

LA NUEVA ERA DE LAS TERAPIAS AVANZADAS



Universidad
de Alcalá



FUNDACIÓN
GENERAL
UNIVERSIDAD
DE ALCALÁ

Impulsado por:

Centro de Estudios de Políticas Públicas y Gobierno.

HACIA UNA ESTRATEGIA COLABORATIVA PARA LOS PACIENTES

1. RESUMEN EJECUTIVO

El Informe de “Conclusiones sobre el acceso a los medicamentos y a los productos sanitarios para una UE más fuerte y resiliente” (2021/C 269 1/2021) emitido por el Consejo Europeo en julio de 2021, definió como tarea “primordial”, la adopción de mecanismos y medidas dirigidas a “garantizar el acceso a los medicamentos y productos sanitarios, su disponibilidad y su asequibilidad”.

Vías óptimas para ello, según este Informe, son el refuerzo de los regímenes regulatorios de los Estados Miembros, el intercambio de ideas sobre mecanismos de pago nuevos y transparentes para los productos innovadores y la atención especial a las prioridades de los pacientes.

El Parlamento Europeo ha apoyado estos planteamientos, pero poniendo el foco en los progresos logrados en la biotecnología celular y molecular y en tratamientos nuevos, como la terapia génica, la terapia celular o la ingeniería tisular, que ya permiten contar con este tipo de medicamentos innovadores. También ha declarado que no pueden tratarse de la misma forma que los medicamentos convencionales, por lo que precisan de una legislación específica y deben someterse a estrictos requisitos.

Por su parte, la *Estrategia Farmacéutica Europea* otorga la consideración de “hito” a los medicamentos de terapias avanzadas y reconoce, además, la gran la-

bor de la industria farmacéutica en el avance en este campo (solo en 2019 invirtió en su investigación más de 37.000 millones de euros¹). No en vano, esto ha permitido que ya se hayan autorizado en la UE terapias avanzadas con medicamentos CAR-T para el tratamiento de algunas neoplasias hematológicas y algunas terapias génicas para la talasemia dependiente de transfusiones.

Las definiciones desde un punto de vista regulatorio de estos medicamentos se encuentran en el Reglamento (CE) N° 1394/2007, del Parlamento Europeo y del Consejo de 13 de noviembre de 2007, sobre medicamentos de terapia avanzada (capítulo 1, artículo 2), y en la Directiva 2001/83/CE, del Parlamento Europeo y del Consejo de 6 de noviembre de 2001, por la que se establece un código comunitario sobre medicamentos para uso humano (anexo I, parte IV).

A ello se une la *Guía UE de Buenas Prácticas Clínicas*, de octubre de 2019, específica para terapias avanzadas, que ha permitido dar un notable impulso a estos

1. El impacto de la industria farmacéutica en Europa: 37.500 millones de euros en I+D, 800.000 empleos directos y más de 275.000 millones de euros en producción - FarmaIndustria Bruselas señala las carencias farmacéuticas durante la pandemia y apuesta por producir más medicamentos en Europa (eldiario.es)

nuevos tratamientos². Además, la EMA cuenta con un *Comité especializado en terapias avanzadas* al que atribuye las tareas de evaluar su calidad, seguridad y eficacia.

Este Comité también debe seguir de cerca la evolución científica en este nuevo ámbito de la biomedicina, habida cuenta el heterogéneo estado de investigación y desarrollo de este tipo de medicamentos, y las amplias oportunidades que ya ofrecen para tratar una creciente variedad de patologías, como el cáncer hematológico, los tumores sólidos, la diabetes, ciertas enfermedades neurológicas, cardiovasculares, oftalmológicas junto con algunas otras enfermedades raras.

Asimismo, a la EMA corresponde autorizar de manera centralizada la fabricación en serie de estos medicamentos y solo por excepción (“cláusula de exención hospitalaria”) se permite a las Agencias Nacionales -y, entre ellas a la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS)-, autorizar puntualmente y para pacientes determinados una terapia de este tipo. Dicha “cláusula de exención hospitalaria” no faculta a ningún hospital para la fabricación en serie o industrial.

En nuestro país, se considera *medicamento de terapia génica*, el producto obtenido mediante un conjunto de procesos de fabricación destinados a transferir, in vivo o ex vivo, un gen profiláctico, de diagnóstico o terapéutico, tal como un fragmento de ácido nucleico, a células humanas/animales y su posterior expresión in vivo. La transferencia genética supone un sistema de expresión contenido en un sistema de distribución conocido como vector, que puede ser de origen viral o no viral. El vector puede incluirse asimismo en una célula humana o animal.

De otra parte, se considera *medicamento de terapia celular somática*, la utilización en seres humanos de células somáticas vivas, tanto autólogas, procedentes del propio paciente, como alogénicas, procedentes de otro ser humano, o xenogénicas, procedentes de animales, cuyas características biológicas han sido alteradas sustancialmente como resultado de

su manipulación para obtener un efecto terapéutico, diagnóstico o preventivo por medios metabólicos, farmacológicos e inmunológicos. Dicha manipulación incluye la expansión o activación de poblaciones celulares autólogas ex vivo, tal como la inmunoterapia adoptiva, y la utilización de células alogénicas y xenogénicas asociadas con productos sanitarios empleados ex vivo o in vivo, tales como microcápsulas, matrices y andamiajes intrínsecos, biodegradables o no biodegradables”.

La expansión de estas terapias ha evidenciado la necesidad de ordenar el acceso que a las mismas reconoce nuestro Sistema Sanitario y su financiación, actualmente basado en una normativa no suficientemente clara (básicamente, el Real Decreto Legislativo 1/2015 y el Real Decreto 1345/2007), que no garantiza de manera adecuada los principios de equidad, seguridad, sostenibilidad y eficacia del todo imprescindibles.

En todo caso, en enero de 2019 fue aprobado el primer medicamento CAR-T en España en régimen de pago por resultados (para el tratamiento de la leucemia linfoblástica aguda y del linfoma B difuso de célula grande) y el segundo en el mes de julio (para el tratamiento del linfoma B difuso de célula grande y del linfoma primario mediastínico).

El avance en este campo ha venido de la mano del “Plan de Abordaje de Terapias Avanzadas en el SNS: Medicamentos CAR”³, aprobado por el Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud en noviembre de 2018, como parte de la “Estrategia Española de Medicina Personalizada de Precisión”⁴.

El impulso investigador y clínico de nuestro país se ha visto así refrendado por proyectos e iniciativas como RET-A, SC4HD, GANTT, ARDAT, ADVANCE-CAT, RESTORE y RICORS-RERAV.

2. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview>

3. Plan de Abordaje Terapias Avanzadas en el SNS: Medicamentos CAR https://www.mscbs.gob.es/profesionales/farmacia/pdf/Plan_Abordaje_Terapias_Avanzadas_SNS_15112018.pdf

4. El Gobierno pone la primera piedra de la Estrategia Española de Medicina Personalizada, 9 setiembre 2020. <https://elglobal.es/politica/el-gobierno-pone-la-primer-piedra-de-la-estrategia-espanola-de-medicina-personalizada/>

En línea con todo ello, la anunciada reforma europea de la legislación farmacéutica básicas previsiblemente supondrá mejoras en el acceso a los medicamentos personalizados e innovadores e impulsará la aplicación de estas “terapias avanzadas”, en gran medida a partir del uso de la informática de alto rendimiento y de las plataformas digitales.

En el plano regulatorio contamos con ejemplos de interés en Estados Unidos, China o Japón, que han apostado por fomentar fuertes inversiones en su investigación

De los más de 1.000 ensayos (fase I y II⁶) en marcha en el mundo, según el informe publicado por la *Alliance for Regenerative Medicines* (ARM), más de 500 corresponden a China).

Para seguir avanzando en este terreno es preciso contar con acciones de colaboración público-privada, según el modelo que recomiendan la Agenda 2030⁷ - Objetivos de Desarrollo Sostenible (ODS 3 y 17, singularmente)-, el Reglamento (CE) N° 1394/2007, la *Estrategia Europea de Datos* (2020) y el conjunto de instituciones comunitarias (Comisión, Comité Económico y Social, Parlamento, etc.), las cuales abogan por la necesidad de consolidar un *mercado único de datos* (“data lake”), en el que participen al mismo nivel los sectores público y privado.

También dentro de estos planteamientos de colaboración público-privada se inscriben, entre otras, las nuevas herramientas de financiación puestas en marcha por la UE, como Horizonte Europa, EU4Health o la *Iniciativa europea de atención sanitaria innovadora*, y, en el caso de España, el *PERTE para la Salud de Vanguardia*⁸.

5. Unión Europea de la Salud: hacia una reforma de la legislación farmacéutica de la UE https://ec.europa.eu/commission/presscorner/detail/es/ip_21_4882. Comunicado de prensa 28 de septiembre de 2021 Bruselas

6. Más de la mitad de los ensayos en terapias avanzadas son oncológicos - [El Global](#)

7. Estrategia de Desarrollo Sostenible 2030 [Ministerio de Derechos Sociales y Agenda 2030 - Agenda 2030 \(mdsocialesa2030.gob.es\)](https://www.mdsocialesa2030.gob.es)

8. PERTE para la salud de vanguardia. https://www.lamoncloa.gob.es/presidente/actividades/Documents/2021/151121-resumen_ejecutivo_perte_para-la-salud-de-vanguardia.pdf

2. LAS TERAPIAS AVANZADAS Y LAS POLÍTICAS SANITARIAS EN ESPAÑA: INICIATIVAS Y EXPERIENCIAS

El “Plan para el abordaje de las terapias avanzadas en el SNS: medicamentos CAR⁹” constituye el primero de los pasos dados en nuestro Sistema hacia esta nueva realidad.

Centrado en leucemia/linfoma, su objetivo ha sido desde un inicio “organizar de forma planificada, equitativa, segura y eficiente la utilización de los medicamentos CAR, así como impulsar la investigación pública y la fabricación de estos medicamentos en el ámbito académico.

El desarrollo de este Plan, que carece de una cobertura normativa específica, se ha producido mediante diversos protocolos y guías, que versan sobre aspectos puntuales, tales como:

- el abordaje de los efectos adversos,
- las derivaciones,
- la selección de pacientes candidatos,
- el entramado de Comités y grupos de expertos...

Para la aplicación de este Plan es pieza fundamental el *Comité Español de Terapias Avanzadas*, un equipo multidisciplinar, formado por expertos de diferentes especialidades, cuyo objetivo es debatir e informar acerca de estos medicamentos y contribuir con ello a facilitar la tramitación de los procedimientos que les afectan.

Uno de tales procedimientos, quizás el más esperado en su momento, vio la luz, por Acuerdo del pleno del Consejo Interterritorial de 14 de octubre de 2019, esto es, un año después de la aprobación del Plan. Se refiere al establecimiento de las condiciones de planificación, coordinación, contratación, adquisición y suministro de medicamentos CAR-T por parte de estructuras y servicios públicos, integrados en el Sistema Nacional de Salud.

9. [Plan_Abordaje_Terapias_Avanzadas_SNS_15112018.pdf](https://www.sanidad.gob.es/planning/planes/Plan_Abordaje_Terapias_Avanzadas_SNS_15112018.pdf) (sanidad.gob.es)

LA NUEVA ERA DE LAS TERAPIAS AVANZADAS

HACIA UNA ESTRATEGIA COLABORATIVA PARA LOS PACIENTES

El Acuerdo se limita a reproducir la normativa general contenida en los Reales Decretos reguladores de los distintos aspectos del medicamento y la específica sobre la autorización de medicamentos de terapia avanzada de fabricación no industrial contenida en el Real Decreto 477/2014, de 13 de junio.

Por otra parte, se ha de significar, que es el órgano competente en materia de prestación farmacéutica de cada Comunidad Autónoma de origen de la solicitud (cumplimentada por el titular de la autorización de uso) el que ha de presentar la propuesta de precio a la Comisión Permanente de Farmacia del Consejo Interterritorial del SNS, mediante una ficha-tipo.

Otro aspecto clave es la Red de centros autorizados/ designados para la aplicación de estas terapias, radicados en 6 Comunidades Autónomas*.

De otra parte, el citado Acuerdo articula el procedimiento de derivaciones de pacientes entre centros y Comunidades Autónomas, imputando al Fondo de Cohesión los costes de compensación entre las mismas (art. 2 del RD 1207/2006) al tiempo que asignando la responsabilidad del pago de las terapias a la entidad fabricante, a la institución hospitalaria origen del paciente o, en su caso, a la que cuente con la autorización de uso donde el mismo haya sido tratado; en el bien entendido que, si la administración del medicamento se produce de forma previa a la fijación del precio, el pago habrá que realizarse “con carácter retroactivo”.

En el primer año de vigencia del Plan fueron tramitadas solicitudes desde las 17 Comunidades Autónomas. Como regla general las solicitudes fueron aceptadas y las reclamaciones de revisión o re-evaluación de los casos por parte del Comité de expertos solo fueron un 12% del total.

El impacto de la pandemia también se ha dejado notar en la aplicación de estas terapias, afectando a las previsiones de atención estimadas para el año 2020.

De otra parte, para progresar y expandir las terapias avanzadas a nuevas patologías es crucial el apoyo de las Redes Institucionales, en particular la Red Ter-Cel (Red de Terapia Celular). Otro tanto cabe decir el respaldo académico, Ca través de diversas cátedras universitarias con patrocinio de la industria farma-

céutica, como es el caso de la *Cátedra Extraordinaria de Terapias Avanzadas Novartis-USAL de la Universidad de Salamanca* o las de Terapia Biológica y Terapéutica Avanzada en Dermatología, de la Universidad de Málaga.

