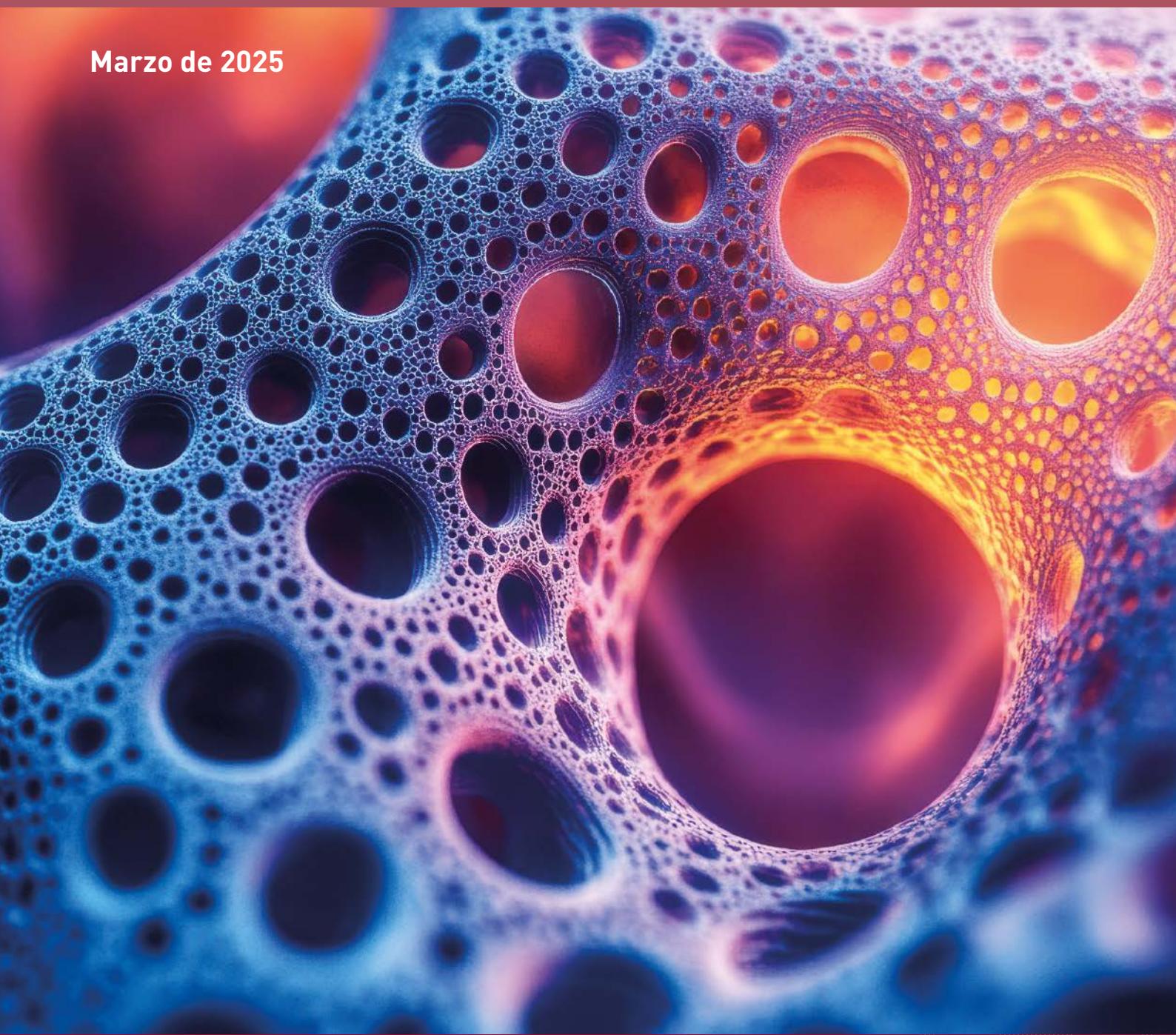


RETOS Y OPORTUNIDADES EN LA ERA DE LAS TERAPIAS AVANZADAS EN ESPAÑA

Marzo de 2025



Índice

Con el apoyo de:



2025, Consorci de Salut i Social de Catalunya

Edita: Consorci de Salut i Social de Catalunya

Primera edición: Barcelona, 2025

Coordinación: Josep M. Guiu Segura, Director del Área de Farmacia y del Medicamento del Consorci de Salut i Social de Catalunya

Aviso legal: Los contenidos de este informe están sujetos a una licencia de Reconocimiento -No comercial- Sin obras derivadas 4.0 de Creative commons. Se permite la reproducción, distribución y comunicación pública siempre que se cite el autor y no se haga un uso comercial.

La licencia se puede consultar en: <http://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/deed.es>



1. Introducción	5
2. Metodología	7
3. Dimensiones de análisis y situación actual	11
A nivel nacional	11
A nivel regional	20
A nivel europeo	24
4. Futuro de las Terapias Avanzadas en España	31
Retos e iniciativas	31
Reto 1	33
Reto 2	35
Reto 3	37
Reto 4	39
Reto 5	41
Reto 6	43
5. Iniciativas prioritarias y propuestas de plan de acción	45
6. Conclusiones	61
7. Anexo	65
Acrónimos	65
Participantes	66
Bibliografía	68

1

Introducción

Las terapias avanzadas constituyen un paradigma emergente en la medicina, proporcionando estrategias terapéuticas innovadoras como la terapia génica, celular y tisular para el tratamiento de enfermedades de elevada complejidad y en muchas ocasiones sin opciones terapéuticas efectivas. España se ha consolidado como un referente internacional en este ámbito, ocupando la quinta posición a nivel mundial en producción científica sobre terapia celular en relación con su producto interno bruto (PIB) y destacando por su liderazgo en el número de ensayos clínicos en desarrollo.

- + +
- + +
- + +
- + +
- + + + + +
- + + + + +
- + + + + +
- + + + + +
- + + + + +
- + + + + +
- + + + + +
- + +
- + +
- + +
- + +

El Plan de Abordaje de Terapias Avanzadas en el Sistema Nacional de Salud, que cumple seis años, ha sido fundamental para el progreso en este ámbito, permitiendo tratar a 1.406 pacientes con terapias CAR-T hasta mayo de 2024. Sin embargo, el sistema de salud se enfrenta a desafíos significativos, incluyendo la necesidad de mayor inversión, la agilización de procesos y la ampliación de las capacidades de producción.

Para consolidar y fortalecer su posición de liderazgo en el ámbito de las terapias avanzadas, España está impulsando la actualización de su plan estratégico en este campo. Entre sus objetivos se incluyen la expansión de la red de centros acreditados, la incorporación de nuevas indicaciones terapéuticas y el fomento de la colaboración entre instituciones académicas y la industria. Iniciativas como el PERTE de Salud de Vanguardia y proyectos como CERTERA y TERAFFRONT están orientados a promover la innovación y el desarrollo en un área clave para el futuro de la medicina personalizada.

En este contexto, el Consorci de Salut i Social de Catalunya, en línea con su misión de promover modelos de salud y atención social excelentes y sostenibles, orientados a mejorar la calidad de vida de las personas, desarrolla este proyecto con el objetivo de contribuir al avance en la gestión de las terapias avanzadas. Para ello, se centra en la identificación de los retos y oportunidades tanto para el sistema de salud como para la atención sanitaria.

Por su parte, Laboratorios Pierre Fabre, comprometidos con el desarrollo de las terapias avanzadas y la sostenibilidad del sistema de salud, participan activamente en esta iniciativa. Su contribución no se limita al apoyo del proyecto, sino que también desempeñan un papel clave, como socios estratégicos en su desarrollo. En este marco, se busca definir posibles acciones que permitan abordar los desafíos actuales y fomentar la adopción e implementación de estas terapias innovadoras en España.

Como resultado de este proyecto, se ha elaborado el presente documento de consenso, fruto del trabajo y la implicación de un amplio grupo de expertos multidiscipli-

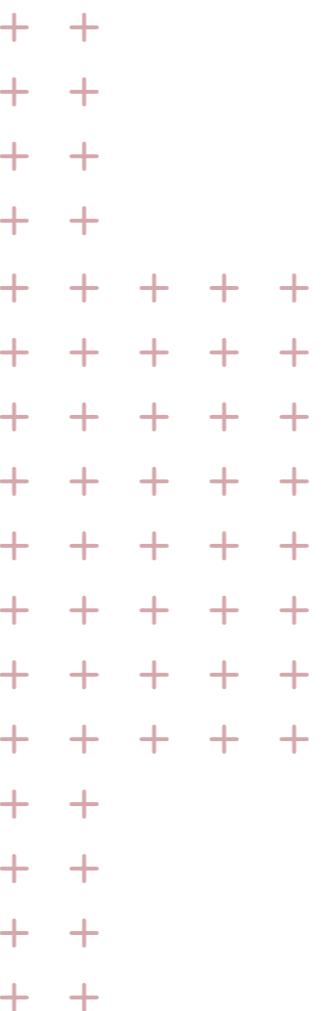
nares de diversas Comunidades Autónomas de España. En este documento se analiza el estado actual de las terapias avanzadas en el país, se identifican sus principales retos, obstáculos y oportunidades, y se proponen diferentes líneas de acción, tanto específicas como escalables, orientadas a acelerar su implementación y adopción en el sistema de salud.

2

Metodología

Para alcanzar los objetivos planteados, este proyecto se estructuró en tres fases metodológicas, lo que permitió obtener una visión integral del estado actual de las terapias avanzadas en España, así como de sus principales retos, oportunidades y perspectivas futuras en términos de gestión e implementación.

A lo largo de todo el desarrollo del proyecto, se contó con la participación de un grupo multidisciplinar de expertos, quienes, desde sus respectivas áreas de conocimiento y experiencia, contribuyeron a la identificación de los principales desafíos y a la definición de soluciones y líneas de acción orientadas a abordarlos de manera efectiva.



Actuaciones	Resultado
Fase 1 Análisis de la situación actual	<ul style="list-style-type: none"> Revisión bibliográfica. 6 entrevistas a profesionales. Cuestionario estructurado a expertos. <p>Informe de situación de las terapias avanzadas en el SNS.</p>
Fase 2 Definición del modelo de futuro	<p>Jornada de innovación con un grupo de expertos multidisciplinar con el objetivo de:</p> <ul style="list-style-type: none"> Validar y priorizar retos. Idear líneas de acción y soluciones. <p>Reflexión estratégica sobre el futuro de las terapias avanzadas en España.</p>
Fase 3 Elaboración del documento de consenso	<p>Redacción, validación y presentación del documento final del consenso.</p> <p>Informe final de consenso.</p>

Con el objetivo de obtener una visión completa de las terapias avanzadas, para el desarrollo del proyecto se identificaron seis áreas de análisis que enmarcarán y guiarán todas las fases. Estas son:

1. Marco regulatorio
2. Evaluación
3. Financiación y compra innovadora
4. Ámbito clínico, acceso y recursos
5. Tecnología e innovación
6. Investigación y desarrollo

Fase 1. Análisis de la situación actual

Durante la primera fase del proyecto el objetivo principal fue caracterizar la situación actual de las terapias avanzadas en el ámbito nacional, teniendo en cuenta también *best practices* a escala internacional, con el fin de:

Desarrollar un análisis bibliográfico a través de fuentes de información nacionales e internacionales que enmarcaron de forma teórica la situación de partida, determinando de forma preliminar retos y barreras, e identificando iniciativas de éxito nacionales (por Comunidad Autónoma) e internacionales.

De forma paralela, se llevaron a cabo seis entrevistas a expertos pertenecientes a diferentes ámbitos del SNS, quienes, mediante su visión y dilatada experiencia, aportaron un diagnóstico sobre la realidad actual de las terapias avanzadas en nuestro país en cada una de las áreas de análisis.

En base a la información recopilada, se elaboró un cuestionario estructurado con el objetivo de identificar de forma definitiva los retos que presentan las terapias avanzadas en España. Este formulario fue respondido por los 13 profesionales que formarían el grupo de trabajo experto en la jornada de innovación.

Fase 2. Definición del modelo futuro

La segunda fase de este proyecto se desarrolló en el marco de una sesión de trabajo organizada en el Consorci de Salut i Social de Catalunya, en la que participaron trece expertos procedentes de distintos ámbitos sanitarios y Comunidades Autónomas, con el objetivo de definir iniciativas estratégicas para la gestión de las terapias avanzadas.

Durante esta sesión, que tuvo una duración de cuatro horas, se presentó el análisis de la situación actual y los retos previamente identificados en cada una de las dimensiones evaluadas. Esto permitió a los participantes realizar una reflexión estratégica, consensuar y validar dichos desafíos, y priorizar seis de ellos para su posterior desarrollo.

Una vez definidos los retos prioritarios, los trece expertos se organizaron en dos grupos de trabajo, lo que facilitó el debate sobre las líneas de acción escalables a nivel nacional. Además, se analizaron factores que podrían acelerar la implementación de estas estrategias, así como posibles barreras que podrían dificultar la gestión, adopción e integración de las terapias avanzadas en el sistema sanitario.

