

XXVII

FARMACOLOGÍA CLÍNICA

CONGRESO DE LA SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE FARMACOLOGÍA CLÍNICA

2-4 octubre 2014

SEVILLA

Acciones del Grupo de Trabajo de Terapias Avanzadas

MESA DE ACTUALIZACIÓN EN TERAPIAS AVANZADAS

Dr. Josep Vergés, MD, MSc, PhD

Farmacólogo Clínico

Responsable del Grupo de Terapias Avanzadas de la SEFC

Sevilla, 02 de octubre de 2014

Miembros GdT



- Francisco Abad, Hospital Universitario de la Princesa de Madrid
- Salvador Aliño, Universidad de Valencia
- Cinta Almenara, Hospital Universitario Marqués de Valdecilla de Santander
- M^a Encarnación Blanco, Hospital Universitario Virgen de la Victoria de Málaga
- Xavier Carné, Hospital Clínic de Barcelona
- Natividad Calvente, Instituto Carlos III, Madrid
- Juan Ramón Castillo, Hospital Universitario Virgen del Rocío, Sevilla
- Natividad Cuende, Iniciativa Andaluza de Terapias Avanzadas (IATA), Sevilla
- Joan Costa, Hospital Germans Trias i Pujol, Badalona
- Magí Farré, IMIM, Hospital del Mar de Barcelona
- Marta Herrero, Departamento Médico y Científico de Bioibérica, Barcelona
- José Francisco Horga, Hospital General Universitario de Alicante
- Carmen María Jiménez, Centro Andaluz de Farmacovigilancia, Sevilla
- M^a Isabel Lucena, Hospital Universitario Virgen de la Victoria de Málaga
- Gloria Luque, Hospital Universitario Virgen de la Victoria de Málaga
- M^a José Martínez, Centro Cochrane Iberoamericano, Hospital de Sant Pau, Barcelona
- Helena Martínez, Departamento Médico y Científico de Bioibérica, Barcelona
- Rosario Mata, Iniciativa Andaluza de Terapias Avanzadas (IATA), Sevilla
- José Ríos, Hospital Clínic de Barcelona
- Josep Vergés, Departamento Médico y Científico de Bioibérica, Barcelona

Actividades GdT



- **Badajoz, 2009:** Organización Mesa “Cell therapy: clinical implication”
- **Madrid, 2010:**
 - Publicación del Artículo: “Ruiz S. y Abad-Santos F. Regulación y Evaluación de los Ensayos Clínicos de Terapia Celular. Medicina Clínica, 2010”
 - Adaptación del Manual de Paciente de la Sociedad Internacional de Investigación con Células Madre (“Patient Handbook”, ISSCR).
- **Málaga, 2011:** Organización Mesa “Investigación en terapia celular: ¿qué debemos saber?”
- **Alicante, 2012:** Puesta en marcha del Ensayo de Legibilidad
- **Cádiz, 2013:** Obtención de los Resultados del Ensayo de Legibilidad
- **Sevilla, 2014:** Organización Mesa “Actualización en Terapias Avanzadas”. Ampliación del Ensayo de Legibilidad y Publicación de los resultados

PUBLICACIÓN ARTÍCULO EN MEDICINA CLÍNICA: RESUMEN PONENCIAS **DRA. SOL RUIZ (AEMPS Y EMA; MARCO REGULATORIO) Y DR. FRANCISCO ABAD (Hospital Universitario de la Princesa de Madrid; CEICs)**

Med Clin (Barc). 2010;135(1):35-39



Investigación clínica y bioética
Regulación y evaluación de los ensayos clínicos de terapia celular

Regulation and evaluation of clinical trials of cell therapy

Sol Ruiz^a y Francisco Abad-Santos^{b,*}

^a División de Productos Biológicos y Biotecnología, Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, Madrid, España
^b Servicio de Farmacología Clínica, Hospital Universitario de la Princesa, Instituto Teófilo Hernando, Universidad Autónoma de Madrid, Madrid, España

INFORMACIÓN DEL ARTÍCULO

Historia del artículo:
Recibido el 1 de marzo de 2010
Aceptado el 4 de marzo de 2010
On-line el 22 de abril de 2010

Los continuos avances científicos en Biotecnología, Biología Celular y Biología Molecular están dando lugar al desarrollo de tratamientos novedosos, la terapia génica, la terapia celular somática y la ingeniería tisular, que ofrecen nuevas posibilidades para el tratamiento de enfermedades humanas, pero también presentan nuevos desafíos desde el punto de vista de su fabricación y control, investigación clínica, evaluación y autorización en comparación con los medicamentos más convencionales. En este artículo vamos a centrarnos en la terapia celular, y revisamos cuál es la regulación actual que se aplica a este tipo de medicamentos y las recomendaciones que debería seguir un comité ético de investigación clínica (CEIC) para analizar los ensayos clínicos en los que se evalúa.

Regulación de los medicamentos de terapia celular en la Unión Europea

Desde la creación de la Agencia Europea de Medicamentos (actualmente European Medicines Agency [EMA], previamente EMEA) en 1995, las solicitudes de autorización de comercialización de medicamentos biotecnológicos (obtenidos mediante la utilización de tecnología del ADN recombinante) se evalúan siguiendo el denominado «procedimiento centralizado coordinado por la EMA. El resultado positivo de esta evaluación resulta en la autorización del medicamento en todos los estados miembros de la Unión Europea (UE), y quedan los aspectos de precio y financiación por los sistemas de seguridad social a la decisión de cada estado miembro»^{1,2}.