Estas iniciativas sintonizan, en gran medida, con la *Estrategia Española de Ciencia, Tecnología e Innovación 2012-2027*¹⁰, que define como “primer sector estratégico” el de la Salud, y apuesta de manera expresa por las “nuevas terapias”. Su primer desarrollo -el *Plan de Choque para la Ciencia y la Innovación*¹¹, aprobado en julio 2020- destina, además, 1.000 millones de euros de inversión directa en sus dos primeros años de aplicación.

A todos estos avances en materia de terapias avanzadas están contribuyendo también las Comunidades Autonomas. Una muestra de ello son, entre otras, las iniciativas, las estrategias y los proyectos impulsados desde Andalucía, Cataluña, Madrid o Galicia.

ANDALUCÍA:

El Hospital Virgen del Rocío de Sevilla ha sido incorporado a la Red de centros designados para el uso de medicamentos CAR-T en el SNS*. Desarrolla sus actividades a partir de lo establecido en la *Iniciativa Andaluza en Terapias Avanzadas* (IATA), reforzada con la Estrategia y el Plan de acción en Terapias Avanzadas de la región. Al servicio de todo ello hay una Unidad de Coordinación (UC-IATA), gestionada a través de la *Fundación Pública Andaluza Progreso y Salud* (FPS). A esta Unidad se la responsabiliza de la búsqueda de alianzas entre el mundo académico, las instituciones investigadoras, los centros sanitarios, las asociaciones de pacientes, las pequeñas y medianas empresas biotecnológicas y la industria farmacéutica.

Hasta el momento, se han promovido una treintena de ensayos clínicos en terapia celular e ingeniería de tejidos en áreas como inmunología, cardiología, neurología, aparato digestivo, oftalmología, hematología, vascular periférico, dermatología y gastroenterología. Cerca de 1.000 pacientes han participado en alguno de los ensayos clínicos o han

10. [Estrategia Española de Ciencia, Tecnología e Innovación 2021-2027](#)

11. [09072020_PChoqueCiencia.pdf \(lamoncloa.gob.es\)](#)

recibido alguna terapia avanzada bajo la autorización de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios.

Para el desarrollo de estos ensayos existe una red de infraestructuras específicas en varias provincias. En esta red se sitúan los 10 laboratorios GMP de Córdoba, Granada, Málaga y Sevilla.

CATALUÑA:

El número de Centros catalanes autorizados e incorporados a la Red estatal es ciertamente significativo*. Estos Centros pivotan sobre la Dirección General de Investigación e Innovación en Salud, apoyada en su labor por Biocat, que integra empresas, entidades y grupos de investigación, hospitales, universidades y administraciones. Dicha Dirección General coordina las acciones derivadas del *Plan Estratégico de Investigación e Innovación en Salud* (PERIS). Este Plan incluye ayudas públicas para impulsar las actividades de investigación. El análisis de resultados, impactos y, en su caso, disfunciones de las diferentes acciones incluidas en el marco del PERIS se encomiendan al *Sistema de Evaluación de la Investigación e Innovación en Salud* (SARIS).

El Departamento de Salud ha impulsado, además, una plataforma de ensayos clínicos -la Barcelona Clinical Trials Platform (BCTP)-, que ofrece herramientas y estrategias para mejorar el conocimiento de la investigación clínica en la Región y su proyección interna y externa.

COMUNIDAD DE MADRID:

La *Red de Terapias Avanzadas de la Comunidad de Madrid*, cuenta con alrededor de 7.000 profesionales. Su *Estrategia Regional* fue presentada a finales de 2018, y desde un inicio se orientó a “optimizar la utilización de este tipo de medicamentos a partir de la coordinación y apoyo de los ámbitos de investigación, formación, asistencia sanitaria y gestión”. Sus primeros trabajos preliminares tuvieron como fin el definir un mapa de situación de ensayos en desarrollo en terapias avanzadas, así como el número y ubicación de salas blancas y laboratorios de terapia celular disponibles y en funcionamiento en la Comunidad. Los primeros pasos se dieron hacia la terapia celular, logrando que el Hospital Puerta de Hierro se convirtiera en el primer

centro autorizado por la AEMPS para el uso de un medicamento de terapia avanzada (NC1).

Cuenta con 3 Hospitales madrileños integrados en la Red de centros para el uso de medicamentos CAR (Gregorio Marañón, Niño Jesús y La Paz)*. También dispone de siete unidades de producción de medicamentos de terapia avanzada en distintas instalaciones hospitalarias del Servicio Madrileño de Salud (SERMAS), destacando los Hospitales *La Paz* y *12 de Octubre* en la realización de ensayos de Medicamentos CAR-T en fase preclínica, cuyo desarrollo se apoya en experiencias de colaboración entre el SERMAS y la industria farmacéutica¹².

En enero de 2020 se anunció la puesta en marcha de la Red de Terapias Avanzadas en Hematología, en la que se integra la *Unidad Cris de Investigación Traslacional y Terapias Avanzadas*, adscrita al Servicio de Oncología Pediátrica del Hospital Universitario La Paz.

GALICIA:

Su *Estrategia de Medicina Personalizada* y su Centro CAR-T son sin duda, referentes y en su marco se inscriben diversas alianzas (con el Hospital Clínic de Barcelona, con el Complejo Hospitalario Universitario de Santiago -CHUS- y con la Universidad de Santiago de Compostela).

El Centro CAR-T dispone de laboratorios de control de calidad y salas de crio-preservación y reúne a investigadores de muy diversas procedencias.

A todas estas iniciativas y proyectos estatales y autonómicos se suman desde 2022 las expectativas y los programas que se vincularán al *PERTE para la Salud de Vanguardia*, dotado de un total de 1.469 millones de euros.

El PERTE incorporará proyectos innovadores en biotecnología, prevención, diagnóstico, tratamiento y manejo clínico de los pacientes. Entre sus objetivos específicos está el de posicionar a España como país líder en la innovación, a partir del desarrollo de terapias avanzadas y del impulso de la Medicina Personalizada de Precisión.

¹² https://www.consalud.es/autonomias/c-madrid/diaz-ayuso-anuncia-puesta-marcha-red-terapias-avanzadas-hematologia_73454_102.html

* El Ministerio de Sanidad, con posterioridad a la redacción de este informe ha actualizado el listado de centros designados para la aplicación de este tipo de terapias. Véase anexo I del documento La nueva era de las terapias avanzadas hacia una estrategia colaborativa para los pacientes..

3. PERSPECTIVA DE LOS PACIENTES

Ante los resultados en salud que se están obteniendo con las terapias avanzadas los pacientes insisten en la falta de equidad real en el acceso a las mismas, como también a los ensayos y pruebas diagnósticas. Las desigualdades se producen no solo entre nuestro sistema sanitario y los de otros países europeos, sino incluso entre hospitales de una misma Comunidad.