Posteriormente, se elaboró un formulario de priorización que fue enviado a los trece participantes con el fin de evaluar las 42 iniciativas, en función de su impacto esperado y factibilidad. Este proceso permitió identificar las líneas estratégicas con mayor potencial para transformar el modelo de incorporación de las terapias avanzadas en el SNS.

Fase 3. Elaboración del documento de consenso

Con los resultados obtenidos, se realizó un documento de consenso para definir las líneas estratégicas y de acción, que deberían impulsar el modelo futuro de implementación, gestión y abordaje de las terapias avanzadas en España.

Autores del documento

Este documento de consenso se ha desarrollado bajo la coordinación del Consorci de Salut i Social de Catalunya, contando con la participación de distintos expertos de ámbitos multidisciplinares del Sistema Nacional de Salud.

Encontrará el listado de participantes y autores en el Anexo.

Participantes de la entrevista

Juan Eduardo Mejías.

Responsable de la Oficina Autonómica de Medicina Predictiva, Personalizada y Terapias Avanzadas de la Comunidad Valenciana.

Benigno Rosón.

Subdirector general de Sistemas y Tecnologías de la Información de la Conselleria de Sanidad, Xunta de Galicia.

Sandra Fontanals.

Jefa del Servicio de Farmacia Hospitalaria del Institut Català d'Oncologia (ICO).

Elena Casaus.

Jefa de División de la Unidad de Terapias Avanzadas de la Dirección General de Investigación, Docencia y Documentación del Servicio Madrileño de Salud.

Antonio Pérez.

Jefe del Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica del Hospital Universitario La Paz.

Isabel Pineros.

Directora del Departamento de Acceso de Farmaindustria.

Participantes de la jornada de innovación

Flora Pérez.

Jefa de Servicio de Gestión Farmacéutica del Servicio Cántabro de Salud.

Joan Vinent.

Jefe de la Unidad de Farmacia Oncológica. Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona.

Carla Alonso.

Farmacéutica Hospitalaria en el Hospital Universitari Vall d'Hebron. Especialista en Hematooncología y Terapias Avanzadas.

Carlos Crespo.

Jefe de Servicio de Farmacia Hospitalaria del Área Sanitaria de Pontevedra y O Salnés. Servicio Gallego de Salud.

Vicente Escudero.

Farmacéutico adjunto de la Unidad de Oncohematología del Hospital General Universitario Gregorio Marañón de Madrid.

Nekane Murga.

Directora de Planificación, Ordenación y Evaluación Sanitaria del Departamento de Salud del País Vasco.

Ana Rubio.

Coordinadora del Área de Farmacia del Servicio de Salud de Castilla-La Mancha.

Vicente Arocás.

Coordinador Regional de Terapias Avanzadas en la Consejería de Salud de la Región de Murcia.

Nuria Gavaldà.

Directora de Estrategia e Innovación en el Banco de Sangre y Tejidos del Departamento de Salud de Cataluña.

Álvaro Roca.

Director de Market Access y Public Affairs de Pierre Fabre España.

Rubén Moreno.

Ex secretario general de Sanidad y Consumo del Sistema Nacional de Salud.

Josep Maria Guiu.

Director del Área de Farmacia y del Medicamento del Consorci de Salut i Social de Catalunya.

Virginia García.

Farmacéutica del Área de Farmacia y Medicamento del Consorci de Salut i Social de Catalunya.

3

Dimensiones de análisis y situación actual

Con el objetivo de definir y caracterizar la situación actual de las terapias avanzadas y poder establecer el modelo futuro, se establecieron seis dimensiones de análisis. Estos ámbitos de estudio fueron:

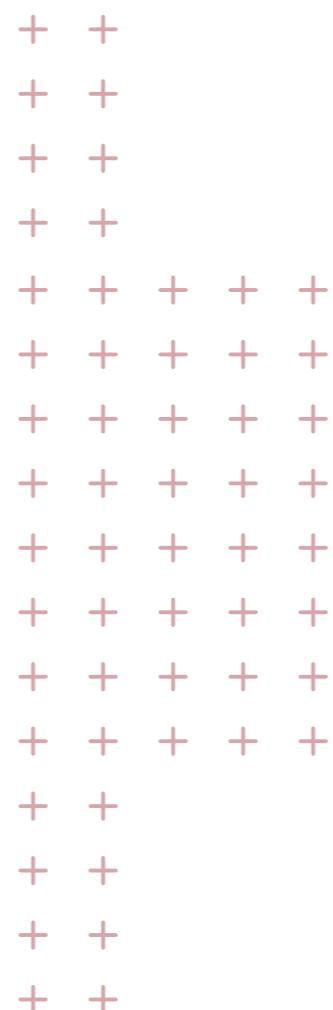


A nivel nacional

Las terapias avanzadas, y en particular las terapias con células CAR-T, han experimentado un desarrollo significativo en el Sistema Nacional de Salud (SNS) en los últimos años. Desde la implementación del Plan de Abordaje de las Terapias Avanzadas en 2018, España se ha consolidado como uno de los países líderes en Europa en la aplicación de estas innovadoras estrategias terapéuticas.

Este plan ha facilitado la designación de 28 centros de referencia distribuidos por todo el territorio nacional para la administración de terapias CAR-T, lo que ha permitido duplicar la capacidad inicial. Estas terapias han demostrado una alta eficacia en el tratamiento de diversas enfermedades, especialmente en neoplasias oncohematológicas, ofreciendo nuevas perspectivas terapéuticas a pacientes con opciones previas limitadas.

No obstante, el rápido avance en este campo plantea nuevos desafíos. Uno de los principales retos es la necesidad de optimizar el acceso a estas terapias, dado que



aproximadamente un 15% de los pacientes no llega a recibir el tratamiento debido a los tiempos de espera. Asimismo, se observa un desajuste entre el liderazgo de España, en cuanto a investigación y la aplicación clínica efectiva de estas innovaciones, lo que subraya la necesidad de fortalecer la integración entre la generación de conocimiento y su traslación a la práctica asistencial.

El 91% de los expertos consultados consideran que las terapias avanzadas presentan retos que es preciso abordar a corto plazo para asegurar y acelerar su correcta implementación y desarrollo en España. Además, el 100% cree que son un ámbito clave en el que el SNS debe invertir esfuerzos para la optimización de la asistencia sanitaria a corto plazo.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

Marco regulatorio

El 75% de los expertos participantes en este proyecto consideran prioritario abordar los desafíos regulatorios para mejorar y agilizar la implementación, el uso y el desarrollo nacional.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

En el contexto de las terapias avanzadas, el marco legal lo constituye el **Reglamento (CE) N.º 1394/2007** y el **Real Decreto Legislativo 1/2015**, de 24 de julio, que transpone 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.

El **Reglamento (CE) N.º 1394/2007** establece las bases para la regulación de los medicamentos de terapia avanzada, que incluyen terapia celular, terapia génica e ingeniería de tejidos. Sus principales aspectos son:

- Definir los tipos de medicamentos de terapia avanzada.
 - Establecer los requisitos de calidad, seguridad y eficacia para su autorización.
 - Crear un Comité de Terapias Avanzadas en la Agencia Europea de Medicamentos.
 - Introducir la cláusula de exención hospitalaria para productos no industriales.
- El **Real Decreto Legislativo 1/2015** transpone la Directiva 2001/83/CE e incorpora las disposiciones sobre medicamentos de terapia avanzada. Sus puntos más relevantes son:

- Regular la autorización, registro y condiciones de dispensación de estos medicamentos.
- Establecer los requisitos para su fabricación industrial.
- Determinar las competencias de la Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios.

Ambas normativas buscan garantizar los más altos estándares de calidad, seguridad y eficacia para estos medicamentos innovadores, a la vez que promueven la investigación y el desarrollo en este campo.

Con relación a la fabricación, hay que tener en cuenta otras normativas como el RD 477/2014, de 13 de junio de 2014, por el que se regula la autorización de medicamentos de terapia avanzada de fabricación no industrial, siguiendo lo establecido en el Reglamento europeo 1394/2007 sobre ATMPs.

A pesar de que, en la actualidad, las terapias avanzadas son uno de los campos clave de desarrollo, a nivel nacional tan solo las terapias tipo CAR-T poseen una estrategia operativa de adopción y uso. El documento *Plan para el abordaje de las terapias avanzadas en el SNS: medicamentos CAR-T*, nace en 2018 con el objetivo de impulsar el desarrollo e implementación eficaz de estas terapias innovadoras, creando un marco regulatorio y estratégico específico, diseñado para garantizar la seguridad, eficacia y accesibilidad a los tratamientos CAR-T.

Por todo esto, el 75% de los expertos participantes considera “imprescindible” o “muy necesario” el desarrollo de un marco regulatorio nacional.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

En línea con esta afirmación, **el 66,7% de los miembros del grupo de expertos considera que la legislación sanitaria en España (a nivel general) ralentiza o, incluso, dificulta la adopción de ciertas terapias avanzadas derivada de aspectos como:**

1. La inadaptación de las normativas al momento actual de las terapias avanzadas.
2. La falta de agilidad en los procesos burocráticos.
3. La necesidad de adaptar la legislación a las características propias de las terapias avanzadas.

En línea con la centralización de la regulación, y con el objetivo de agilizar el proceso de implementación y aprobación de las terapias avanzadas, un elevado porcentaje de expertos (el 66,7%) muestra un alineamiento con la **necesidad de promover estructuras en las que es necesario involucrar agentes clave que centralicen los procesos y coordinen la regulación a nivel nacional**. Algunos de los organismos que deben participar en el desarrollo de este nuevo marco normativo son:

1. Administraciones públicas centrales y autonómicas.
2. Sociedades científicas.
3. Centros de investigación y desarrollo.
4. Gestores hospitalarios.
5. Profesionales asistenciales.
6. Colegios profesionales.

Evaluación

El 75% de los expertos encuestados afirma que la evaluación es uno de los ámbitos en los cuales las terapias avanzadas presentan más desafíos.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

La reciente irrupción de los nuevos medicamentos de terapias avanzadas de uso humano ha supuesto un nuevo reto para los farmacéuticos de hospital, profesionales expertos en la seguridad y calidad de los medicamentos, y con competencias en todas las etapas del proceso farmacoterapéutico: selección, elaboración, adquisición, conservación, custodia, dispensación, seguimiento clínico e investigación.

Estos MTA presentan unas características intrínsecas que los hacen especiales y diferentes al resto de medicamentos: son medicamentos de alto impacto económico y sanitario, financiados con modelo de riesgo compartido, pago por resultados y que precisan de condiciones de conservación y requerimientos de calidad específicos, lo que ha supuesto un reto en la adaptación de la farmacia hospitalaria.

En esta línea de pensamiento, el 74,9% de los expertos participantes considera que es necesario generar sistemas estandarizados y más sencillos que permitan agilizar y simplificar los procedimientos de evaluación.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

Esta nueva forma terapéutica ha supuesto que tengamos que rediseñar nuestro método de evaluación, teniendo en cuenta nuevos indicadores, con el objetivo de valorar factores tan importantes como su seguridad, calidad, aportación de valor o impacto en vida real.

La irrupción de las terapias avanzadas ha significado un importante desafío para las agencias reguladoras y también para los profesionales implicados en la evaluación de medicamentos. Consciente de ello, la EMA estableció en 2009 el **Committee for Advanced Therapies** (CAT) para la evaluación inicial de los MTA. Este comité está compuesto por expertos en terapia génica, terapia celular, terapia tisular, biotecnología, ética, farmacovigilancia, gestión de riesgos, dispositivos médicos o cirugía.

Sin embargo, a nivel nacional, el 58,3% de los expertos considera necesaria la creación de nuevos organismos tanto a nivel centralizado (33,3%) como autonómico (16,7%). Por otro lado, el 33,3% considera importante priorizar los ya existentes con el objetivo de agilizar e impulsar la coordinación nacional en los ámbitos de evaluación y medición de resultados.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

En opinión del grupo de trabajo, las principales barreras a las que nos enfrentamos en el ámbito de la evaluación y medición de resultados son:

1. Falta de modelos y protocolos de evaluación innovadores adaptados.

2. Falta de herramientas tecnológicas que permitan realizarla de forma eficaz y eficiente.
3. Existencia de protocolos de reevaluación autonómica que ralentizan la gestión.
4. Necesidad de identificar indicadores apropiados y específicos y que tengan en cuenta la voz del paciente.
5. Falta de cultura de la evaluación de resultados.

Financiación y compra innovadora

El 91,7% afirma que la financiación y compra innovadora es el principal ámbito en el que las terapias avanzadas presentan más desafíos.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

La financiación y compra innovadora de terapias avanzadas en España se encuentra en un momento crucial de desarrollo.

El país se posiciona como un referente en investigación y ensayos clínicos de estas terapias innovadoras, especialmente en el campo de las CAR-T. En los últimos años, se han implementado iniciativas gubernamentales significativas para impulsar el desarrollo, producción y acceso a estas terapias, buscando aprovechar el potencial de la industria biotecnológica española y mejorar la atención sanitaria.

