.

Verificación y registro de datos



Envío a expertos

SECRETARÍA GENERAL DE SANIDAD Y CONSUMO
DIRECCIÓN GENERAL DE CARTERA BÁSICA DE
SERVICIOS DEL SNS Y FARMACIA

MINISTERIO
DE SANIDAD, CONSUMO
Y BIENESTAR SOCIAL

PROCEDIMIENTO PARA LA VALORACION DE SOLICITUDES
REALIZADAS POR LOS/LAS ESPECIALISTAS DEL SISTEMA NACIONAL
DE SALUD DE MEDICAMENTOS CAR-T POR EL GRUPO DE EXPERTOS
EN LA UTILIZACION DE MEDICAMENTOS CAR.

Desarrollado en el grupo de expertos en la utilización de medicamentos CAR del "Plan de
abordaje de las terapias avanzadas en el SNS: medicamentos CAR"

Remitido a la Comisión Permanente de Farmacia y a la Comisión de Prestaciones,
Aseguramiento y Financiación para aportaciones

Validado por el grupo de trabajo institucional

Aprobado por el Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud (4 de marzo de 2019)

Página 1 de 7

Coordinado por la Subdirección Gral de calidad de Medicamentos y Productos Sanitarios

3 expertos

Respuesta

Urgencia vital

- 24 horas hábiles

No Urgencia vital

- 72 horas hábiles

SECRETARÍA GENERAL DE SANIDAD Y CONSUMO
DIRECCIÓN GENERAL DE CARTERA BÁSICA DE
SERVICIOS DEL SNS Y FARMACIA

MINISTERIO
DE SANIDAD, CONSUMO
Y BIENESTAR SOCIAL

Anexo 1. SOLICITUD DE VALORACION POR EL GRUPO DE EXPERTOS
EN LA UTILIZACION DE MEDICAMENTOS CAR A NIVEL SNS

Fecha de solicitud: / / Fecha de envío por la CCAA: / /

Fecha de recepción para valoración: / /

Datos del Centro

Nombre: Centro acreditado: SI NO

Ciudad: Provincia:

Datos del Medicamento

Nombre del principio activo:
TISAGENCLEUCEL

Datos del Paciente

Número identificación anonimizado: / / /

Fecha de nacimiento: / / Sexo M F

Se adjunta informe clínico actualizado (según especificaciones anexo): SI NO

Diagnóstico: LLA de células B refractaria/recaída LBDCG en recaída o refractario

Criterios de financiación LLA

Cumple los siguientes criterios de financiación (marcar la situación que corresponda con el paciente):

Paciente con Leucemia linfoblástica aguda (LLA) de células B refractaria, en recaída post trasplante o
en segunda o posterior recaída en pacientes pediátricos y adultos jóvenes de hasta 25 años de edad
con buen estado funcional y que no dispongan de otras alternativas farmacológicas adecuadas que:

Ha sufrido al menos dos recaídas

O que no fuera candidato a aloTPH

O que habiéndose sometido a aloTPH hubiera recaído. En este caso, infusión con tisagenlecleucel >6
meses desde aloTPH.

O que fuera refractario, definido como paciente que no hubiera alcanzado RC tras el segundo ciclo de
quimioterapia estándar

O paciente con recaída que no alcanzó RC tras el primer ciclo de quimioterapia estándar

En los pacientes Philadelfia el tratamiento tiene que haber fracasado a al menos dos ITK (salvo que sean
pacientes con intolerancia o contraindicación al uso de los mismos) (debe especificarse en informe clínico)

ITK Presenta intolerancia Contraindicación

Página 1 de 7

Valoración



MINISTERIO
DE SANIDAD, CONSUMO
Y BIENESTAR SOCIAL

SECRETARÍA GENERAL DE SANIDAD Y CONSUMO

DIRECCIÓN GENERAL DE CARTERA BÁSICA DE
SERVICIOS DEL SNS Y FARMACIA

BORRAR

IMPRIMIR

ANEXO 5. VALORACIÓN POR CADA UNO DE LOS INTEGRANTES DEL GRUPO DE EXPERTOS

Fecha de recepción para valoración:

Nombre del profesional que realiza la valoración: _____

Número identificación anonimizado paciente: _____

Valoración

Fecha valoración: _____ Favorable: No favorable:

Motivos:

El paciente es candidato a tratamiento

Ensayo académico _____

Ensayo comercial _____

Tratamiento industrial _____

Motivos: _____

Centros acreditados: _____

Firma profesional que realiza valoración:

Fecha de envío de la valoración: _____

Servicio médico: _____ Cargo: _____

Documentación a adjuntar

Informe clínico (tratamientos anteriores utilizados y tratamientos alternativos, estado clínico del paciente, fecha para realizar leucoaféresis, centro en el que se considera administrar)

La solicitud es de urgencia vital: SI NO

Observaciones: _____

Centros acreditados de preferencia

Especificar las preferencias en base al listado de centros acreditados del Anexo 4

Datos del profesional sanitario que tramita la solicitud

Nombre: _____ Apellidos: _____

Centro: _____ Cargo: _____

Correo electrónico: _____ Teléfono: _____

Decisión (a cumplimentar por la DG de Cartera Básica del SNS y Farmacia)

Fecha valoración final: _____ Favorable: No favorable:

Número identificación anonimizado paciente: _____

Motivos: _____

El paciente es candidato a tratamiento

Ensayo académico _____

Ensayo comercial _____

Tratamiento industrial _____

Motivos: _____

Centros acreditados: _____

Fecha de envío a CCAA: _____

Investigación académica

LEUCEMIA O LINFOMA CD19+ RESISTENTE O REFRACTARIA A TRATAMIENTO

- Código del protocolo: **CART19-BE-01 (ENSAYO ACADÉMICO)**.
 Identificador: 2016-002972-29. Estudio piloto de la infusión de linfocitos T diferenciados autólogos de sangre periférica expandidos y transducidos con un lentivirus para expresar un receptor antigénico quimérico con especificidad anti-CD19 (A3B1) conjugado con las regiones coestimuladoras 4-1BB y CD3z (células ARI-0001) en pacientes con leucemia o linfoma CD19+ resistente o refractaria a tratamiento. Hospital **Clinic** Barcelona/ Hospital San Joan de Déu/IDIBAPS. Información disponible en: <https://rec.aemps.es/rec/public/detail.html> **FINALIZADO**

Identificador: 2016-002972-29 **Estudio piloto de la infusión de células ARI-0001 en pacientes con leucemia o linfoma CD19+ resistente o refractaria a tratamiento**

IDIBAPS (ESPAÑA)
VILEROEL, 170 08036 BARCELONA

Persona de contacto
Vilerroel, 170 08036 Barcelona
 Hospital Clínic - Judit Pich Martínez
 +34 93 2275400 2946
 jdelgado@clinic.cat

FINANCIADOR:
INSTITUTO DE SALUD CARLOS III

Autorizaciones de uso de medicamentos de terapia avanzada

Partekatzee:

Actualizaci inuzur egiten du: 11/3/2019

El listado que se muestra a continuación contiene las autorizaciones de uso de medicamentos de terapia avanzada concedidas por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios al amparo del Real Decreto 477/2014, de 13 de junio, por el que se regula la autorización de medicamentos de terapia avanzada de fabricación no industrial.

NOMBRE	TITULAR DE LA AUTORIZACIÓN DE USO	FECHA AUTORIZACIÓN DE USO	FICHA TÉCNICA
NC1- SUSPENSIÓN CELULAR EN PLASMA AUTÓLOGO 100-300x106 CELULAS- HOSPITAL UNIVERSITARIO PUERTA DE HIERRO MAJADAHONDA, 1 Jeringa precargada	HOSPITAL UNIVERSITARIO PUERTA DE HIERRO MAJADAHONDA	29-1-2019	Ficha Técnica

Células mesenquimales troncales autólogas de médula ósea.

2. COMPOSICIÓN CUALITATIVA Y CUANTITATIVA

La sustancia activa de este medicamento son las células mesenquimales troncales adultas autólogas de médula ósea expandidas, a una concentración de 100.000 células/μl.

Excipientes: Plasma sanguíneo autólogo

3. FORMA FARMACÉUTICA

Suspensión para inyección.

Restringido exclusivamente para uso hospitalario.

4. DATOS CLÍNICOS

4.1 Indicaciones terapéuticas

NC1 está indicado en el tratamiento de pacientes adultos (≤ 65 años) con secuelas de lesión medular traumática crónica, que presenten lesiones medulares incompletas a nivel dorsal o lumbar.

Las lesiones medulares dorsales o lumbares completas están excluidas, con la excepción de lesiones completas localizadas quísticas, con cavidad centro-medular que no se extiendan más de 1-3 segmentos medulares.

64

CONGRESO
NACIONAL
SOCIEDAD
ESPAÑOLA DE
FARMACIA
HOSPITALARIA

SEVILLA
17/19 OCT
2019

VALTERMED

Sistema de información para determinar el valor terapéutico en la práctica real de los medicamentos de alto impacto sanitario y económico en el SNS

MACRO

- Generar información para la gestión de la prestación farmacéutica en el momento de la financiación de medicamentos

MESO

- Información para la toma de decisiones en la selección de medicamentos de las CFyT de las CCAA

MICRO

- Proporcionar información para elegir el medicamento más coste-efectivo

- Despejar incertidumbres clínicas y económicas de los nuevos medicamentos

Objetivo



- Obtener resultados en salud a nivel del SNS

Registro



- Medir resultados para determinar el valor de los nuevos medicamentos

Valor



Evidencia de elevada calidad tanto de efectividad clínica como de coste-efectividad

**Disponer de información
objetiva y exhaustiva de
la eficacia, seguridad,
coste, relación coste-
efectividad incremental,
impacto presupuestario y
beneficios en salud de
los medicamentos**



**Aportará valor y mejoras
en la práctica clínica**

Aportación
para el
paciente



Tratado con el
tratamiento óptimo
para conseguir los
mejores resultados

Aportación
para el
clínico



Facilita la toma de decisiones,
disponer de toda la
información del medicamento
evaluado y sus alternativas

Aportación
para
decisores



Realizar mejores
estimaciones de
eficiencia para el Hospital
y la organización

Aportación
para el SNS



Contribuir a la
sostenibilidad del sistema
sanitario y a crear
organizaciones eficientes



retorno de la
inversión en
salud

Ayudar a generar nueva
evidencia:
Transformar datos en
evidencias
Comparar resultados

Información relevante
para futuras
evaluaciones clínicas y
económicas



Evidencia
robusta



Disminuye la
incertidumbre



Acceso para
pacientes

Retraso en la
toma de
decisiones



Equidad, cohesión en la toma de decisiones



“Ir juntos es comenzar. Mantenerse juntos es progresar. Trabajar juntos es triunfar”.

Henry Ford 1863-1947

*Imprescindible:
Trabajo en
equipo*

Gracias