Con ocasión de la celebración de la IV *Cumbre contra el Cáncer* (GPAC), en febrero de 2022, se ha podido evidenciar que el 50% de los medicamentos de terapia avanzada autorizados por la EMA no se incorporan a nuestra cartera de servicios y que los que se incorporan, tardan en hacerlo más de 400 días. Por ello es tarea urgente la de hacer frente a las inequidades, introduciendo mayor transparencia en el funcionamiento de los sistemas sanitarios. La iniciativa europea de crear un “registro de inequidades” entre países y entre regiones, se sitúa en esta línea y debe aplaudirse.

Preocupa el argumento de la sostenibilidad económica del sistema sanitario, que algunos utilizan para intentar justificar barreras a la incorporación de las terapias innovadoras a la cartera de servicios del Sistema Nacional de Salud. También se insiste en reclamar la agilización de trámites en la Comisión Interministerial de Precios, para así poder situarnos cuanto antes en la media europea.

También habría que unificar protocolos autonómicos y hospitalarios y, en definitiva, cumplir con lo establecido en los mandatos legales sobre igualdad efectiva en el acceso a las prestaciones en todas las CCAA (art 3.2 de la Ley General de Sanidad, art 23 de la Ley de Cohesión y Calidad del SNS y 91.5 de la Ley de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos y Productos Sanitarios).

Sería preciso, además, introducir medidas de refuerzo en el acceso a la innovación en la proyectada Ley de Equidad, Universalidad y Cohesión, en especial una mayor participación de los Pacientes.

4. MARCO REGULATORIO

Las terapias avanzadas fueron reguladas en la Unión Europea en 2007 a través de la publicación del Reglamento (EC) Núm.1394/2007, del Parlamento Europeo y del Consejo sobre Medicamentos de Terapia Avanzada.¹³ Este Reglamento entró en vigor en el año 2009 y ese mismo año se emitió la primera autorización de comercialización de medicamentos de este tipo en Europa, basado en condrocitos humanos expandidos¹⁴.

La normativa europea tuvo como principales objetivos:

- establecer un procedimiento de autorización de comercialización centralizado,
- constituir un Comité de Expertos multidisciplinario (Comité de Terapias Avanzadas) en el seno de la EMA,
- definir los requisitos técnicos de estas terapias, adaptándolos a sus características particulares, y
- fomentar la investigación a partir de ayudas e incentivos, en especial a las pequeñas y medianas empresas.

La normativa comunitaria introdujo la llamada cláusula de “exención hospitalaria” mediante la cual, aquellos medicamentos preparados ocasionalmente para una prescripción facultativa individual destinada a un solo paciente y empleados en un mismo hospital, quedarían excluidos de su ámbito de aplicación y serían las autoridades sanitarias de los Estados miembros las responsables de canalizar su autorización y definir las pautas para garantizar su trazabilidad, seguridad, calidad y farmacovigilancia. En ningún caso esta fórmula puede sustituir o utilizarse como alternativa del ensayo clínico.

13. **Reglamento (CE) Nº 1394/2007 del Parlamento Europeo y del Consejo de 13 de noviembre de 2007 sobre medicamentos de terapia avanzada.** (capítulo 1, artículo 2). Disponible en: <https://www.boe.es/buscar/doc.php?id=DOUE-L-2007-82262>

14. https://www.ema.europa.eu/documents/product-information/chondrolect-epar-product-information_es.pdf

El Reglamento vino acompañado de la publicación (2017 y 2019) de directrices sobre fabricación de este tipo de medicamentos (GMP)¹⁵, y de buenas prácticas clínicas (GCP) para la realización de ensayos clínicos.

A ello hay que añadir el *Plan de Terapias Avanzadas* diseñado por la EMA y la Dirección General de Sanidad y Seguridad de los Alimentos, que contiene 19 medidas que engloban todas las áreas que respecto de estos medicamentos se entiende que son “claves”.

Además, se han puesto en marcha algunas plataformas en red, como es el caso de la ECRIN (European Clinical Research Infrastructure Network), Iniciativa europea para la realización de ensayos clínicos académicos en cualquier ámbito¹⁶. De ella forma parte el Instituto de Salud Carlos III.

Junto a esta plataforma, también hay que destacar el importante apoyo que ofrece EATRIIS (European Infrastructure for Translational Medicine)¹⁷, consorcio sin ánimo de lucro dirigido a facilitar el establecimiento y funcionamiento de infraestructuras de investigación a nivel europeo, del que también es miembro el Instituto de Salud Carlos III.

A este marco regulatorio europeo básico se une en España una normativa estatal compleja y fraccionada, integrada por 4 Leyes, 7 Reglamentos y 3 Órdenes Ministeriales, a saber:

- Ley 41/2002, de autonomía del paciente.
- Ley 29/2006, de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos y Productos sanitarios (RDLeg 1/2015, por el que se aprueba su texto Refundido).
- Ley 14/2007, de investigación biomédica.
- Ley 10/2013, por la que se incorporan al ordenamiento jurídico español las Directivas 2010/84/UE del Parlamento Europeo y del Consejo, de 15 de diciembre de 2010,

15. <https://www.boe.es/doue/2017/238/L00044-00050.pdf>

16. <https://ecrin.org/>

17. <https://eatris.eu/>

sobre farmacovigilancia, y 2011/62/UE del Parlamento Europeo y del Consejo, de 8 de junio de 2011, sobre prevención de la entrada de medicamentos falsificados en la cadena de suministro legal, y se modifica la Ley 29/2006, de 26 de julio, de garantías y uso racional de los medicamentos y productos sanitarios.

- RD Ley 9/2014, por el que se establecen las normas de calidad y seguridad para la donación, la obtención, la evaluación, el procesamiento, la preservación, el almacenamiento y la distribución de células y tejidos humanos y se aprueban las normas de coordinación y funcionamiento para su uso en humanos.
- RD 294/1995, por el que se regula la Real Farmacopea Española, el formulario nacional y los órganos consultivos del Ministerio de Sanidad y Consumo en esta materia.
- RD 223/2004 por el que se regulan los ensayos clínicos con medicamentos.
- Real Decreto 1030/2006, por el que se establece la cartera de servicios comunes del Sistema Nacional de Salud y el procedimiento para su actualización.
- Real Decreto 1345/2007, de 11 de octubre, por el que se regula el procedimiento de autorización, Registro y condiciones de dispensación de los medicamentos de uso humano fabricados industrialmente.
- RD 1015/2009, por el que se regula la disponibilidad de medicamentos en situaciones especiales.
- RD 624/2010, por el que se regulan los laboratorios farmacéuticos, los fabricantes de principios activos de uso farmacéutico y el comercio exterior de medicamentos y medicamentos en investigación.
- RD 577/2013, por el que se regula la farmacovigilancia de medicamentos de uso humano.