Sin embargo, el panorama actual presenta tanto oportunidades como desafíos, incluyendo la necesidad de adaptar, actuar y crear nuevos modelos de evaluación y financiación **para garantizar la sostenibilidad del sistema sanitario y el acceso de los pacientes a estos tratamientos innovadores.**

La creación de infraestructuras para el desarrollo y aplicación de las terapias avanzadas conlleva un impacto económico significativo en el Sistema Nacional de Salud (SNS). Según algunos expertos en el ámbito, se estima que para 2025 las agencias reguladoras aprobarán entre 10 y 20 terapias génicas y celulares por año.

En este sentido, el 83,3% de los expertos considera que los modelos de financiación actuales para las terapias avanzadas no son sostenibles para el SNS.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

Actualmente de las **26 terapias avanzadas disponibles en la Unión Europea solo hay 7 disponibles en el Sistema Nacional de Salud**, por lo que es preciso agilizar y actualizar los marcos organizativos y normativos para facilitar el acceso a dichas terapias.

Los **principales retos** que el grupo de expertos ha identificado relacionados con el campo de la evaluación y financiación se orientan a:

1. La necesidad de medir de forma efectiva el valor que una nueva terapia puede aportar al sistema con el objetivo de priorizar y ser más sostenibles. El 91,6% con-

sidera que el establecimiento de biomarcadores que definan el aporte de valor de una nueva terapia avanzada y, por lo tanto, su prioridad de financiación nacional, podrían ayudar a mejorar la sostenibilidad del sistema.

2. La necesidad de definir nuevos modelos estandarizados y aprobados por el SNS para la financiación de terapias innovadoras.
3. Disminuir la inequidad en el potencial y poder financiador de las terapias avanzadas entre CCAA e, incluso, centros hospitalarios.
4. Agilizar el proceso de financiación y entrada al mercado de las nuevas terapias.

Como una de las principales iniciativas desarrolladas a nivel nacional con el objetivo de ayudar en la financiación de las terapias avanzadas, destaca la creación de la **Sociedad Mercantil** de terapias avanzadas, un nuevo proyecto de colaboración público-privada dedicado a desarrollar y comercializar medicamentos, terapias y tecnologías avanzadas, innovadoras o emergentes en el ámbito sanitario, provenientes de los resultados de grupos de investigación españoles, punteros en sus áreas.

El 83,3% considera que la creación de nuevas organizaciones como la Sociedad Mercantil de terapias avanzadas o el Consorcio CERTERA ofrece oportunidades para agilizar la financiación de las terapias avanzadas en España, aunque el 50% no lo visualiza a corto plazo.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

Siguiendo con el enfoque público-privado, también debe destacarse la creación del **Consorcio CERTERA**, a través del Instituto de Salud Carlos III (ISCIII), una infraestructura científico-técnica en red que cuenta con 43 entidades en 14 CCAA y que está orientada al desarrollo de medicamentos de terapias avanzadas. CERTERA busca facilitar el acceso a terapias avanzadas para los ciudadanos españoles, impulsando la investigación y desarrollo en este campo. Además, pretende establecer alianzas estratégicas con el sector industrial y crear un ecosistema de innovación en terapias avanzadas.

Estos dos nuevos organismos nacen con el objetivo de hacer frente a los principales retos de la financiación de las terapias avanzadas, que son:

1. La incertidumbre clínico-financiera.
2. La dificultad en la evaluación del coste-efectividad.
3. La falta de medios y herramientas que agilicen la evaluación.

Ámbito clínico, acceso y recursos

El 75,1% de los expertos consideran que es altamente necesario desarrollar procedimientos específicos establecidos y criterios claros para mejorar el acceso a las terapias avanzadas.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

Las terapias avanzadas están teniendo un impacto significativo en la práctica clínica real dentro del Sistema Nacional de Salud, ofreciendo nuevas opciones terapéuticas para enfermedades que antes carecían de tratamientos eficaces.

Algunos de los **campos terapéuticos con mayor impacto** en este tipo de terapias son:

- **Oncología:** las terapias avanzadas han mostrado un impacto significativo en el tratamiento del cáncer. Destacan las terapias CAR-T, que utilizan células del sistema inmunitario modificadas genéticamente para combatir células tumorales. Estas terapias se aplican principalmente en el tratamiento de cánceres hematológicos, como la leucemia linfoblástica aguda de células B (LLA-B).
- **Enfermedades Hematológicas:** además de su uso en oncohematología, las terapias avanzadas se emplean en otras patologías para la regeneración de tejidos y el tratamiento de diversas enfermedades. España es un referente en ensayos clínicos relacionados con terapias avanzadas para enfermedades hematológicas.
- **Enfermedades Neurodegenerativas:** las terapias avanzadas ofrecen nuevas perspectivas para el tratamiento de enfermedades neurológicas complejas. Se están desarrollando aplicaciones para enfermedades como el Alzheimer, el Parkinson y la Esclerosis Lateral Amiotrófica (ELA). Estas terapias buscan restaurar o mejorar las funciones neurológicas alteradas.
- **Enfermedades Cardiovasculares:** se están investigando tratamientos para condiciones como el ictus y la isquemia con el objetivo de regenerar los tejidos cardíacos dañados y mejorar la función cardiovascular.
- **Enfermedades Raras:** las terapias avanzadas ofrecen esperanza para muchas enfermedades raras. Se están desarrollando tratamientos para algunas de las más de 7.000 enfermedades raras conocidas. Estas terapias pueden proporcionar opciones terapéuticas para condiciones que anteriormente carecían de tratamientos efectivos.
- **Medicina Regenerativa:** la regeneración de tejidos es un área importante de aplicación. Se emplean terapias celulares para la regeneración de diversos tejidos y órganos. Estas terapias tienen potencial en áreas como la ortopedia y la reparación de lesiones.

Sin embargo, la potencial inequidad en el acceso a terapias avanzadas en España es un problema creciente que afecta de manera desigual a los pacientes dependiendo de su comunidad autónoma de residencia. Esta situación genera importantes disparidades en la atención sanitaria y las oportunidades de tratamiento entre los diferentes territorios españoles.

El 91,7% de los participantes consideran que el SNS, tal y como lo conocemos en la actualidad, NO se encuentra preparado (el 50% afirma que solo en algunos centros) para asegurar el acceso ágil y homogéneo a estas terapias en todas las comunidades autónomas.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

Los cinco motivos principales que los expertos señalan como causantes de esta potencial inequidad son:

1. Falta de un sistema de información unificado y transparente sobre la disponibilidad y acceso a estas terapias.
2. Disparidades presupuestarias y de inversión en innovación sanitaria entre territorios.
3. Falta de coordinación efectiva a nivel nacional.
4. Diferencias en los procesos de evaluación y aprobación entre CCAA.
5. Burocracia existente durante el proceso.

Con el objetivo de hacer frente a esta situación, optimizar la implementación y el acceso a estas nuevas terapias avanzadas, es necesario introducir nuevos agentes clave en el proceso, como:

1. Gestores sanitarios.
2. Profesionales asistenciales.
3. Administraciones sanitarias (centrales y autonómicas).
4. Industria farmacéutica.

El 91,6% afirma que la colaboración público-privada es un elemento imprescindible para la adopción y aceleración de las terapias avanzadas en España.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

Según el grupo de trabajo, la colaboración con la industria farmacéutica desde las etapas iniciales es un factor determinante para acelerar el proceso de adopción de las terapias avanzadas. En este sentido, consideran que el sector privado desempeña un papel fundamental para:

- Impulsar la innovación terapéutica.
- Apoyar a la investigación y fabricación hospitalaria.
- Facilitar nuevos modelos de financiación.
- Ayudar en la estandarización de procesos administrativos en los centros hospitalarios.
- Optimizar los flujos asociados al proceso asistencial.
- Hacer más efectiva la evaluación de las terapias avanzadas.

Investigación y desarrollo

España se ha posicionado como uno de los países referentes en terapias avanzadas, destacando tanto por su nivel científico como por el número de ensayos clínicos realizados.

El 58,4% de los expertos consideran que España es un país líder en investigación de terapias avanzadas.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

La industria biotecnológica española está presente en toda la cadena de valor del desarrollo y fabricación de terapias avanzadas. Se han identificado 47 entidades ligadas a **AseBio** (35 empresas biotecnológicas y 12 del sector académico) y 10 plantas industriales (concentradas principalmente en País Vasco, Madrid, Navarra y Andalucía) que trabajan en este campo, con la siguiente distribución:

- El 85% desarrolla terapia celular.
- El 60% trabaja en terapia génica.
- El 49% se enfoca en terapia tisular.

Además, las áreas terapéuticas en las que se enfocan estas empresas son las **enfermedades oncológicas, cardiovasculares, autoinmunes o musculoesqueléticas**, entre otras.

En estos últimos años, la biotecnología ha protagonizado un gran esfuerzo en I+D en terapias avanzadas en el mundo. Entre 2014 y 2023 en España se completaron o finalizaron 557 ensayos clínicos enfocados en terapia génica o celular. Hoy en día, **hay más de 60 ensayos clínicos activos de terapia génica y más de 500 de terapia celular en España**.

El país se posiciona en el quinto puesto en cuanto al número de publicaciones científicas en el ámbito de la terapia celular respecto al PIB, por delante de países como Corea del Sur, Reino Unido o Italia, y lidera el número de ensayos clínicos en el mundo. Sin embargo, la mayoría de ellos se encuentran en estadios muy iniciales.

- Entre los principales grupos de investigación diferenciamos:
- Unidad Mixta de Terapias Avanzadas (FJD-CIEMAT).
- Red Española de Terapias Avanzadas (TERAV).
- Unidad de Terapias Avanzadas del IIS La Fe.
- Unidad CRIS de Investigación Traslacional y Terapias Avanzadas.
- BioCat.
- LivingCells.

A pesar de que España se encuentra a la vanguardia del desarrollo de terapias avanzadas, no está exenta de la problemática que acarrea su fabricación.

5 de cada 10 expertos afirman que existe ineficacia en la capacidad de trasladar los resultados de investigación, aunque el 41,7% afirma que esta capacidad dependerá del centro.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

La **necesidad de optimización del proceso de producción** de este tipo de tratamientos es una de las claves que, según todos los expertos, nuestro país debe solucionar si quiere seguir siendo líder del sector.

En esta línea, los principales obstáculos del desarrollo académico de terapias son:

1. Dificultades para obtener recursos y financiación.
2. Falta de capacitación profesional.
3. Inequidad entre centros sobre los recursos disponibles.

Asimismo, según los expertos participantes, las principales causas que provocan esta desigualdad en la capacidad de traslación entre los distintos centros son:

1. Dificultades para obtener recursos técnicos y financiación.
2. Necesidad de capacitación profesional.
3. Necesidad de coordinación entre agentes clave.
4. Heterogeneidad en los recursos disponibles.

Tecnología e innovación

La biotecnología ha revolucionado la medicina moderna y, en el mercado español, su aplicación en terapias avanzadas está marcando una diferencia significativa.

El 75% del grupo experto afirma que la tecnología puede ser uno de los drivers de cambio en el paradigma de las terapias avanzadas en España.

Fuente: propia. Encuesta de estado de situación.

Según la visión de los profesionales participantes, los ámbitos donde la tecnología podría ser de mayor ayuda en relación con las terapias avanzadas son:

1. El área de investigación.
2. A nivel clínico y asistencial.
3. En la evaluación de terapias.
4. A nivel burocrático y legislativo.
5. En la gestión y protección de datos clínicos y sistemas de información.

A nivel regional

A pesar de que las terapias avanzadas son ya una realidad en el SNS, las diferentes comunidades autónomas han asumido un papel proactivo en el desarrollo e implementación de estas terapias innovadoras.

En los últimos años, hemos sido testigos de un creciente interés y compromiso por parte de las administraciones regionales para impulsar la investigación, producción y aplicación de medicamentos de terapias avanzadas. Las comunidades autónomas están sentando las bases para convertirse en referentes en este campo emergente, mediante la creación de consejos asesores especializados o con la inversión en infraestructuras de vanguardia.

A continuación, se analizan los avances más relevantes en el ámbito de las terapias avanzadas en las distintas regiones de España, con especial énfasis en las iniciativas pioneras, los logros alcanzados y las estrategias implementadas. Se examina cómo cada comunidad autónoma está abordando los desafíos específicos que plantea la

integración de estas terapias, desde el desarrollo de unidades de producción hasta su participación en ensayos clínicos innovadores.

Este análisis permitirá visualizar un panorama heterogéneo pero alineado en un objetivo común: optimizar la calidad de vida de los pacientes mediante la innovación biomédica y la excelencia en la prestación de servicios sanitarios.

