

Un total de 17 personas ya han recibido la primera dosis y 12 de ellas han completado la pauta de este fármaco

El Hospital Puerta de Hierro de la Comunidad de Madrid empieza a administrar una terapia celular pionera a pacientes con lesiones medulares crónicas

- Se trata del primer medicamento de terapia avanzada y fabricación no industrial autorizado por la AEMPS para su uso hospitalario en nuestro país
- Su investigación y desarrollo se ha realizado durante más de 20 años y de forma íntegra en este centro público madrileño
- Hasta el momento está siendo bien tolerado por los pacientes y no se han observado reacciones adversas graves en ninguno de ellos
- La Unidad de Terapias Avanzadas de la Comunidad de Madrid ha recibido hasta la fecha 78 solicitudes para ser tratado con este medicamento, 42 de ellas de otras regiones

7 de marzo de 2022.- El Hospital público Puerta de Hierro de la Comunidad de Madrid ya ha iniciado el tratamiento en pacientes con la terapia celular NC1, pionera en Europa e indicada en el tratamiento de lesiones medulares crónicas y clínicamente incompletas, secundarias a daño vertebral dorsal o lumbar de origen traumático. Este medicamento, desarrollado de forma íntegra en este hospital público de la región, situado en Majadahonda, es el primero de terapia avanzada y fabricación no industrial autorizado para su uso hospitalario por la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) en nuestro país.

A día de hoy, se ha administrado la primera dosis del NC1 a un total de 17 pacientes, nueve de los cuales son de la Comunidad y los ocho restantes de otros puntos de España. De acuerdo con la ficha técnica, tienen que pasar tres meses entre la administración de la primera y la segunda dosis. En este sentido, de todos los que han comenzado el tratamiento, 12 ya han recibido la pauta completa. Hasta el momento, todos lo han tolerado bien y no se han observado reacciones adversas graves en ninguno de ellos.

Se estima que de aquí a junio de 2022 el Hospital Puerta de Hierro Majadahonda tratará a un total de 40 personas con la pauta completa de este medicamento, de acuerdo con lo establecido en las condiciones de autorización

de la AEMPS. El objetivo de la Comunidad de Madrid, de la mano de la agencia estatal, es ir aumentando el número de candidatos cada año, de forma progresiva y siempre de acuerdo a unos resultados clínicos que mantengan un balance favorable de riesgo/beneficio.

Hasta la fecha, la Unidad de Terapias Avanzadas (UTA) de la región ha recibido un total de 78 solicitudes para este tratamiento, 42 de ellas procedentes de otras comunidades autónomas. Todas las peticiones son revisadas y evaluadas por un Comité de Selección formado por profesionales médicos de Puerta de Hierro especialistas en neurocirugía, farmacología clínica, rehabilitación, neurología, urología y medicina interna, así como miembros de la sala de producción de Terapia Celular, coordinación de trasplantes, enfermería, psicología, trabajo social y farmacia, además de un profesional externo a la institución.

Tras completar las evaluaciones pertinentes y confirmar que la persona es candidata a la terapia, ésta recibe el tratamiento y, además, se le incluye directamente en un programa de seguimiento multidisciplinar a largo plazo. Este tiene como objetivo la generación de evidencia adicional sobre la eficacia y seguridad del fármaco ya que, a día de hoy, todavía es muy pronto para ofrecer resultados sólidos de eficacia en práctica clínica real. El Hospital Universitario la Princesa también participa en la evaluación y seguimiento de estos pacientes gracias a un convenio de colaboración firmado entre ambos centros.

La incorporación a la actividad asistencial de esta innovadora terapia, pionera en Europa, es el resultado de más de 20 años de investigación y desarrollo clínico bajo la dirección del doctor Jesús Vaquero –jefe del Servicio de Neurocirugía fallecido en 2020–, que han culminado con éxito gracias al apoyo de la Comunidad de Madrid, la Fundación Mapfre, la Fundación Rafael del Pino y la Asociación APYNME.

PRODUCCIÓN Y ADMINISTRACIÓN PERSONALIZADA EN CADA CASO

El tratamiento con esta terapia se divide en dos fases. En la primera, se procede a la extracción de células madre mesenquimales del propio paciente a través de una punción de médula ósea. Posteriormente, estas son tratadas en una sala de producción celular (Sala Blanca), donde se cultivan y expanden hasta obtener la dosis necesaria para comenzar con el proceso. En una segunda fase se administra la terapia a través de una inyección en el líquido cefalorraquídeo o en el lugar exacto de la lesión medular.

En el último año se han acometido una serie de obras de reacondicionamiento de la Sala Blanca de Terapia Celular de este hospital público madrileño con el objetivo de ampliar su capacidad de producción y poder llegar así a un número mayor de enfermos.

Para llevar a cabo la investigación, desarrollo y producción de terapias avanzadas, el Puerta de Hierro cuenta con una Unidad Multidisciplinar de

Terapias Avanzadas (UMTA), creada con el objetivo de coordinar esfuerzos para lograr la mayor eficiencia y excelencia asistencial en el acceso a las terapias avanzadas de uso comercial, así como para potenciar la investigación, desarrollo y aplicabilidad clínica de terapias avanzadas de producción e investigación propia.

Esta Unidad engloba dos salas de producción celular certificadas por la AEMPS, así como diversos equipos clínicos y de investigación que están desarrollando un número notable de proyectos centrados en nuevas terapias avanzadas que cuentan con financiación pública tanto a nivel nacional como europeo. Los propios se agrupan fundamentalmente bajo dos líneas de investigación: medicina regenerativa e inmunomodulación.

ESTRATEGIA REGIONAL DE TERAPIAS AVANZADAS

Las terapias avanzadas son productos de uso humano que se basan en genes (terapias génicas), células (terapia celular) o tejidos (ingeniería de tejidos). Constituyen uno de los principales hitos alcanzados en los últimos años en el abordaje de enfermedades que, hasta el momento, cuentan con pocas opciones de tratamiento.

Su desarrollo ha registrado un rápido incremento en los últimos años gracias a los nuevos conocimientos en materia de secuenciación y a las nuevas técnicas de manipulaciones genéticas y celulares. Todo ello ha dado lugar a que, tras varias décadas de investigación, hayan comenzado a comercializarse para su uso clínico habitual los primeros medicamentos de este tipo.

Consciente de la importancia y potencial de las terapias avanzadas así como de la complejidad de su manejo a nivel clínico y regulatorio, la Comunidad de Madrid cuenta con una Estrategia Regional de Terapias Avanzadas desde 2018, dirigida a optimizar el uso de estos medicamentos a través de la coordinación y el apoyo de los ámbitos de la investigación, la formación, la asistencia sanitaria y la gestión, de forma que se garantiza el acceso equitativo al tratamiento a aquellos pacientes que lo precisen.

Además, la región contará antes de este verano con un nuevo Plan en este ámbito para el periodo 2022-2024, con el objetivo de avanzar en la investigación y garantizar la accesibilidad de un mayor número de personas a estos medicamentos en general y, específicamente, a las CAR-T, una nueva vía de tratamiento para determinados tumores hematológicos para los que no existen otras alternativas terapéuticas.