- RD 782/2013, sobre distribución de medicamentos de uso humano.
- RD 477/2014, por el que se regula la autorización de medicamentos de terapia avanzada de fabricación no industrial.
- Orden SCO 362/2008, por la que se modifica la Orden SCO/256/2007, de 5 de febrero, por la que se establecen los principios y las directrices detalladas de buena práctica clínica y los requisitos para autorizar la fabricación o importación de medicamentos en investigación de uso humano.
- Orden SAS/1144/2010, de 3 de mayo, por la que se modifica el anexo I del Real Decreto 1345/2007.
- Orden SSI/23/2015, de 15 de enero, por la que se aprueba la quinta edición de la Real Farmacopea Española y la segunda edición del Formulario Nacional.

Además, a estas disposiciones habría que sumar la normativa específica en materia de ensayos clínicos, así como la relativa a trasplantes y donación de órganos, en particular la Ley 30/1979. A todos ello hay que agregar todo un elenco de Guías, Notas Informativas, Protocolos o Declaraciones -nacionales, comunitarias e incluso internacionales-.

5. COLABORACIÓN PÚBLICO-PRIVADA

Se ha de reconocer que hasta ahora pocos sectores como el farmacéutico y el biotecnológico conocen más y mejor el valor y la incidencia de la colaboración entre el sector público y el privado para alcanzar resultados de éxito. De hecho, el 44% de la inversión en I+D de las compañías farmacéuticas se destina a proyectos de investigación con hospitales, universidades y centros de investigación (en tan solo 5 años han aumentado los ensayos clínicos en más del 60%). Según indica la última *Encuesta sobre Actividades de I+D de Farmaindustria*¹⁸, la inversión en investigación y desarrollo de medicamentos de las compañías farmacéuticas en España superó en 2019 los 1.200 millones de euros, de los que más de 700 se destinaron a la investigación clínica.

El escenario de la colaboración público-privada es, pues, el propicio no solo para el desarrollo de las terapias avanzadas, sino también para la aprobación de nuevas políticas sanitarias, incluso en el corto plazo, habida cuenta las expectativas despertadas con ocasión de los trabajos de la Comisión de Reconstrucción del Congreso¹⁹, del propio *Plan de Choque para la Ciencia y la Innovación*, que ha calificado a los avances en el campo de la salud como “primer eje” (Eje 1) y del *Pacto por la Ciencia del Gobierno de España*, que ya prevé inversiones en I+D del 2% del PIB en 2024 y del 3% en 2030.

Unido a lo anterior, el Ministerio de Ciencia e Innovación ha manifestado que se destinarán más de 480 millones de euros del “Plan de Recuperación, Transformación y Resiliencia” a incrementar las capacidades de investigación del Sistema Nacional de Salud, a desarrollar la Estrategia de Medicina Personalizada de Precisión y a estimular iniciativas público-privadas para el abordaje de terapias avanzadas.

Pero al reto de ampliar la cooperación, se unen las grandes expectativas generadas en torno a los fondos europeos (NextGenEU). Porque para garantizar su continuidad y su flujo de liquidez, al tiempo que,

18. <https://www.farmaindustria.es/web/wp-content/uploads/sites/2/2021/12/NdP-Encuesta-anual-de-ID-diciembre-2021.pdf>

19. https://www.congreso.es/docu/comisiones/reconstruccion/153_1_Dictamen.pdf

para consolidar sus resultados, se requiere de la colaboración público-privada. Por ello, el *PERTE para la Salud de Vanguardia*, alineado con lo establecido en el Componente 18 del “Plan de Recuperación, Transformación y Resiliencia”, a través de una potente estrategia construida en base a la colaboración del sector público y la industria, ha previsto un paquete de medidas de estímulo y apoyo en favor de las terapias avanzadas. A partir de este modelo se esperan avances que derivarán en resultados en salud, algo que ya está sucediendo en el terreno de las CAR-T y que sería importante fortalecer como línea de trabajo.

6. ASPECTOS ECONÓMICOS

Los medicamentos de terapias avanzadas comportan costes relevantes, cuya determinación, pese a no ser fácil, resulta necesaria a efectos de financiación pública. Pero las metodologías al uso no permiten evaluar bien su valor, principalmente debido a la brecha que hay entre la evidencia disponible en el momento de su lanzamiento y los estándares requeridos habitualmente para la fijación de precios de los fármacos convencionales.

Son pocos los estudios que a día de hoy se han centrado en esta cuestión, y los que hay arrojan resultados heterogéneos, poniendo el acento más en las dificultades metodológicas que en las soluciones. Las dificultades más frecuentes son:

- fijar el diseño y el tamaño de los ensayos clínicos, así como el periodo de seguimiento de estos,
- disponer de datos de progresión de la enfermedad a largo plazo,
- definir la eficacia y la efectividad comparada,
- contar con datos sobre calidad de vida,
- extrapolar los datos sobre costes, dada su variabilidad en función del país, región y hospital,
- computar diversidad de factores de gasto,
- superar la escasez de datos clínicos a largo plazo para incluir en los análisis económicos de coste-efectividad y coste-utilidad.

Cabe también señalar que, en general, las evaluaciones económicas de las terapias avanzadas se han realizado desde la perspectiva del pagador, es decir, considerando solo los costes directos para el sistema sanitario y no los costes de tipo social y sociosanitario para pacientes y familiares.

De otra parte, lo cierto es que los costes asociados a estas terapias se adelantan al inicio de tratamiento, mientras que los mayores beneficios se logran a medio y largo plazo. Para mitigar este impacto ya se han planteado diversos modelos y recomendaciones (i.e., las de la *Alianza para la Medicina Regenerativa*), que ponen el foco en el pago por resultados, el reembolso condicional y los pagos aplazados o fraccionados.

ACUERDOS DE PAGO POR RESULTADOS: En general vinculan los pagos de los fármacos con los resultados clínicos reales, en una población objetivo predefinido. Permiten compartir riesgos entre ambas partes del acuerdo y reducen la incertidumbre asociada a su efectividad y seguridad. Su principal obstáculo es su implementación práctica (carga burocrática-administrativa, necesidad de registro de datos, coste de puesta en marcha, falta de voluntad, etc.). ya se conocen experiencias de este tipo en Italia y en España para el reembolso de los dos CAR-T industriales aprobados hasta la fecha.

ACUERDOS DE REEMBOLSO CONDICIONAL: En este caso, el reembolso se vincula a la recopilación de evidencia, una vez aprobada la comercialización, lo que permite promover la renegociación de precios si el producto no cumple con las expectativas clínicas reales. Ayuda, además, (i) a facilitar el consenso entre el acceso temprano a fármacos innovadores; (ii) a superar incertidumbres sobre la eficacia, la seguridad y/o los costes para los pagadores; y (iii) a recopilar evidencia de resultados disponibles en el momento del lanzamiento. Este sistema ya está en uso en países como UK -terapias génicas- a través del *Cancer Drugs Fund* o Escocia -medicamentos ultra huérfanos-. Pero en España, estos modelos de pago condicionado no pueden ser implementados con la actual legislación.