CCAA	Estrategias de terapias avanzadas	Organismos/comités destacados	Iniciativas destacadas
Andalucía	<ul style="list-style-type: none"> • En el contexto de la Iniciativa Andaluza de Terapias Avanzadas (IATA), Andalucía dio a luz dos estrategias de terapias avanzadas, una en 2010 y una actualización de esta entre los años 2018-2022. • 'Plan de Medicina Personalizada y de Precisión 2023-2027'. 	<ul style="list-style-type: none"> • Iniciativa Andaluza en Terapias Avanzadas (IATA). • Red Andaluza para el Diseño y Traducción de Terapias Avanzadas. • Red de laboratorios GMP y unidad de procesamiento. En total 10 laboratorios ubicados en las provincias de Córdoba, Granada, Málaga y Sevilla para la fabricación de terapias avanzadas. 	<ul style="list-style-type: none"> • Los centros designados para terapias CAR-T en Andalucía son: Hospital Universitario Virgen del Rocío (Sevilla), Hospital Regional Universitario de Málaga y Hospital Universitario Reina Sofía (Córdoba).
Cantabria	<ul style="list-style-type: none"> • Estrategia de Gobernanza del Sistema de Terapias Avanzadas de Cantabria (TerAVal) 2023-2027. 	<ul style="list-style-type: none"> • Sistema de Terapias Avanzadas (TerAVal): Para la atención a pacientes y para investigación y producción de medicamentos. Desde Mayo 2023. • Consejo Asesor de Terapias Avanzadas- Consejería de Sanidad. Es un órgano de consulta, asesoramiento y planificación del desarrollo de estrategias y de planes operativos. 	<ul style="list-style-type: none"> • Hospital Universitario Marqués de Valdecilla, centro designado para terapias CAR-T.
Castilla y León	<ul style="list-style-type: none"> • A pesar de que la Comunidad aún no cuenta con una estrategia de terapias avanzadas, en 2024, la Consejería de Sanidad anunció que está trabajando en la creación de una Estrategia de I+i en terapias avanzadas. 	<ul style="list-style-type: none"> • Centro en Red de Medicina regenerativa y Terapia celular de Castilla y León, creado en 2012 y encargado de investigar la potencial capacidad terapéutica de las células madre adultas. 	<ul style="list-style-type: none"> • El Complejo Asistencial Universitario de Salamanca ha sido designado como centro de referencia para la utilización de medicamentos CAR-T.

CCAA	Estrategias de terapias avanzadas	Organismos/comités destacados	Iniciativas destacadas	CCAA	Estrategias de terapias avanzadas	Organismos/comités destacados	Iniciativas destacadas
Cataluña	<ul style="list-style-type: none"> • La Red de Terapias Avanzadas de Cataluña, coordinada por BioCat, tiene como objetivo impulsar la investigación, la fabricación y el desarrollo de terapias avanzadas, con el fin de hacerlas accesibles a la ciudadanía de una forma ágil, eficiente y sostenible. • Programa de terapias avanzadas y emergentes en salud de Cataluña. Coordinado por el Banc de Sang i Teixits, tiene el objetivo de incrementar la disponibilidad de los tratamientos, aumentar la equidad y reducir los costes de los mismos. 	<ul style="list-style-type: none"> • Hospital Sant Joan de Déu Barcelona: ha puesto en marcha una nueva Plataforma de Terapias Avanzadas para desarrollar y producir terapias avanzadas para pacientes pediátricos. • Hospital Parc Taulí de Sabadell: cuenta con una Plataforma de Terapias Médicas Avanzadas y forma parte de la Red de Terapias Avanzadas de Cataluña. • Hospital de la Santa Creu i Sant Pau: está construyendo una nueva Unidad de Terapias Avanzadas para aumentar la fabricación de medicamentos biológicos personalizados. • Institut Germans Trias i Pujol (IGTP): se ha adhesrido a la Red de Terapias Avanzadas de Cataluña para impulsar su investigación y desarrollo. • Hospital Clínic de Barcelona: centro pionero en la producción de terapias CAR-T en España. • Hospital Vall d'Hebron: cuenta con la Unidad de Terapias Avanzadas en Hematología (UTAH). Es pionero en ensayos clínicos y en el desarrollo propio de TILs, CAR-Ts y otros académicos (VHIO). • Banc de Sang i Teixits. Coordinador del Programa de TA y emergentes de Catalunya, miembro de TERAV y centro productor de TA. • Hospital Universitari de Bellvitge. Líder en investigación en TA. • Hospital del Mar. Referente en investigación en TA, a través de su instituto de investigación. 	<ul style="list-style-type: none"> • Cataluña se sitúa en la 5ª posición en Europa y 8ª a nivel mundial en número de ensayos clínicos de terapias avanzadas. • Lidera el ranking estatal en publicaciones científicas relacionadas con terapias avanzadas, con 2.195 publicaciones (38% del total nacional). • Ha recibido el 64% de la financiación total de la convocatoria CERTERA a nivel nacional. • Proyecto PRECISEU. Un macroproyecto europeo liderado por Biocat para impulsar la medicina personalizada y las terapias avanzadas en Europa, con una financiación de casi 23 millones de euros. • FICAT (Functional Integration of Customized Advanced Therapeutics). Un proyecto innovador en el campo de las terapias avanzadas liderado por Integra Therapeutics, una empresa biotecnológica derivada de la Universidad Pompeu Fabra (UPF). • Centros designados para la administración de terapias CAR-T: Hospital Clínic de Barcelona, Hospital de la Santa Creu i Sant Pau, Hospital Vall d'Hebron, ICO Hospital Duran i Reynals, ICO Hospital Germans Trias i Pujol, Hospital Sant Joan de Déu. 	Comunidad Valenciana		<ul style="list-style-type: none"> • Unidad de Terapias Avanzadas del Instituto de Investigación Sanitaria La Fe. Forma parte de la red CERTERA. • Oficina Autonómica de Medicina Predictiva, Personalizada y Terapias Avanzadas de la Comunitat Valenciana. Creada recientemente por la Conselleria de Sanitat, esta oficina tiene como objetivo elaborar, implementar y evaluar el Plan valenciano de medicina predictiva, personalizada y terapias avanzadas. • Servicio de Optimización Terapéutica, Medicamentos Innovadores y Terapias Avanzadas de la Conselleria de Sanitat. 	<ul style="list-style-type: none"> • El Hospital Universitario y Politécnico La Fe y el Hospital Clínico Universitario de Valencia están designados como centros autorizados de referencia para el uso de terapias CAR-T.
				Madrid	<ul style="list-style-type: none"> • Estrategia Regional de Terapias Avanzadas en 2018. • En 2022, creó el Plan de Terapias Avanzadas 2022-2024. • Ruta asistencial Terapias CAR-T. 	<ul style="list-style-type: none"> • Comité Director de la Estrategia Regional de Terapias Avanzadas. • Red de Terapias Avanzadas de la Comunidad de Madrid. • División de la Unidad de Terapias Avanzadas de la Dirección General de Investigación, Docencia y Documentación. • Establecimiento de 8 unidades de comités: instalaciones hospitalarias del Servicio Madrileño de Salud (SERMAS: Hospital General Universitario Gregorio Marañón, Hospital Infantil Universitario Niño Jesús, Hospital Universitario 12 de Octubre, Hospital Universitario La Paz, Hospital Universitario Ramón y Cajal, Hospital Universitario La Princesa, Hospital Universitario Puerta de Hierro, Hospital Universitario Puerta de Hierro). 	<ul style="list-style-type: none"> • Designación de 7 centros hospitalarios para la administración de terapias CAR-T: Gregorio Marañón, 12 de Octubre, Ramón y Cajal, Puerta de Hierro- Majadahonda, La Princesa y La Paz para adultos; Niño Jesús y La Paz para pacientes pediátricos. • Desarrollo y autorización del medicamento NC-1 en el Hospital Puerta de Hierro-Majadahonda, siendo el primer fármaco de terapia avanzada de origen académico autorizado en España.

CCAA	Estrategias de terapias avanzadas	Organismos/comités destacados	Iniciativas destacadas
País Vasco		<ul style="list-style-type: none"> Basque Advanced Therapies. Se lanzó esta iniciativa que moviliza toda la cadena de valor del sistema vasco de salud, incluyendo cuatro grandes grupos empresariales, 18 pymes y seis centros tecnológicos, con el objetivo de convertirse en un referente en terapias avanzadas. El Grupo de Pilotaje de Salud Personalizada. Es un componente clave de la estrategia de especialización inteligente RIS3 en el País Vasco, específicamente enfocado en el ámbito de las terapias avanzadas, medicina personalizada, tecnología y salud mental. La unidad de Producción de Terapias Avanzadas (UPTA) del Instituto Biobizkaia. Forma parte del Consorcio CERTERA. 	<ul style="list-style-type: none"> Proyecto Gipuzkoa Advanced New Therapies Territory (GANTT). Programa con el objetivo de consolidar a Gipuzkoa como una referencia mundial en el desarrollo de las terapias celulares, génicas y de ARN con una orientación industrial. El Hospital Universitario de Donostia es el único centro autorizado para la aplicación de terapias CAR-T.
Región de Murcia	<ul style="list-style-type: none"> En la actualidad, el territorio se encuentra elaborando una Estrategia Regional en Terapias Avanzadas. 	<ul style="list-style-type: none"> Comité Multidisciplinar de Terapias Avanzadas del Hospital Clínico Universitario Virgen de Arrixaca. Comité Multidisciplinar de Terapias Avanzadas del Hospital General Universitario Morales Meseguer. Unidad de producción celular en el Hospital Clínico Universitario Virgen de Arrixaca. 	<ul style="list-style-type: none"> Dos centros designados para administración de terapias CAR-T: Hospital Clínico Universitario Virgen de Arrixaca (adultos, pediatría y ARI) y Hospital General Universitario Morales Meseguer (adultos). Curso “Advanced Therapies: scientific basis and clinical uses”. Universidad de Murcia, Red Española de Terapias Avanzadas y SEHH”.

En los últimos doce años, la Agencia Europea de Medicamentos ha aprobado ocho medicamentos de terapias avanzadas, reflejando el progreso constante en este campo. Estos avances no solo han permitido curar enfermedades con alta morbilidad, sino que también han conseguido convertir en crónicas algunas patologías que antes eran mortales. Además, han permitido mejorar significativamente las tasas de supervivencia en diversos tipos de cáncer.

A pesar de los desafíos que enfrentan estas terapias, como los altos costes de desarrollo y producción, así como la complejidad de su fabricación personalizada, el futuro se vislumbra prometedor. La tendencia apunta hacia la combinación de terapia génica y terapia celular, buscando sinergias para desarrollar tratamientos aún más efectivos y seguros.

En este capítulo, se explorarán los avances más significativos, los hitos alcanzados y las mejores prácticas implementadas en el campo de las terapias avanzadas en Europa. Además, se examinarán los desafíos y oportunidades que se presentan en el horizonte de la medicina personalizada.

A nivel regulatorio, con objeto de establecer un marco común para la regulación y comercialización de los medicamentos de terapia avanzada, en 2007 se introdujo el Reglamento (CE) nº 1394/2007 del Parlamento Europeo y del Consejo sobre medicamentos de terapia avanzada, creando también el Comité de Terapias Avanzadas.

Este reglamento establece normas para la autorización, supervisión y vigilancia de las terapias avanzadas, con el objetivo de garantizar la seguridad y disponibilidad de los nuevos medicamentos basados en terapia génica, somática e ingeniería tisular. Además, faculta a la Agencia Europea del Medicamento para emitir recomendaciones

científicas sobre un producto determinado, y establece un instrumento de certificación a nivel de calidad para las pequeñas y medianas empresas que participan en el desarrollo preclínico para facilitar la transferencia de investigación.

Posteriormente, este reglamento se actualizó en 2014 mediante un informe de la comisión al Parlamento Europeo y al consejo de conformidad con el artículo 25 del Reglamento (CE) n.º 1394/2007 del Parlamento Europeo y del Consejo sobre medicamentos de terapia avanzada y por el que se modifican la Directiva 2001/83/CE y el Reglamento (CE) n.º 726/2004. Dicho informe hace un balance de la situación de las terapias avanzadas en la Unión Europea.

De forma adicional, la EMA creó la designación PRIME (PRIority MEdicines) para favorecer una vía acelerada en el desarrollo de terapias avanzadas para pacientes con necesidades médicas no cubiertas, garantizando el acceso rápido a estas.

Además, la EMA ofrece apoyo específico para el desarrollo de terapias avanzadas mediante:

- Soporte sobre los criterios de clasificación y proceso de solicitudes.
- Información de guías clave relacionadas con terapias avanzadas.
- Guías de buenas prácticas clínicas (GCP).
- Guías específicas de buenas prácticas en la fabricación (GMP).
- Guía de buenas prácticas en laboratorio (GLP).
- Guías de información y apoyo en los procedimientos de autorización de comer-

A nivel europeo

En Europa, el desarrollo y la implementación de estas terapias innovadoras han experimentado un crecimiento significativo en los últimos años, marcando hitos importantes en la atención médica y la investigación biomédica.