* Autor para correspondencia.
Correo electrónico: fabad@ip@abad.madrid.org (F. Abad-Santos).

0025-7753/\$ - see front matter © 2010 Elsevier España, S.L. Todos los derechos reservados.
doi:10.1016/j.medcli.2010.03.001

Med Clin (Barc). 2010;135(1):35-39



Investigación clínica y bioética
Regulación y evaluación de los ensayos clínicos de terapia celular

Regulation and evaluation of clinical trials of cell therapy

Sol Ruiz^a y Francisco Abad-Santos^{b,*}

^a División de Productos Biológicos y Biotecnología, Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios, Madrid, España
^b Servicio de Farmacología Clínica, Hospital Universitario de la Princesa, Instituto Teófilo Hernando, Universidad Autónoma de Madrid, Madrid, España

combinado con un producto sanitario, la situación es incluso más complicada, ya que los productos sanitarios tienen también su propia regulación, distinta de la de los medicamentos.

Esta fue la razón por la que la Comisión Europea (de aquí en adelante «la Comisión») tomó la iniciativa de desarrollar una nueva legislación para medicamentos basados en terapia génica, terapia celular e ingeniería de los tejidos definidos como *advanced therapy medicinal products* (ATMP), medicamentos de terapia avanzada. El principal objetivo de esta nueva regulación (Reglamento [CE] N.º 1394/2007 del Parlamento Europeo y del Consejo de 13 de noviembre de 2007 sobre ATMP)³, aplicable desde el 30 de diciembre de 2008, es mejorar el acceso seguro de los pacientes a las terapias avanzadas y promover la investigación, el desarrollo y la

Adaptación Manual del Paciente



Apéndice Guías:



- ❑ Adaptación del “Manual del Paciente” de las guías en investigación en terapia celular de la ISSCR como **documento de apoyo a las Hojas de Información al Paciente entregadas a los participante de los EC en estas terapias.**

Ensayo de Legibilidad



*Grupo de Trabajo en Terapias Avanzadas
Sociedad Española de Farmacología Clínica*

Lista de preguntas

1. De acuerdo con el documento que ha leído, ¿en qué se basa la terapia celular?

Respuesta del sujeto:

Correcto Incorrecto

a) Ha dado la respuesta de forma:

Muy fácil Con alguna dificultad
Fácil Difícil

b) ¿Podría explicar la información con sus propias palabras?

SÍ
 NO

c) Comentarios:

ENSAYO DE LEGIBILIDAD: MANUAL DEL PACIENTE EN TERAPIA CELULAR



Ensayo de Legibilidad (N = 69 sujetos) de un documento para pacientes sobre investigación en terapia celular:

- 4 grupos de estudio: pacientes (N=22), familiares (N=20) y Controles (N=27)

- Reclutamientos sujetos en 3 centros:
 - **Hospital Universitario Virgen de la Victoria de Málaga.**
Dra. Maribel Lucena, Dra. M^a Encarnación Blanco, Dra. Gloria Luque
 - **Hospital Virgen del Rocío de Sevilla**
Dr. Juan Ramón Castillo, Dra. Carmen M Jiménez
 - **Hospital del Mar de Barcelona**
Dr. Magí Farre

ENSAYO DE LEGIBILIDAD: MANUAL DEL PACIENTE EN TERAPIA CELULAR



#Póster CP73: Performance of a Readability Test to Evaluate the Comprehensibility of a Patient Handbook on Cell Therapy Clinical Research)

SIGUIENTES PASOS:



- Publicación Resultados Ensayo de Legibilidad
 - Elaboración del documento final del Manual del Paciente en
Terapia Celular
 - Difusión del documento
- Reunión del Grupo en Sevilla: 2 octubre, 18:30h**

MESA DE ACTUALIZACIÓN EN TERAPIAS AVANZADAS. SEFC, SEVILLA 2014



Moderadores: Juan R. Castillo/Maribel Lucena

ACTUALIZACIÓN EN TERAPIAS AVANZADAS	
Introducción: Acciones del Grupo de Trabajo en Terapias Avanzadas de la SEFC	Josep Vergés (Bioibérica)
Primera parte: Marco teórico y regulatorio	
Avances en de Terapias Avanzadas a nivel Nacional y Europeo	Sol Ruiz (AEMPS/EMA)
Investigación clínica en terapia celular: diseño de estudios	Rosario Mata (IATA)
Vigilancia de la seguridad de los medicamentos de terapia avanzada	Carmen M ^a Jiménez (Centro Andaluz de Farmacovigilancia)
Segunda parte: Experiencia Clínica / Casos prácticos de éxito	
La iniciativa Andaluza en Terapias Avanzadas	Natividad Cuende (IATA)
Aplicación de terapia celular en el campo osteoarticular	Isabel Guillén (Clínica CEMTRO)
El punto de vista del paciente	Alejandro Toledo (Alianza General de Pacientes)

XXVII

FARMACOLOGÍA CLÍNICA

CONGRESO DE LA SOCIEDAD ESPAÑOLA
DE FARMACOLOGÍA CLÍNICA

2-4 octubre 2014

SEVILLA

MUCHAS GRACIAS A TODOS POR VUESTRA ATENCIÓN

MESA DE ACTUALIZACIÓN EN TERAPIAS AVANZADAS

Dr. Josep Vergés, MD, MSc, PhD

Farmacólogo Clínico

Responsable del Grupo de Terapias Avanzadas de la SEFC

Sevilla, 02 de octubre de 2014