ACUERDOS DE PAGO APLAZADO O FRACCIONADO: Bajo esta modalidad, los pagos se reparten en un periodo de tiempo predeterminado (pago mensual, anual, etc.), lo que permite a los pagado-

LA NUEVA ERA DE LAS TERAPIAS AVANZADAS
 HACIA UNA ESTRATEGIA COLABORATIVA PARA LOS PACIENTES

res distribuir los altos costes iniciales de una terapia innovadora en un período prolongado de tiempo, al tiempo que constatar -incluso por los pacientes- los beneficios generados.

La implementación de este tipo de acuerdos requiere de no pocos esfuerzos en cuanto a procedimientos, fondos específicos y recopilación de datos, además de promover la aprobación de normas al efecto.

En el caso de Espana, se contempla el uso del nuevo Sistema de Información VALTERMED para determinar el valor terapéutico en la práctica clínica real de algunas terapias génicas con alto impacto sanitario y económico. Todo ello con el objetivo de instrumentar esquemas innovadores de precios basados en resul-

tados. Junto a la información derivada de los distintos roles que asocia (facultativo, farmacéutico-hospitalario, de la CCAA y el Ministerio), VALTERMED permite introducir en una segunda fase información sobre la calidad de vida de los pacientes.

Con VALTERMED, además, las variables registradas las establecen en protocolos fármaco-clínicos de manera colaborativa y multidisciplinar, los grupos de expertos de las comisiones institucionales del SNS.

En definitiva, la adecuada evaluación económica de los medicamentos de terapia avanzada puede contribuir a un cambio disruptivo en el abordaje terapéutico y, en consecuencia, hacer posibles mejores resultados en salud.

FACULTATIVO/A	HOSPITALARIO/A	COMUNIDAD AUTÓNOMA	MINISTERIO
Dar de alta a los pacientes, registrar las variables y consultar y explotar los registros de los pacientes pertenecientes a su hospital en los protocolos asignados	Lo mismo que el facultativo/a, pero además podrá consultar y explotar todos los registros de los pacientes pertenecientes a su hospital de todos los protocolos que estén dados de alta en el centro.	Podrán consultar y explotar los registros, siempre anonimizados, de los pacientes pertenecientes a los hospitales de su CCAA y a aquellos que pertenezcan a estos centros y hayan sido derivados a otra CCAA diferente.	Además de poder consultar y explotar los registros de los centros del SNS, podrán gestionar los usuarios y parametrizar el módulo de medicamentos y de protocolos.

Fuente: Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social (2019).

CONCLUSIONES

1. La utilización de los genes, las células y los tejidos como nuevo recurso terapéutico ha dado lugar al nacimiento de las terapias avanzadas, medicamentos de uso humano no convencionales, necesitados de un marco regulatorio menos complejo y fraccionado.
2. El uso de estas terapias debe responder a los principios de seguridad, calidad, equidad y eficacia dentro de un sistema sanitario sostenible.
3. Las terapias avanzadas tienen un alto potencial terapéutico, no solo en el caso del cáncer sino en el de un elenco cada vez más amplio de enfermedades, como la diabetes, las enfermedades raras o poco frecuentes, o las patologías de tipo neurológico, cardiovascular, oftalmológico, etc.
4. Dentro del escenario de las terapias avanzadas destacan las CAR-T, sobre las que se basan los dos primeros tratamientos financiados en España.
5. Se encuentran en marcha en el mundo más de 1.100 ensayos clínicos sobre estas terapias, siendo notoria la reducida participación europea (23,6%).
6. Estados Unidos y China lideran este campo, tanto en lo que a investigación se refiere como a autorizaciones de producto, abriendo una importante brecha con el mercado europeo.
7. En los últimos años se han definido nuevos y ambiciosos compromisos y nuevas políticas públicas basadas en distintas Estrategias y Planes, a la luz de las directrices de la UE y que abocan hacia la implantación de una Medicina innovadora, cada vez más precisa y personalizada, apoyada en gran medida en el desarrollo de terapias avanzadas.
8. Para el acceso equitativo de los pacientes y para una financiación sostenible de las terapias avanzadas a cargo de los sistemas sanitarios es fundamental la evaluación económica de sus costes, pero, a día de hoy, se constata escasez de estudios y alta heterogeneidad en cuanto a metodología y a esquemas de pago.
9. Es notoria la insuficiencia de datos sobre los efectos de los medicamentos de terapias avanzadas, que se extienden durante un largo plazo con los consiguientes ahorros para el Sistema Nacional de Salud. Otro tanto cabe decir sobre la cuantificación de los beneficios que aportan en calidad de vida para los pacientes y para sus familias, así como su impacto en términos de productividad y laborales.
10. A la hora de fijar un precio justo también será necesario valorar el esfuerzo inversor e innovador de las Compañías y la asunción de riesgos.
11. Debe velarse por el perfil y la formación de quienes participen en las distintas actuaciones de evaluación de los medicamentos de terapias avanzadas.
12. El “Plan para el abordaje de terapias avanzadas en el SNS: Medicamentos CAR-T” marca un hito importante, pero requiere una evaluación de sus fortalezas y debilidades y, sobre todo, contemplar nuevas patologías a las que extender aquellas, revisar el modelo de financiación, impulsar el desarrollo efectivo de la colaboración público/privada y la posible utilización de los fondos europeos.

13. Este Plan debería tener una cobertura normativa específica, dada la singularidad de estos medicamentos, siguiendo así el ejemplo de otros países de nuestro entorno.

14. Existen importantes diferencias entre Comunidades Autónomas en el campo de las terapias avanzadas, aunque hay algunas iniciativas con resultados positivos.

15. En lo que se refiere a la implantación de las terapias en todas las regiones, en la actualidad todos los ciudadanos pueden tener, en principio, acceso a través de los conciertos y los centros de referencia.

16. A la luz de la experiencia, resultaría conveniente revisar los criterios para la selección de centros autorizados, su distribución territorial, así como su organización, gestión y financiación.

17. El Consejo Interterritorial del Sistema Nacional de Salud habría de velar por que la implantación de estas terapias en todas las Comunidades Autónomas sea equitativa y real y escuchar las voces de pacientes, profesionales sanitarios e investigadores.

18. Aún se han de mejorar tanto la coordinación multidisciplinar entre los profesionales como la formación específica, por lo que son muy valiosas las iniciativas que surgen de las Sociedades Científicas y de algunas Universidades para cubrir estas carencias con los médicos residentes y los alumnos de las Facultades de Medicina.

19. Se debe impulsar la colaboración público-privada en las políticas e instrumentos que intentan impulsar las terapias avanzadas en España, aprovechando para ello los fondos europeos dispuestos para la recuperación post-Covid, en línea con la Estrategia Farmacéutica Europea, los acuerdos de la Comisión de Reconstrucción Social y Económica del Congreso de los Diputados y el Pacto por la Ciencia. Otro tanto habría que decir del Plan de Recuperación, Transformación y Resiliencia y del PERTE para la Salud de Vanguardia.

20. No debería entorpecerse la inclusión de las terapias avanzadas autorizadas por la EMA en la prestación farmacéutica. Para garantizar el acceso a las mismas en condiciones de igualdad es preciso incorporarlas a la Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud.