La Unión Europea ha establecido un marco regulatorio sólido para garantizar la seguridad y eficacia de estos tratamientos innovadores, creando el Comité de Terapias Avanzadas dentro de la Agencia Europea de Medicamentos.

cialización, para facilitar la comprensión del proceso de evaluación de terapias avanzadas en la Unión Europea.

- Guías de farmacovigilancia específicas para terapias avanzadas tras su autorización.
- Documentos de resolución de dudas, como los publicados en conjunto con el Comité de Terapias Avanzadas de la EMA y el Biologic Working Party.
- Incentivos. La legislación de la EMA presenta incentivos para fomentar la investigación y desarrollo en terapias avanzadas: por ejemplo, se contempla un 65% (90% en caso de PYMES) de reducción de tasas en las solicitudes de asesoramiento científico, y reducciones del 90% en las tasas del proceso de certificación.

En relación con la investigación y desarrollo de ensayos clínicos, encontramos que desde enero de 2014 (y hasta 2019) se iniciaron más de 323 ensayos clínicos de terapias avanzadas en Europa. En ese periodo los principales países que iniciaron ensayos clínicos fueron UK (112), España (102), Francia (101), Alemania (83) e Italia (66).

Actualmente (hasta Julio de 2024) encontramos que en Europa están en marcha 341 ensayos clínicos, de los cuales 172 fueron ensayos de terapia génica, 69 de terapia celular y 2 de ingeniería tisular.

En relación con el proceso de aprobación del ensayo, la mayoría son aprobados entre 6 y 12 meses, tiempo muy variable en función del país y su regulación.

De forma global, la mayoría de las moléculas investigadas no llegan a la fase de investigación clínica, y se estima que menos de la cuarta parte del ensayo clínico obtiene autorización de comercialización. Además, existen dificultades añadidas debido a aspectos de financiación y a los requerimientos específicos en el caso de las terapias avanzadas. Debemos tener en cuenta también que la investigación en terapias avanzadas está realizada mayoritariamente por entidades del mundo académico o PYMES, que disponen de recursos más limitados y en ocasiones pueden estar menos familiarizadas con el marco reglamentario que regula la autorización y comercialización de MTA.

Tras la entrada en vigor del reglamento sobre terapias avanzadas en la UE, se faculta a los estados para autorizar el uso -sin necesidad de autorización de comercialización de terapias avanzadas a medida- con la condición de que el medicamento sea utilizado para un solo paciente, en un centro hospitalario y bajo la responsabilidad profesional de un médico.

Las variaciones regulatorias dan como resultado un entorno menos competitivo y atractivo para la realización de ensayos clínicos multicéntricos. Por ello sería importante disponer de un marco reglamentario adaptado que garantice la seguridad y contribuya al desarrollo y autorización de nuevas terapias.

La exención hospitalaria facilita la investigación en el ámbito académico y hospitalario, y proporciona información para una futura autorización de comercialización.

En este contexto, en 2023 se firmó un posicionamiento conjunto desde la Efpia (la Federación Europea de la Industria Farmacéutica) con la Alianza para la Medicina Regenerativa (ARM), el grupo de la industria biotecnológica EuropaBio, la Confedera-

ción Europea de Empresarios Farmacéuticos (Eurocope) y la Sociedad Internacional de Terapias Celulares y Genéticas (ISCT). Este posicionamiento trata aspectos como la homogeneización y los requisitos específicos asociados a la exención hospitalaria para garantizar la seguridad y calidad de los medicamentos utilizados.

Algunos de los comités existentes a nivel europeo son:

- **Comité de Terapias Avanzadas (CTA).** Forma parte de la Agencia Europea del Medicamento (EMA). Desde 2009 es el encargado de emitir dictámenes sobre la calidad, seguridad y eficacia de los MTA (Medicamento de Terapias Avanzadas), de los cuales el Comité de Medicamentos de Uso Humano basará la autorización. El Comité de Terapias Avanzadas de la EMA reconoce la necesidad de desarrollar directrices regulatorias que cubran la calidad, seguridad y eficacia que sean relevantes para los medicamentos.
- **Innovation Task Force (ITF).** Herramienta que proporciona un foro para el diálogo temprano sobre el desarrollo de fármacos innovadores con la EMA. Está dirigido a todo tipo de promotores (investigadores académicos, PYME, industria farmacéutica, etc.). Abarca cuestiones reglamentarias, técnicas y científicas, permitiendo el intercambio informal de información y orientación en el proceso de desarrollo de fármacos (es complementario a los procedimientos formales requeridos por la EMA). Las terapias avanzadas son una de las principales áreas en las que ofrecen mayor apoyo.
- **Alliance for Regenerative Medicine.** Organización internacional de la defensa de los beneficios para terapias avanzadas. Facilita intercambios sobre prácticas, proporcionando datos y análisis, e involucrando diferentes actores para el desarrollo de terapias avanzadas.

Alemania

En Alemania, los principales centros con actividad en terapias avanzadas son:

- **Centro IOZK (Immun-Onkologisches Zentrum Köln).** Se posiciona como un centro especializado en inmunoterapia contra el cáncer, ofreciendo tratamientos personalizados y alternativos basados en la activación del sistema inmune del paciente, con un enfoque en la investigación continua y la aplicación de terapias avanzadas.
- **Hospital Universitario de Tübingen.** Se destaca como un centro importante en investigación y terapias con células madre en Alemania.
- **Proyecto ‘Captain T Cell’.** Un innovador proyecto, surgido del Centro Max Delbrück de Medicina Molecular, que apuesta por células inmunológicas extremadamente activas, las llamadas “células T”. Estas se obtienen de la sangre de los pacientes y se les agrega, en un laboratorio, una molécula artificial. En el cuerpo, las células T detectan células tumorales y las destruyen. Poniendo el foco en una forma de leucemia particularmente agresiva, Captain T Cell desarrolló una plataforma tecnológica con la que pueden optimizar células T. El equipo de investigadores es uno de los ganadores del concurso GO-Bio 2018, del Ministerio Federal de Educación e Investigación de Alemania.

- **BioNtech.** Una empresa que desarrolla medicamentos contra el cáncer, a medida, para cada paciente a través de nuevas técnicas de digitalización y automatización que hacen posible producir medicamentos personalizados en cantidades suficientes para estudios clínicos.
- **Instituto Leibniz de Investigación y Tecnología del Plasma (INP).** Un “lápiz de plasma” desarrollado en el INP, empleado para el tratamiento de heridas en pacientes de cáncer. A través de una pequeña llama, a 40 grados de temperatura, se transfieren moléculas al paciente y se destruyen los gérmenes activos.
- **Fundación Alemana de Investigación (DFG).** Centro transnacional que crea un entorno para favorecer infraestructuras y centros transnacionales.

Francia

Aunque Francia es uno de los países más avanzados de Europa y del mundo en terapias génicas, la falta de financiación y la fragilidad económica del sector frenan el desarrollo de estos tratamientos innovadores.

Este país cuenta con un marco regulatorio favorable para el desarrollo de terapias avanzadas. La **Agencia Nacional de Seguridad del Medicamento y de los Productos Sanitarios (ANSM)** es la encargada de evaluar y autorizar estos tratamientos.

El gobierno francés ha identificado las terapias avanzadas como una área estratégica y ha implementado diversas iniciativas para impulsar su desarrollo:

- Creación de centros especializados en terapias celulares y génicas.
- Financiación de proyectos de investigación a través de programas nacionales.
- Colaboración público-privada para acelerar la traslación clínica.

Entre algunos hitos, principalmente en investigación y desarrollo de terapias avanzadas, destacamos:

- **Alianza entre Sensorion**, empresa biotecnológica, y el Instituto Pasteur. Esta asociación concede a Sensorion una opción de licencia exclusiva para desarrollar y comercializar candidatos a fármacos de terapia génica procedentes de proyectos de colaboración para abordar necesidades no cubiertas en audición. Actualmente se están llevando a cabo dos programas de desarrollo en este marco, a saber, SENS-501 (OTOF-GT) y GJB2-GT.
- **Inserm** es la institución nacional francesa de salud e investigación médica. Con sede en París, es el organismo académico de investigación biomédica líder de Europa con 350 centros ubicados en Francia y en el extranjero. Estudios recientes han mostrado resultados prometedores en el tratamiento de enfermedades raras como la distrofia muscular de Duchenne y la fibrosis quística. Estas terapias se centran en corregir los defectos genéticos subyacentes, ofreciendo esperanza a los pacientes y sus familias.
- **Genopole** es un recinto empresarial y un campus científico para las biotecnologías, situado al sur de París, en Evry Courcouronnes. Genopole es el principal recinto de genómica, con empresas que desarrollan terapias celulares y genéti-

cas, soluciones de diagnóstico, tecnología alimentaria y mucho más. Actualmente alberga 65 empresas y 16 laboratorios académicos *in situ*.

- **Paris Saclay Cancer Cluster (PSCC).** Fue uno de los primeros proyectos apoyados por Francia 2030; su objetivo es respaldar la innovación en oncología haciendo más predictiva, precisa y eficaz. Al reunir todas estas capacidades en una única ubicación, el PSCC crea un ecosistema centrado en el paciente para establecer un centro de primer nivel en el campo de la oncología.
- **Medicen** reúne a organizaciones públicas y privadas relacionadas con la innovación para desarrollar la solución terapéutica del futuro. Actúa como catalizador de todo el ecosistema y cuenta con más de 500 miembros, incluidas 430 empresas emergentes.
- **Gustave-Roussy Institute:** terapias innovadoras en oncología, medicina molecular, inmunoterapia, reparación del ADN y cánceres poco comunes.
- **Biotherapies institute (campus Genopole):** bioterapias para enfermedades genéticas poco comunes, enfermedades neuromusculares, sistema inmunitario, trastornos sanguíneos, miología y células madre humanas pluripotentes.
- **Mearly Center:** bioproducción, medicamentos de terapia avanzada, terapia genética y celular e ingeniería de los tejidos.
- **Imagine Institute para enfermedades genéticas:** inmunología, autoinmunidad, hematología, riñón, huesos, metabolismo, discapacidad intelectual, dermatología, gastroenterología, oftalmología y enfermedades infecciosas.

Italia

En Italia destaca:

- **Fondazione Telethon.** Una organización sin ánimo de lucro que financia y desarrolla investigaciones en terapia génica y celular para enfermedades genéticas raras.
- **Hospital de Investigación San Raffaele,** centro médico multidisciplinar altamente especializado, que úna tratamiento, investigación clínica y enseñanza. El hospital está reconocido como Instituto Científico de Investigación y Asistencia Sanitaria (IRCCS) por su investigación en medicina molecular y la aplicación de tratamientos innovadores, como la terapia génica.
- **Holostem Terapie Avanzate.** Una empresa *spin-off* de la Universidad de Módena y Reggio Emilia, centrada en el desarrollo de terapias basadas en células madre para enfermedades raras.
- **Proyecto Dante Citizen Test,** desarrollado en Italia a través de la empresa Dante Labs. El objetivo de este es introducir la secuenciación clínica del genoma completo, a través de la prueba CE-IVD, con informes clínicos en la atención médica estándar de los hospitales y el sistema de salud del país. Este es el primer paso para introducir la secuenciación del genoma completo en el sistema de salud nacional de un país europeo y del G7. La prueba aprovechará el software Extensa (propiedad de Dante) para la elaboración de informes, la interpretación y el análisis de datos médicos y del genoma completo.

Reino Unido

En 2024, el Reino Unido anunciaba una inversión histórica de hasta 464 millones de euros, destinada a fortalecer el sector de las ciencias de la vida y la investigación médica, con el objetivo de mejorar el acceso de los pacientes a tratamientos innovadores y acelerar los ensayos clínicos.

Este proyecto, que representa la mayor colaboración público-privada de su tipo en el mundo, tiene como **objetivo no solo fomentar la innovación médica, sino también impulsar el crecimiento económico a través de la investigación en salud y el desarrollo de nuevas tecnologías**. Los fondos estarán dirigidos a crear 18 nuevos Centros de Investigación Comercial (CRDC, por sus siglas en inglés), a mejorar la fabricación sostenible de medicamentos y modernizar los métodos de evaluación de nuevas tecnologías sanitarias, contribuyendo así a la competitividad global del Reino Unido.

El 5% restante de la inversión, equivalente a unos 23 millones de euros, se utilizará para mejorar los métodos de evaluación de tecnologías sanitarias, facilitando el acceso a medicamentos innovadores. Este tipo de evaluaciones, que analizan la relación coste-eficacia de los nuevos tratamientos, son fundamentales para asegurar que los pacientes reciban las terapias más avanzadas de manera oportuna y rentable. El programa también apoyará el laboratorio de innovación del Instituto Nacional para la Excelencia en la Salud y la Atención (NICE), así como la plataforma UK Pharmascan, que proporcionará información clave sobre nuevos medicamentos en desarrollo.

