

NUEVAS OPCIONES PARA ALGUNAS ENFERMEDADES...

En **2022**, la EMA recomendó la autorización de comercialización de

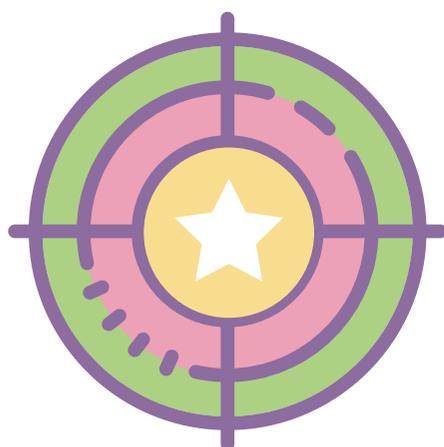
89

medicamentos

NEW
41

tenían una **nueva sustancia activa** que nunca antes había sido autorizada en UE

- 6 nuevos medicamentos de terapia avanzada
- 7 nuevos medicamentos huérfanos para enfermedades raras que no tenían ningún otro tratamiento aprobado



Según la EMA, algunos suponen un **avance significativo en su área terapéutica** como

NUEVAS OPCIONES PARA ALGUNAS ENFERMEDADES...

Oncología

Carvykti® **(ciltacabtagén autoleucel)**



Tratamiento de adultos con **mieloma múltiple** (un cáncer de la médula ósea) cuando el cáncer ha reaparecido (recidivado) y no ha respondido al tratamiento (refractario)

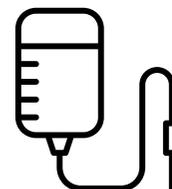
Se utiliza en adultos que han recibido al menos tres tratamientos previos, incluidos un agente inmunomodulador, un inhibidor del proteosoma y un anticuerpo anti-CD38, y cuya enfermedad ha empeorado desde el último tratamiento

Ebvallo® **(tabelecleucel)**



Tratamiento de pacientes adultos y pediátricos de 2 años de edad y mayores que, después de recibir un trasplante de órgano o de médula ósea, desarrollan un cáncer de la sangre llamado **enfermedad linfoproliferativa postrasplante asociada al virus de Epstein-Barr** (ELPT EBV+) en recaída o refractaria que hayan recibido al menos un tratamiento previo

Kimmtrak® **(tebentafusp)**



Tratamiento de adultos con un tipo de cáncer ocular denominado «**melanoma uveal**».
Se utiliza cuando el melanoma uveal no puede extirparse mediante cirugía o se ha extendido a otras partes del organismo



NUEVAS OPCIONES PARA ALGUNAS ENFERMEDADES...

Hematología

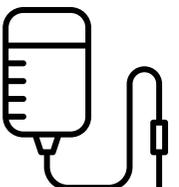
Breyanzi® (lisocabtagén maraleucel)

Tratamiento de adultos con diferentes tipos de cáncer de la sangre: **linfoma B difuso de células grandes** (LBDCG); **linfoma B primario mediastínico de células grandes** (LBPM); **linfoma folicular de grado 3B** (LF3B), en pacientes cuyo cáncer haya reaparecido o no haya respondido a dos o más tratamientos anteriores



Hemgenix® (etranacogén dezaparvovec)

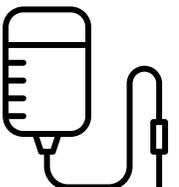
Es la primera terapia génica para el tratamiento de adultos con **hemofilia B** grave y moderadamente grave, un trastorno hemorrágico hereditario causado por la deficiencia del factor IX. Se utiliza en adultos que no han desarrollado inhibidores frente al factor IX



Roctavian® (valoctocogén roxaparvovec)

Primera terapia génica para el tratamiento de la **hemofilia A** grave, un trastorno hemorrágico hereditario causado por la falta de una proteína de coagulación conocida como factor VIII.

Se utiliza en adultos que no tienen inhibidores (anticuerpos) del factor VIII y sin anticuerpos contra el virus adenoasociado de serotipo 5 (AAV5)



NUEVAS OPCIONES PARA ALGUNAS ENFERMEDADES...

Metabolismo

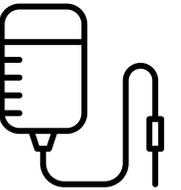
Mounjaro® (tirzepatida)

Medicamento que mediante un mecanismo innovador (activa los receptores GLP-1 y GIP) se utiliza, junto con dieta y ejercicio, para el tratamiento de pacientes con **diabetes tipo 2** en monoterapia (cuando metformina no se considera apropiada) o añadido a otros medicamentos



Xenpozyme® (olipudasa alfa)

Es la primera terapia para el tratamiento de pacientes adultos o pediátricos con **déficit de esfingomielinasa ácida** (ASMD) con tipo A/B o B, una enfermedad genética conocida históricamente como enfermedad de Niemann-Pick



Zokinvy® (lonafarnib)

Es el primer tratamiento para niños con **síndromes progeroides**, una enfermedad genética ultra rara que causa envejecimiento prematuro y muerte



NUEVAS OPCIONES PARA ALGUNAS ENFERMEDADES...

Neurología

Upstaza® (eladocagén exuparvovec)



Es el primer tratamiento para adultos y niños con **deficiencia grave de L-aminoácido aromático descarboxilasa** (AADC) con un diagnóstico genéticamente confirmado; un trastorno genético ultra raro que afecta al sistema nervioso

Neumología

Beyfortus® (nirsevimab)



Es el primer medicamento para la prevención de la enfermedad grave del tracto respiratorio inferior (pulmones) causada por el **Virus Respiratorio Sincitial** (VRS) en neonatos y lactantes durante su primera temporada de VRS