21. La participación de España en las distintas iniciativas, redes, consorcios o plataformas transnacionales debe valorarse de modo positivo e impulsarse con vigor, ya que en ellas se genera información, se facilita el intercambio de datos y se acelera la transferencia de conocimiento desde el ámbito investigador al clínico, llegando sus resultados con mayor celeridad a los pacientes y reduciendo sus costes.

22. El actual marco regulatorio español de las terapias avanzadas, un tanto complejo y fragmentado, ralentiza la traslación de las mismas desde la fase investigadora a la del tratamiento clínico. Al mismo tiempo separa a España de los avances que en este contexto se vienen confirmando en el entorno internacional.

23. En todo caso, a efectos regulatorios y colaborativos entre sector público y privado, es necesario mostrar una opinión favorable en la medida en la que la colaboración favorezca el acceso equitativo a estas terapias, pero siempre distinguiendo dos planos: el de la investigación, que tiene un valor estratégico de primer orden, y el clínico en el que, de conformidad con el Reglamento europeo (CE)1394/2007, se ha de diferenciar el espacio propio de la producción industrial (reservado a las empresas y siempre con la autorización centralizada de la EMA) y el de la fabricación *in house*, cuya autorización corresponde a la AEMPS.
24. Para la fabricación “in house” de medicamentos de terapia avanzada, conforme a la normativa comunitaria, se requiere la autorización de la AEMPS, que se producirá caso a caso y atendiendo a circunstancias específicas (cláusula de “exención hospitalaria”).

PROPUESTAS

1. Impulsar el desarrollo integral de la “Estrategia de Medicina Personalizada de Precisión”, en la que se inscribe el “Plan de Abordaje de Terapias Avanzadas”, en el marco del Pacto por la Ciencia y de la Innovación, con un plan de inversiones a medio plazo.
2. Evaluar y revisar y reforzar el “Plan de Abordaje de Terapias Avanzadas” en función de la experiencia acumulada durante los tres años de aplicación, desde las perspectivas de la investigación, la gestión del circuito asistencial, la digitalización, el acceso equitativo, la humanización y apoyo sociosanitario a los pacientes, la evaluación integral de los costes, la financiación y el reembolso, así como la formación y la información de los profesionales sanitarios y los pacientes.
3. Incluir en el Plan, entre otras medidas específicas, (i) la disponibilidad de biomarcadores; (ii) el establecimiento de mecanismos y procedimientos ágiles para la incorporación de las terapias avanzadas en la cartera de servicios, en particular las terapias dirigidas, las técnicas de ARN mensajero y otras similares; (iii) el impulso, la simplificación y una métrica segura en la tramitación para la selección de pacientes, para la aféresis y la infusión de células y para la designación de centros autorizados; (iv) la mejora de la gestión y explotación de los datos; (v) la habilitación de autorizaciones y financiaciones condicionadas “express” para nuevas indicaciones en situaciones de urgencia vital; además de otras medidas sobre trabajo en equipo, disponibilidad y formación de recursos humanos y de apoyo a los pacientes y a sus familias y Asociaciones; VI) evaluación económica de las medidas que se establezcan, valorando su coste - utilidad y coste - beneficio. Estudios del SROI (Social Return of Investment) y de tipo MCDA (Multicriteria Decision Analysis).
4. Actualizar el “Plan de Abordaje de Terapias Avanzadas” con transparencia y con la participación de todas las partes interesadas, en base a criterios y objetivos consensuados.
5. Fomentar el mayor consenso institucional y político para el desarrollo de las terapias avanzadas, con-

LA NUEVA ERA DE LAS TERAPIAS AVANZADAS

HACIA UNA ESTRATEGIA COLABORATIVA PARA LOS PACIENTES

tando con la participación y aportaciones de Sociedades Científicas y Asociaciones de Pacientes. Para ello sería necesario revitalizar el Comité Institucional del Plan de Abordaje y hacer realidad la incorporación de ambas al Comité Consultivo del Consejo Interterritorial del SNS, en línea con lo previsto en la futura Ley de Equidad, Universalidad y Cohesión.

6. Analizar la actual distribución territorial de los centros designados, de modo que se favorezca la equidad en el acceso a estos tratamientos, pero sin que ello suponga una dispersión de dichos centros; de otro modo se podría perjudicar la necesaria acumulación de experiencia o generar pérdidas de especialización. Desde esta perspectiva es importante tener en cuenta la incorporación de nuevas terapias avanzadas a la Cartera de Servicios según se vayan produciendo.
7. Fortalecer con fondos europeos NextGenerationUE y con incentivos económicos y fiscales la posición de España a la hora de dar acogida a los ensayos en terapias avanzadas, mejorando la actual situación laboral y expectativas profesionales de los investigadores siendo el establecimiento de estas partidas finalistas.
8. Estimular los acuerdos de investigación en terapias avanzadas que faciliten la colaboración de centros e Instituciones universitarias, así como la colaboración público-privada, clave en el desarrollo de estas terapias y con ventajas acreditadas para ambos sectores, en línea con los acuerdos de la Comisión de Reconstrucción Social y Económica del Congreso de los Diputados y de lo previsto en el PERTE para la Salud de Vanguardia.
9. Orientar y priorizar la investigación y los ensayos hacia nuevas patologías, nuevos medicamentos, nuevas indicaciones y para testar los resultados obtenidos.
10. Completar los resultados de los ensayos con los datos de la práctica clínica, dado el limitado volumen poblacional de aquellos.
11. Realizar ensayos en fases más avanzadas, ya que ello encierra ventajas para la posterior toma de decisiones.
12. Agilizar el vigente sistema de registro de datos en el ámbito de los ensayos, mejorando su conexión con bancos de datos y redes europeas e internacionales.
13. Coordinar los planes de investigación de las Comunidades Autónomas en terapias avanzadas dentro de un marco estratégico plurianual, aprobado por el Consejo Interterritorial y dotado de un programa económico-presupuestario plurianual.
14. Garantizar un especial cuidado hacia lo publicado en revistas de alta difusión sobre los resultados reales de los ensayos, porque no hacerlo podría conllevar informaciones generadoras de confusión entre profesionales y pacientes.
15. Facilitar la traslación de la fase investigadora básica y preclínica a la del tratamiento clínico mediante la incorporación de estas terapias innovadoras de fabricación industrial a la Cartera Común de Servicios del SNS.
16. Revisar protocolos y guías terapéuticas, poniendo el foco en los agentes a participar en los mismo, la selección de candidatos, el procedimiento de derivaciones, los informes a cumplimentar, la reducción de trámites y de plazos e indicadores para el seguimiento, los resultados de los tratamientos y los efectos adversos, acordando en el Consejo Interterritorial del SNS criterios comunes básicos sobre dichos protocolos y guías. Esto debería estar unificado para todo el SNS.
17. Promover acuerdos en el Consejo Interterritorial del SNS sobre criterios y pautas comunes para evaluar costes y sobre esquemas de reembolso, de modo que se facilite el equilibrio entre un acceso abierto a la innovación y la necesaria sostenibilidad económico-presupuestaria del sistema sanitario.