Entre algunos de los principales organismos podemos destacar:

- **MHRA Medicines Healthcare Products regulatory Agency:** Como agencia reguladora está involucrada en el desarrollo de vías de acceso de introducción de fármacos innovadores.
- **The Cell and Gene Therapy Catapult (CGT Catapult):** es una organización, independiente, de innovación y excelencia en el Reino Unido, dedicada al avance y crecimiento del sector de terapias celulares y génicas. Sus objetivos son:
 - Catalizar y facilitar el crecimiento de la industria de terapias celulares y génicas.
 - Construir un sector líder, mundialmente, en terapias celulares y génicas.
 - Proporcionar experiencia, recursos y tecnología para ayudar a los desarrolladores de terapias celulares a mejorar sus procesos de fabricación.
- **Advanced Therapy Medicinal Products Program:** este programa forma parte de la cartera de servicios especializados y se encarga y prepara al NHS para la incorporación y enfoque nacional de terapias avanzadas. El programa complementa y apoya los programas nacionales ya presentes (National Programmes of Care, Innovative Medicine Fund i Cancer Drugs Fund) proporcionando liderazgo y supervisión en la evaluación e implementación de estas terapias junto con el NICE.

4

Futuro de las Terapias Avanzadas en España

Las terapias avanzadas representan una transformación paradigmática en el campo de la medicina, ofreciendo nuevas oportunidades para el tratamiento de enfermedades previamente consideradas como “incurables” o “de difícil manejo”. No obstante, su desarrollo e implementación en España presentan múltiples desafíos que requieren un abordaje estructurado y multidisciplinar.

En este documento, se presenta un análisis detallado de los principales retos identificados por el grupo de expertos participantes. Tras evaluar los 42 desafíos estratégicos identificados durante la fase de análisis situacional, se priorizaron aquellos que representan las principales barreras para la adopción de las terapias avanzadas en España. Entre estos se incluyen obstáculos regulatorios y económicos, así como limitaciones en infraestructura y en la formación especializada, factores que actualmente limitan el potencial de estas innovaciones dentro del Sistema Nacional de Salud.

Como resultado del proceso de co-creación llevado a cabo por los expertos, se proponen una serie de iniciativas y líneas de acción concretas dirigidas a superar estos desafíos. Estas propuestas, fundamentadas en el conocimiento y la experiencia de los profesionales involucrados, delinean una estrategia clara para facilitar la incorporación efectiva de las terapias avanzadas en el sistema sanitario, garantizando su accesibilidad y sostenibilidad en beneficio de los pacientes en España.

Retos e iniciativas

Mediante el análisis de situación realizado, se definieron un total de 14 retos que representaban el paradigma actual de las terapias avanzadas en España:

1. Adaptar el marco normativo al contexto actual y características propias de las terapias avanzadas.
2. Agilizar los procesos burocráticos.
3. Promover la coordinación y el asesoramiento específico para la evaluación de terapias avanzadas.
4. Optimizar los modelos de evaluación existentes y generar nuevos.
5. Agilizar el proceso de evaluación de terapias avanzadas.
6. Reducir la heterogeneidad e inequidad en el acceso y el poder financiador de las terapias avanzadas entre CCAA.
7. Optimizar el proceso de financiación y entrada al mercado de las nuevas terapias.

8. Garantizar la sostenibilidad en la financiación de las terapias avanzadas en el SNS.
9. Disminuir el tiempo de espera en el acceso del paciente a una terapia avanzada.
10. Estandarizar los protocolos administrativos de la Industria Farmacéutica, vinculados a la incorporación de terapias avanzadas en los hospitales.
11. Optimizar la coordinación entre centros y CCAA.
12. Facilitar la traslación de los resultados de la investigación a la práctica clínica real.
13. Incorporar la innovación tecnológica para el impulso de las terapias avanzadas.
14. Analizar el valor añadido de las terapias avanzadas académicas.

Para su trabajo individual y desarrollo, el grupo de expertos priorizó aquellos **6 retos cuyo abordaje a corto y medio plazo es clave para mejorar el modelo de gestión de las terapias avanzadas en España**. Los retos priorizados fueron:

1. Optimizar los modelos de evaluación existentes y/o generar nuevos modelos de evaluación.
2. Optimizar el proceso de financiación y entrada al mercado de las nuevas terapias.
3. Garantizar la sostenibilidad en la financiación de las terapias avanzadas en el SNS.
4. Adaptar el marco normativo al contexto actual y las características propias de las terapias avanzadas.
5. Agilizar el proceso de evaluación de las terapias avanzadas.
6. Reducir la heterogeneidad e inequidad en el acceso de las terapias avanzadas entre CCAA.

Para cada uno de los 6 retos priorizados, el grupo de trabajo identificó:

- **Acciones específicas** que impulsar para dar respuesta al reto planteado.
- **Aceleradores del proceso**, que se encuentran en el sistema actual y que ayudan a impulsar la transformación.
- **Barreras u obstáculos** que, por el contrario, frenan los procesos.

Reto 1

Optimizar los modelos de evaluación existentes y/o generar nuevos modelos de evaluación

Instituciones como la Federación Europea de la Industria Farmacéutica (Efpi) han señalado la urgente necesidad de replantear los modelos de evaluación, valoración y financiación de las terapias avanzadas. Aunque su llegada es indudablemente positiva para el sistema sanitario y para los pacientes, los costes asociados plantean un dilema a los financiadores públicos. El desarrollo de estas terapias requiere una inversión en I+D comparable a la de los fármacos tradicionales destinados a millones de pacientes, pero su aplicación se limita a un número muy reducido de individuos, a veces solo a unas decenas de personas por país.

Este desequilibrio entre la inversión necesaria y el tamaño del mercado potencial crea una tensión entre la innovación médica y la sostenibilidad financiera de los sistemas de salud. Por lo tanto, es imperativo desarrollar nuevos modelos de evaluación que no solo consideren el costo inmediato, sino también el valor a largo plazo y el impacto social de estas terapias revolucionarias, con el objetivo de identificar el verdadero valor de estas innovaciones terapéuticas.

Entre los aceleradores identificados destacamos:

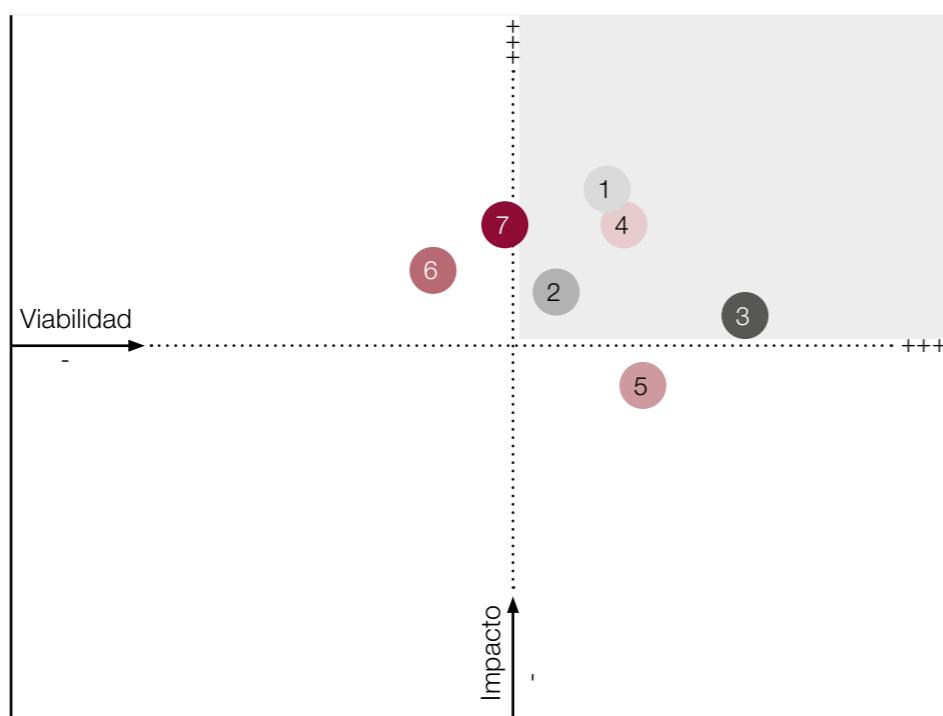
- Impulsar una cultura de información y comunicación.
- El actual potencial de los sistemas de información.
- Las nuevas normativas de privacidad de datos.
- La evaluación clínica conjunta europea (JCA).

En contraposición, las barreras actuales son:

- La baja explotación de las capacidades de los sistemas de información actuales.
- La heterogeneidad en el registro de datos.
- Nuevo real decreto de evaluación de tecnologías sanitarias.
- Los silos de información entre CCAA e, incluso, entre centros.
- La falta de cultura de rendición de cuentas.

Iniciativas

- 1 Creación y/o mejora de las herramientas tecnológicas para facilitar el proceso de evaluación y medición.
- 2 Diseño de nuevas metodologías de evaluación mediante la definición de nuevos criterios de medición adaptados a las terapias avanzadas.
- 3 Colaboración y diálogo temprano con la industria (hospitales y CCAA) para definir de forma prematura los aspectos clave necesarios y que requieren ser medidos desde el ámbito asistencial.
- 4 Definición y estandarización de los criterios de reevaluación, incluyendo factores fundamentales como el impacto social y las alternativas terapéuticas surgidas.
- 5 Inclusión en los protocolos de medición a los pacientes que provienen de ensayos clínicos.
- 6 Difusión y distribución de los datos en salud entre las Comunidades Autónomas (e incluso países) para asegurar su transparencia.
- 7 Profesionalización de la evaluación e incentivo de la orientación hacia la medición de resultados entre todos los profesionales sanitarios del Sistema Nacional de Salud.



Matriz de valoración por impacto y viabilidad de las iniciativas propuestas para el reto 1.

Reto 2

Optimizar el proceso de financiación y entrada al mercado de las nuevas terapias

El proceso de financiación y acceso al mercado de las terapias avanzadas representa un desafío significativo tanto para los sistemas de salud como para la industria farmacéutica. La optimización de este proceso es fundamental para garantizar que estas terapias innovadoras lleguen a los pacientes que las necesitan, al tiempo que se preserva la sostenibilidad financiera del sistema sanitario.

Uno de los enfoques clave para abordar este reto es el desarrollo de modelos de pago adaptativos. Los acuerdos de acceso gestionado, como los esquemas de pago por resultados y los contratos de pago diferido, emergen como estrategias viables para facilitar la introducción de estas terapias en la práctica clínica. Estos modelos innovadores buscan equilibrar la necesidad de incentivar la inversión en investigación y desarrollo con la responsabilidad de optimizar la eficiencia y la sostenibilidad del gasto sanitario.

La evaluación y financiación de los medicamentos de terapia avanzada (ATMP) debe basarse en el valor que aportan, pero con un enfoque flexible que reconozca la variabilidad de este valor en función del contexto de cada país y sistema de salud. Se prevé una adopción creciente de modelos de pago basados en el valor y de acuerdos innovadores en los que la financiación esté condicionada a la generación de evidencia adicional y los pagos se ajusten en función de los resultados clínicos observados en la práctica real.

Los **aceleradores** identificados son:

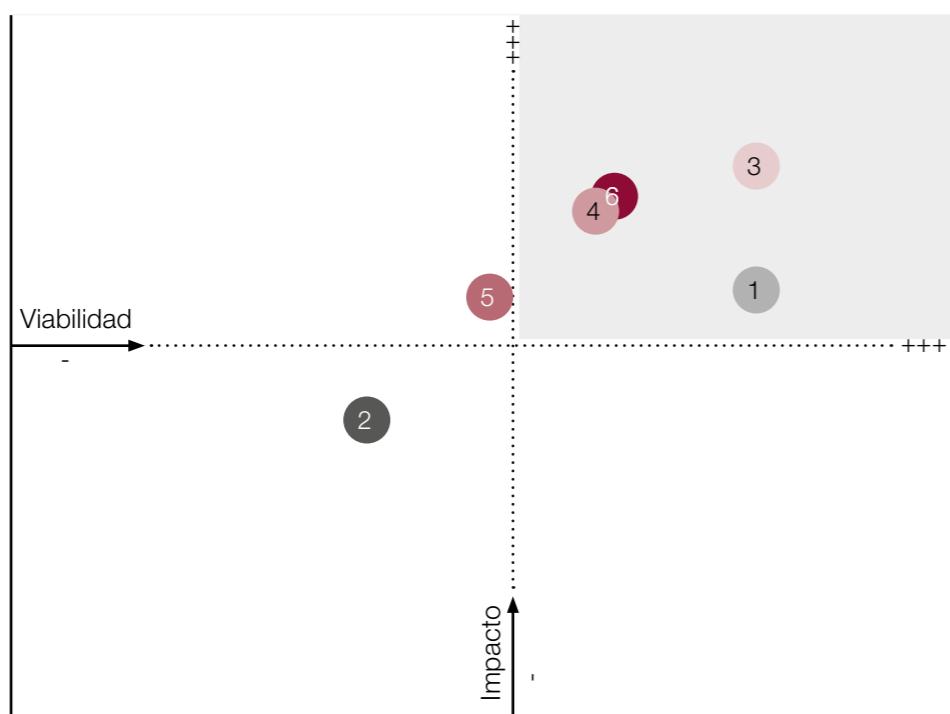
- La participación activa de las CCAA.
- Aumentar la confianza entre la parte asistencial y la industria.
- Asegurar el diálogo temprano con la industria.

Por otro lado, las **barreras** definidas fueron:

- La Ley de Contratos del Sector Público actual.
- La falta de transparencia por parte de la industria en los costes de las terapias.
- La heterogeneidad en la oferta de la industria farmacéutica.

Iniciativas

- 1 Empleo de nuevas metodologías y herramientas de apoyo, como el Horizon Scanning, que nos ayuden en la evaluación de las terapias avanzadas para su futura financiación.
- 2 Definición de umbrales de gasto con el objetivo de ser más previsibles en la financiación.
- 3 Diálogo temprano con la industria para acelerar y facilitar el proceso de financiación desde sus etapas más precoces.
- 4 Mejorar los procesos de reevaluación económica y evaluación dinámica, incluyendo aspectos como la desfinanciación y el reposicionamiento de la terapia.
- 5 Adaptación de la ley de contratos para impulsar nuevos sistemas de pago como el pago a largos plazos.
- 6 Mejorar la medición del coste-efectividad e impacto clínico de una terapia avanzada con el objetivo de que nos permita definir su urgencia de acceso y, en consecuencia, las prioridades de gasto.



Matriz de valoración por impacto y viabilidad de las iniciativas propuestas para el reto 2.

Reto 3

Garantizar la sostenibilidad en la financiación de las terapias avanzadas en el Sistema Nacional de Salud

La incorporación de las terapias avanzadas en la práctica médica ha transformado el abordaje de numerosas enfermedades, proporcionando nuevas opciones terapéuticas a pacientes que previamente carecían de tratamientos eficaces. No obstante, estas innovaciones plantean desafíos significativos para los sistemas de salud, particularmente en términos de sostenibilidad financiera. El elevado costo de desarrollo, la complejidad de los procesos de producción y su aplicación a poblaciones reducidas dificultan la fijación de precios y los modelos de financiación de estas terapias.

La evaluación del valor real de las terapias avanzadas va más allá de los enfoques tradicionales de análisis costo-beneficio. Es necesario adoptar una perspectiva integral que no solo contemple el costo monetario inmediato, sino también el impacto a largo plazo en la calidad de vida de los pacientes y la posible reducción de costos futuros en el sistema de salud. Además, la incertidumbre inherente a estas terapias emergentes exige el desarrollo de nuevos enfoques para la recopilación y el análisis de evidencia clínica, que permita una mejor toma de decisiones.

En este contexto, resulta fundamental el diseño de modelos innovadores de financiación que equilibren el acceso de los pacientes a estas terapias con la sostenibilidad económica del sistema sanitario. Este desafío requiere explorar las complejidades asociadas a la valoración y financiación de las terapias avanzadas, así como las estrategias emergentes que permitan garantizar su accesibilidad sin comprometer la estabilidad financiera del sistema de salud a largo plazo.

Los aceleradores identificados fueron:

- Emplear tecnología con el objetivo de facilitar la recogida y evaluación de datos.
- Potenciar el seguimiento del impacto indirecto (sanitario y social).
- Establecer modelos de financiación ligados a resultados.
- Revisión de resultados y precio/financiación asociado al valor real aportado.
- Establecer medidas de “dejar de hacer”, de forma que se pueda priorizar la selección de terapias financiadas.
- Potenciar la transparencia del impacto presupuestario e inversión.
- Corresponsabilización y concienciación de los profesionales implicados.
- Aumentar el conocimiento y formación sobre gestión clínica, compra pública innovadora y el acceso precoz.

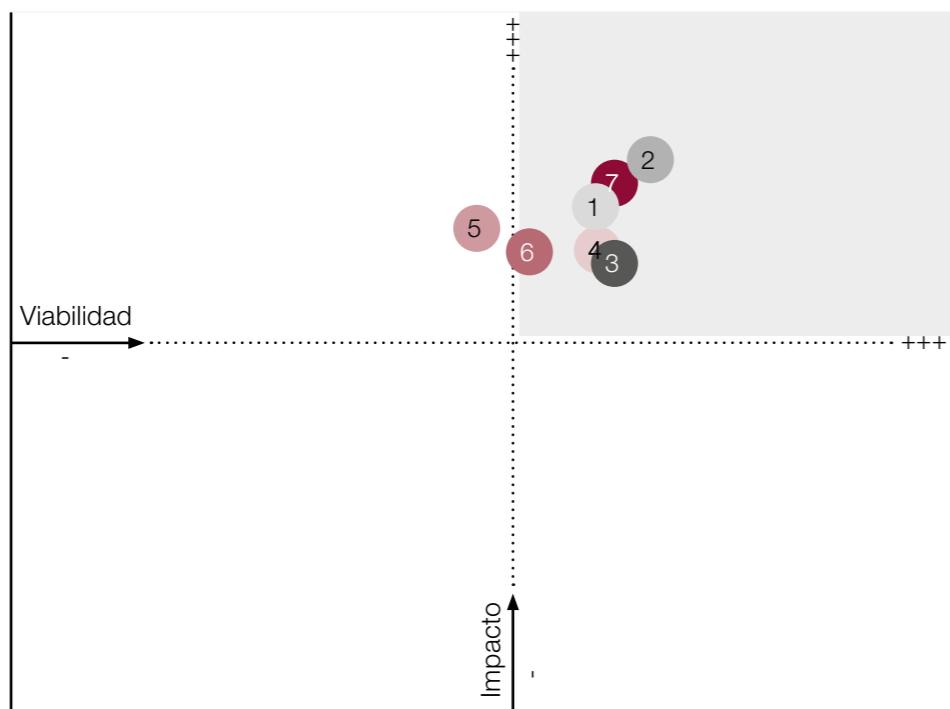
Las barreras identificadas en relación a este reto fueron:

- Las limitaciones presupuestarias.

- La evaluación de fármacos de una sola dosis.
- La falta de evidencia y datos de valor en práctica clínica.
- La falta de confianza y comunicación entre los agentes implicados (administración, industria, hacienda, etc.).
- Las normativas de contratación.
- El inflexible marco normativo actual, que frena la creación de modelos innovadores de compra.
- La inexistencia de un órgano de seguimiento institucionalizado.

Iniciativas

- 1 Promover la evaluación de resultados y del valor aportado, para la priorización en la financiación de terapias avanzadas.
- 2 Establecer modelos de financiación dinámica, seguimiento, reevaluación y re-financiación ligados a resultados.
- 3 Definir indicadores para la evaluación e impacto que reflejen el valor aportado.
- 4 Establecer modelos de colaboración público-privada.
- 5 Promover la investigación y el trabajo colaborativo entre CCAA.
- 6 Impulsar un marco normativo dinámico que se adapte a modelos innovadores de compra.
- 7 Impulsar herramientas tecnológicas que faciliten la recogida de datos de evaluación e impacto presupuestario.



Matriz de valoración por impacto y viabilidad de las iniciativas propuestas para el reto 3.

Reto 4

Adaptar el marco normativo al contexto actual y las características propias de las terapias avanzadas

A pesar de los avances significativos en el ámbito clínico de las terapias avanzadas, el marco normativo y legal no ha evolucionado al mismo ritmo, creando un desfase que dificulta el acceso y la implementación de estas terapias prometedoras.

Desde la autorización de las primeras terapias avanzadas en Europa hace más de dos décadas, el panorama ha cambiado drásticamente. Actualmente, la Unión Europea cuenta con 26 terapias avanzadas aprobadas, de las cuales siete están disponibles en el Sistema Nacional de Salud español. Esta realidad subraya la urgente necesidad de adaptar las estructuras organizativas y normativas para facilitar el acceso a estos tratamientos innovadores.

Las oportunidades a tener en cuenta para el desarrollo de este nuevo marco normativo son:

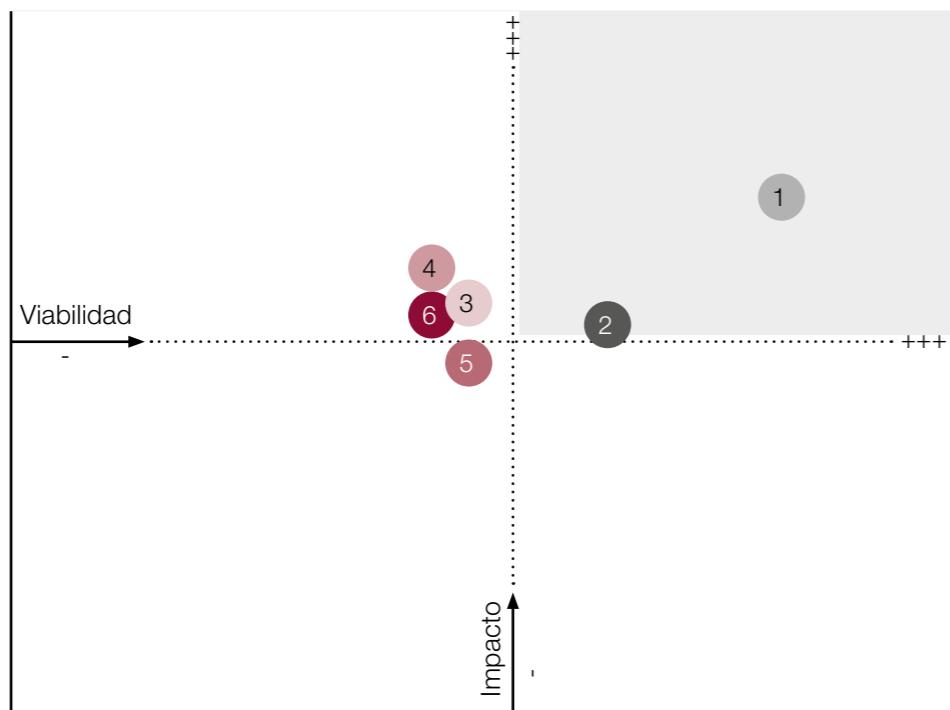
- Analizar e identificar las peculiaridades específicas de las terapias avanzadas.
- Impulsar los cambios necesarios en la ley de contratación pública.
- Apoyo en el marco legislativo farmacéutico europeo.
- Aprender de la experiencia de las terapias CAR-T.
- Creación de una normativa flexible, modulable y vinculante.
- Concienciación y capacitación específica de los distintos agentes implicados en el desarrollo normativo.

Las barreras identificadas para la consecución del objetivo fueron:

- La heterogeneidad de características entre las distintas terapias avanzadas.
- La falta de consenso político.
- La falta de liderazgo.
- El desarrollo normativo actual, un proceso lento.
- La priorización de aspectos no sanitarios.
- Las diferencias organizativas y legales entre CCAA.
- La rigidez de los sistemas de información y de la gestión económica.

Iniciativas

- 1 Fortalecer el Plan Estratégico Nacional, incluyendo las características específicas de las diferentes terapias avanzadas.
- 2 Definir e incluir nuevos perfiles profesionales especializados.
- 3 Promover la capacitación específica a los diferentes agentes implicados en el desarrollo normativo (Tribunal de Cuentas, Ministerio de Economía, Comercio y Empresa, AIReF, Asesorías Jurídicas e Interventores, Consejerías de Hacienda de las CCAA).
- 4 Desarrollar una normativa dinámica que pueda adaptarse al desarrollo y necesidades científicas.
- 5 Evaluar el impacto del marco normativo.
- 6 Desarrollar una agencia de calidad asistencial independiente (ej. AIReF).



Matriz de valoración por impacto y viabilidad de las iniciativas propuestas para el reto 4.

Reto 5

Agilizar el proceso de evaluación de las terapias avanzadas

A medida que las terapias avanzadas emergen, se hace evidente la necesidad de agilizar los procesos de evaluación y aprobación para garantizar que los pacientes puedan beneficiarse de ellas de manera oportuna.

En los últimos años, España ha dado pasos significativos en la implementación y regulación de terapias avanzadas, como lo demuestra el éxito del Plan Nacional de Terapias Avanzadas. No obstante, el creciente número de tratamientos innovadores y la complejidad de su evaluación plantean nuevos desafíos que requieren una respuesta eficiente del sistema sanitario.

La Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios (AEMPS) ha reconocido esta necesidad al introducir un procedimiento de evaluación acelerada o *fast-track* para ciertos ensayos clínicos. Esta iniciativa promete reducir los tiempos de evaluación hasta en un 30%, lo que podría traducirse en un acceso más rápido a terapias potencialmente eficaces y eficientes.