18. Mejorar la evaluación de los ensayos mediante la potenciación de la dimensión económica.
19. Mitigar el impacto económico y familiar en caso de derivación de pacientes a centros designados de otras Comunidades Autónomas, mediante ayudas públicas sociosanitarias (alojamiento, entre otras), ofreciendo información sobre ello a los interesados.
20. Impulsar la realización de estudios sobre metodologías para la evaluación económica de los tratamientos con medicamentos de terapia avanzada (coste-efectividad, coste-eficacia, coste-utilidad, coste-beneficio), sobre fijación de precios (por ejemplo, ventajas de modelos tipo alemán de financiación cuasi automática y precio ajustable periódicamente en función de reevaluaciones) y sobre esquemas flexibles de reembolso (pago por resultados, reembolso condicionado, pago aplazado, pago fraccionado, etc.).
21. Incluir en la evaluación económica no sólo los costes directos (lo que a veces no será fácil por la limitación de datos disponibles), sino también otros costes y factores, tales como el esfuerzo inversor en investigación de las empresas, la utilización de recursos y estructuras hospitalarias públicas, la disminución de los procesos y la mejora de los resultados, el valor de la innovación, la edad del paciente, la esperanza de vida, la calidad de vida, las ganancias intertemporales de salud, las posibilidades de reincorporación a la vida activa, el pago a cuidadores y otras variables de carácter sociosanitario.
22. Tener presente que el objetivo de recortar plazos es estratégico, porque las demoras tienen negativas consecuencias en términos de listas de espera y en resultados en salud.
23. Fortalecer la formación de los clínicos en terapias avanzadas en los estudios de grado (en especial, en las Facultades de Medicina), así como en formación especializada y continuada.
24. Impulsar la formación en humanización de los cuidados y en gestión e inteligencia emocional. Realizar campañas de concienciación de estas patologías a tratar a nivel profesional y social.
25. Mejorar los sistemas de información y formación para los pacientes y sus familias, apoyando las actividades de sus Asociaciones y de las Escuelas de Salud de las Comunidades Autónomas.
26. Velar por el perfil profesional y la cualificación de los profesionales que participen en órganos y procesos de evaluación.
27. Reducir el decalaje en la información para evitar que se produzcan retrasos en las evaluaciones y en el acceso a estas terapias.
28. Mejorar el actual modelo de financiación, en particular la transparencia, la gestión administrativa y la dotación del Fondo de Cohesión.
29. Garantizar que se aplican de modo estricto y transparente los requisitos establecidos por el Reglamento (CE) 1394/2007, de 13 de noviembre, sobre fabricación industrial y fabricación in house (o académica) de medicamentos de terapia avanzada.
30. Introducir cambios en la Ley de Garantías y Uso Racional de los Medicamentos y Productos Sanitarios, dentro de las modificaciones legislativas previstas en el componente 18 del Plan de Recuperación, Transformación y Resiliencia (PRTR), para clarificar el régimen jurídico de financiación, precios y reembolso en su aplicación a los medicamentos de terapia avanzada y para garantizar mayor agilidad administrativa, calidad, equidad, certidumbre y seguridad en la prescripción, el acceso y la gestión en las distintas fases del circuito asistencial de las terapias avanzadas.

ANEXO I. CENTROS DESIGNADOS PARA EL USO DE TERAPIAS CAR-T

■ Linfoma B de células grandes
 ■ Leucemia linfoblástica aguda
 ■ Mieloma múltiple
 ■ Linfoma de células de manto

CENTROS DESIGNADOS INICIALMENTE

Comunidad	Centro hospitalario	PACIENTES ADULTOS				PACIENTES PEDIÁTRICOS			
Castilla y León	Complejo Asistencial de Salamanca	■	■	■	■	□	□	□	□
Comunitat Valenciana	Hospital Clínico Universitario de Valencia	■	■	■	■	□	□	□	□
	Hospital Universitario i Politècnic La Fe	■	■	■	■	□	□	□	□
Cataluña	Hospital Clinic de Barcelona	■	■	■	■	□	□	□	□
	Hospital de la Santa Creu i Sant Pau en Cataluña	■	■	■	■	□	□	□	□
	Hospital Vall d'Hebrón	■	■	■	■	□	■	□	□
	ICO Hospital Duran i Reynals	■	■	■	■	□	□	□	□
	ICO Hospital Germans Trias i Pujol	■	■	■	■	□	□	□	□
	Hospital Sant Joan de Deu	□	□	□	□	□	■	□	□
	Hospital Universitario Gregorio Marañón	■	■	■	■	□	□	□	□
Comunidad de Madrid	Hospital del Niño Jesús	□	□	□	□	□	■	□	□
	Hospital Universitario La Paz	■	■	■	■	□	■	□	□
Andalucía	Hospital Universitario Virgen del Rocío de Sevilla	■	■	■	■	□	■	□	□
Canarias	Hospital Universitario de Gran Canaria Doctor Negrín**	■	■	■	■	□	□	□	□

CENTROS DESIGNADOS EN 2022

Comunidad	Centro hospitalario	PACIENTES ADULTOS				PACIENTES PEDIÁTRICOS			
País Vasco	Hospital Universitario Donostia*	■	■	■	■	□	□	□	□
Galicia	Complejo Hospitalario Universitario de A Coruña*	■	■	■	■	□	□	□	□
	Complejo Hospitalario Univ. de Santiago de Compostela	□	□	□	□	□	■	□	□
Andalucía	Hospital Universitario Reina Sofía	■	■	■	■	□	■	□	□
	Hospital Regional Universitario de Málaga	■	■	■	■	□	■	□	□
Asturias	Complejo Hospitalario Universitario Central de Asturias**	■	■	■	■	□	□	□	□
Cantabria	Hospital Universitario Marqués de Valdecilla	■	■	■	■				
Región de Murcia	Hospital Clínico Universitario Virgen de la Arrixaca	■	■	■	■	□	■	□	□
	Hospital Clínico Universitario Morales Meseguer	■	■	■	■	□	□	□	□
Illes Balears	Hospital Universitari Son Espases	■	■	■	■*	□	■	□	□
Comunidad de Madrid	Hospital Puerta del Hierro de Majadahonda	■	■	■	■	□	□	□	□
	Hospital Universitario Ramón y Cajal	■	■	■	■	□	□	□	□
	Hospital 12 de Octubre	■	■	■	■	□	□	□	□
	Hospital Universitario La Princesa	■	■	■	■	□	□	□	□

* Centros adicionales

** Centro con carácter excepcional

Fuente: elaboración propia a partir de datos del Ministerio de Sanidad: https://www.sanidad.gob.es/profesionales/farmacia/Terapias_Avanzadas_2.htm



Número de aprobación:
ES2206286640