Como otros **aceleradores del proceso**, el grupo de expertos identificó:

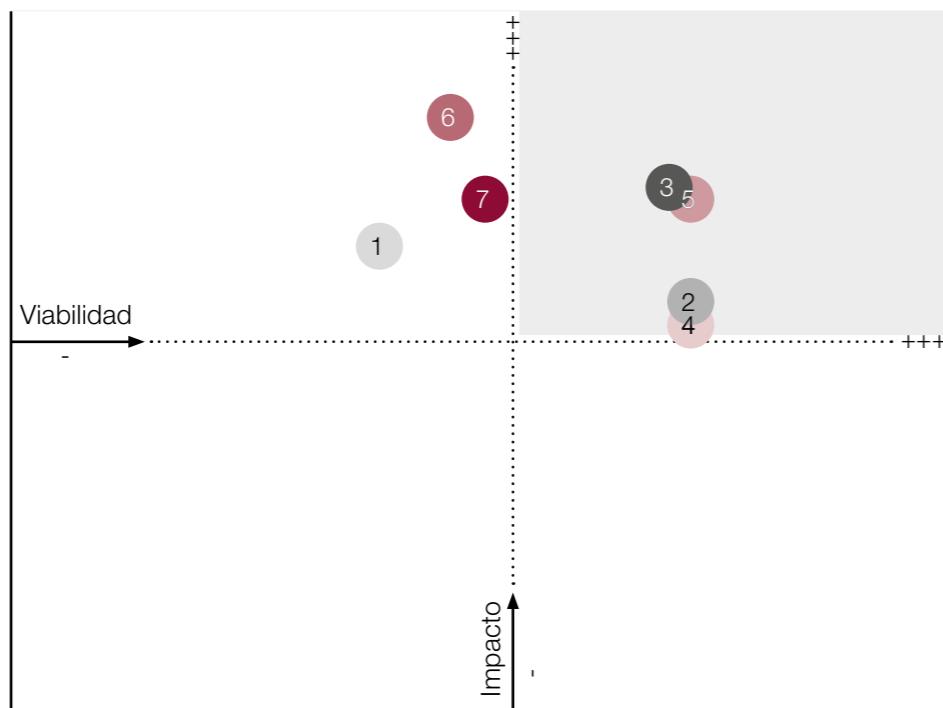
- El desarrollo e inclusión del proceso de evaluación en el plan estratégico de terapias avanzadas.
- Definir qué y para qué evaluamos.
- La inclusión de datos de evaluación económica y de eficiencia.
- Optimizar la interoperabilidad de los sistemas de información.
- Contar con el soporte de una normativa estandarizada y dinámica.
- Procedimientos de evaluación de resultados en periodos.
- Impulsar la confianza y el diálogo entre los agentes implicados.

Por el contrario, las **barreras** identificadas fueron:

- La falta de cultura de registro de datos.
- La falta de conciencia y responsabilidad profesional hacia la evaluación.
- La falta de transparencia y comunicación de resultados.
- Las diferencias en la predisposición por parte de la industria farmacéutica.
- La falta de claridad en los objetivos comunes de la evaluación para la toma de decisiones.

Iniciativas

- 1 Creación de una agencia reguladora profesionalizada a nivel nacional (ej. Revalmed).
- 2 Impulsar la publicación de resultados de evaluación económica y eficiencia.
- 3 Definir procedimientos claros y estandarizados que impulsen el acceso precoz.
- 4 Promover la inclusión de la voz del paciente.
- 5 Impulsar el diálogo entre los diferentes agentes implicados.
- 6 Desarrollo de sistemas de información interoperables.
- 7 Inclusión de datos clínicos en el modelo de compra y financiación.



Matriz de valoración por impacto y viabilidad de las iniciativas propuestas para el reto 5.

Reto 6

Reducir la heterogeneidad e inequidad en el acceso de las terapias avanzadas entre Comunidades Autónomas

La incorporación de las terapias avanzadas en España ha generado nuevas expectativas para pacientes con enfermedades graves; sin embargo, también ha evidenciado un desafío crucial: la potencial inequidad en el acceso a estos tratamientos. A pesar de los avances logrados desde la implementación del Plan de Abordaje de las Terapias Avanzadas en 2018, aún persisten barreras que dificultan el acceso oportuno y equitativo de todos los pacientes elegibles a estas terapias.

La situación actual pone de manifiesto una problemática preocupante: las trabas administrativas, la falta de actualización del plan nacional y las disparidades regionales en la implementación de estas terapias han generado un acceso desigual que requiere ser abordado con urgencia mediante estrategias coordinadas y sostenibles.

Entre las principales causas que podrían causar esta inequidad destacan:

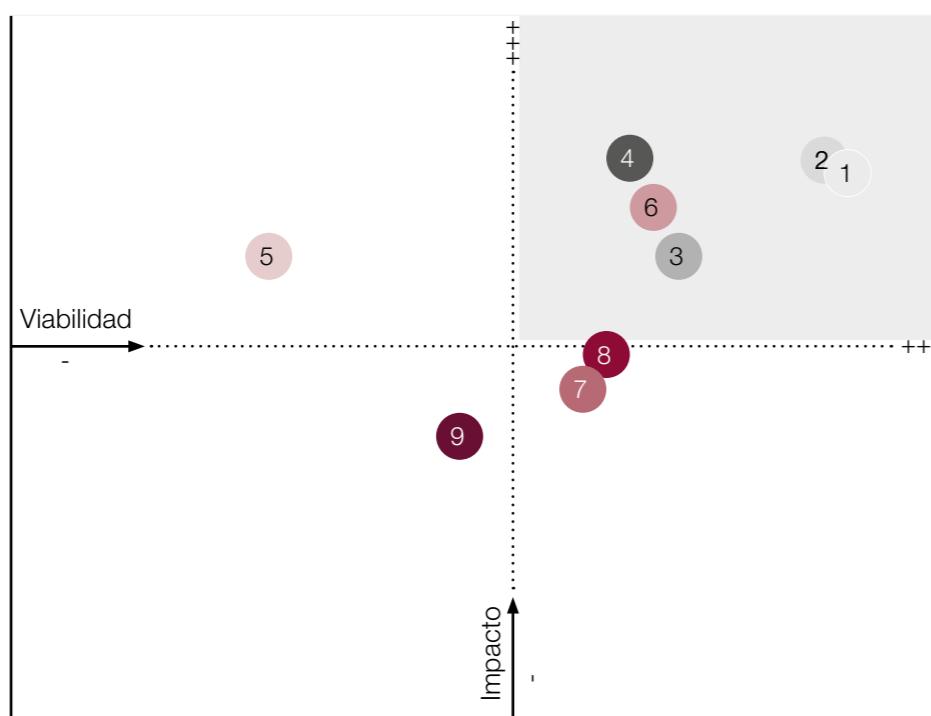
- Diferencias de indicaciones entre las CCAA.
- Diferencias en la evaluación y posicionamiento de las CCAA.
- Heterogeneidad en los protocolos establecidos entre los Comités Nacionales y Autonómicos.

Como oportunidades para la reducción de la inequidad existente, el grupo experto identificó:

- La transparencia y difusión de resultados.
- Asegurar una mayor coordinación y trabajo en red.
- Facilitar la comunicación constante entre centros para compartir *best practices*.

Iniciativas

- 1 **Impulso de la formación y capacitación de los profesionales**, así como su especialización en terapias avanzadas.
 - 2 **Estandarización nacional de procesos y protocolos de acceso** a las terapias avanzadas.
 - 3 **Creación de comités autonómicos** encargados de definir el mejor tratamiento para los pacientes (ensayo vs. terapia comercial).
 - 4 **Impulso de la evaluación de resultados en salud** con el objetivo de analizar el acceso y la equidad en resultados.
 - 5 **Incorporación del coste del impacto social en el precio de la terapia.**
 - 6 **Mejorar la coordinación en el seguimiento** del paciente entre centros de distintas Comunidades Autónomas y asegurar la trazabilidad de los resultados.
 - 7 **Colaborar y trabajar de forma constante con las Asociaciones de Pacientes** y sus respectivos pacientes expertos.
 - 8 **Ajustar el modelo de compensación** (Sistema de Información del Fondo de Cohesión, SIFCO).
 - 9 **Creación y ampliación de centros intra-Comunidad.**



Matriz de valoración por impacto y viabilidad de las iniciativas propuestas para el reto 6.

5

Iniciativas prioritarias y propuestas de plan de acción

Considerando los retos presentes en la actualidad y en el futuro, se propusieron **42 iniciativas** para abordar los principales retos identificados en la adopción de las terapias avanzadas en España.

Atendiendo a su importancia y a la evaluación de su potencial impacto/viabilidad, se destacaron **9** como **líneas de acción prioritarias**.

Se presentan a continuación

Reto	Iniciativas
<p>1</p> <p>Optimizar los modelos de evaluación existentes y/o generar nuevos modelos de evaluación.</p>	<ol style="list-style-type: none"> <li data-bbox="2350 994 2912 1089">1 Creación y/o mejora de las herramientas tecnológicas para facilitar el proceso de evaluación y medición. <li data-bbox="2350 1129 2912 1224">2 Diseño de nuevas metodologías de evaluación mediante la definición de nuevos criterios de medición adaptados a las terapias avanzadas. <li data-bbox="2350 1262 2912 1401">3 Colaboración y diálogo temprano con la industria (desde los hospitales / CCAA) para definir de forma prematura aquellos aspectos clave que necesitamos y queremos medir desde el ámbito asistencial. <li data-bbox="2350 1441 2912 1536">4 Definir y estandarizar los criterios de revaluación incluyendo factores fundamentales como el impacto social y las alternativas terapéuticas surgidas. <li data-bbox="2350 1574 2912 1646">5 Incluir en los protocolos de medición a los pacientes que provienen de ensayos clínicos. <li data-bbox="2350 1686 2912 1781">6 Difusión y distribución de los datos en salud entre las Comunidades Autónomas (e incluso países) para asegurar su transparencia. <li data-bbox="2350 1819 2912 1958">7 Profesionalizar la evaluación e incentivar la orientación hacia la medición de resultados entre todos los profesionales sanitarios del Sistema Nacional de Salud.

- Iniciativa destacada por tener mayor impacto y viabilidad
- Iniciativa relevante para el grupo de expertos

Reto	Iniciativas	Reto	Iniciativas
<p>2 Optimizar el proceso de financiación y entrada al mercado de las nuevas terapias.</p>	<ul style="list-style-type: none"> 1 Empleo de nuevas metodologías y herramientas de apoyo, como el Horizon Scanning, que nos ayuden en la evaluación de las terapias avanzadas para su futura financiación. 2 Definición de umbrales de gasto con el objetivo de ser más previsibles en la financiación. 3 Diálogo temprano con la industria para acelerar y facilitar el proceso de financiación desde sus etapas más precoces. 4 Mejorar los procesos de reevaluación económica y evaluación dinámica incluyendo aspectos como la desfinanciación y el reposicionamiento de la terapia. 5 Adaptación de la ley de contratos para impulsar nuevos sistemas de pago como el cobro a largo plazo. 6 Mejorar la medición del coste-efectividad e impacto clínico de una terapia avanzada con el objetivo de que nos permita definir su urgencia de acceso y, en consecuencia, las prioridades de gasto. 	<p>4 Adaptar el marco normativo al contexto actual y las características propias de las terapias avanzadas.</p>	<ul style="list-style-type: none"> 1 Fortalecer el plan estratégico Nacional, incluyendo las características específicas de las diferentes terapias avanzadas. 2 Definir e incluir nuevos perfiles profesionales especializados. 3 Promover la capacitación específica a los diferentes agentes implicados en el desarrollo normativo (tribunal de cuentas, ministerio de economía, AlReF, asesorías jurídicas (agentes de intervención, hacienda). 4 Desarrollar una normativa dinámica que pueda adaptarse al desarrollo y necesidades científicas. 5 Evaluar el impacto del marco normativo. 6 Desarrollar una agencia de calidad asistencial independiente (ej. AlReF).
<p>3 Garantizar la sostenibilidad en la financiación de las terapias avanzadas en el SNS.</p>	<ul style="list-style-type: none"> 1 Promover la evaluación de resultados y del valor aportado, para la priorización en la financiación de terapias avanzadas. 2 Establecer modelos de financiación dinámica, seguimiento, reevaluación y refinanciación ligados a resultados. 3 Definir indicadores para la evaluación e impacto que reflejen el valor aportado. 4 Establecer modelos de colaboración público-privada. 5 Promover la investigación y el trabajo colaborativo entre CCAA. 6 Impulsar un marco normativo dinámico que se adapte a modelos innovadores de compra. 7 Impulsar herramientas tecnológicas que faciliten la recogida de datos de evaluación e impacto presupuestario. 	<p>5 Agilizar el proceso de evaluación de las terapias avanzadas.</p>	<ul style="list-style-type: none"> 1 Creación de una agencia reguladora profesionalizada a nivel nacional (ej Revalmed). 2 Impulsar la publicación de resultados de evaluación económica y eficiencia. 3 Definir procedimientos claros y estandarizados que impulsen el acceso precoz. 4 Promover la inclusión de la voz del paciente. 5 Impulsar el diálogo entre los diferentes agentes implicados. 6 Desarrollo de sistemas de información interoperables. 7 Inclusión de datos clínicos en el modelo de compra y financiación.

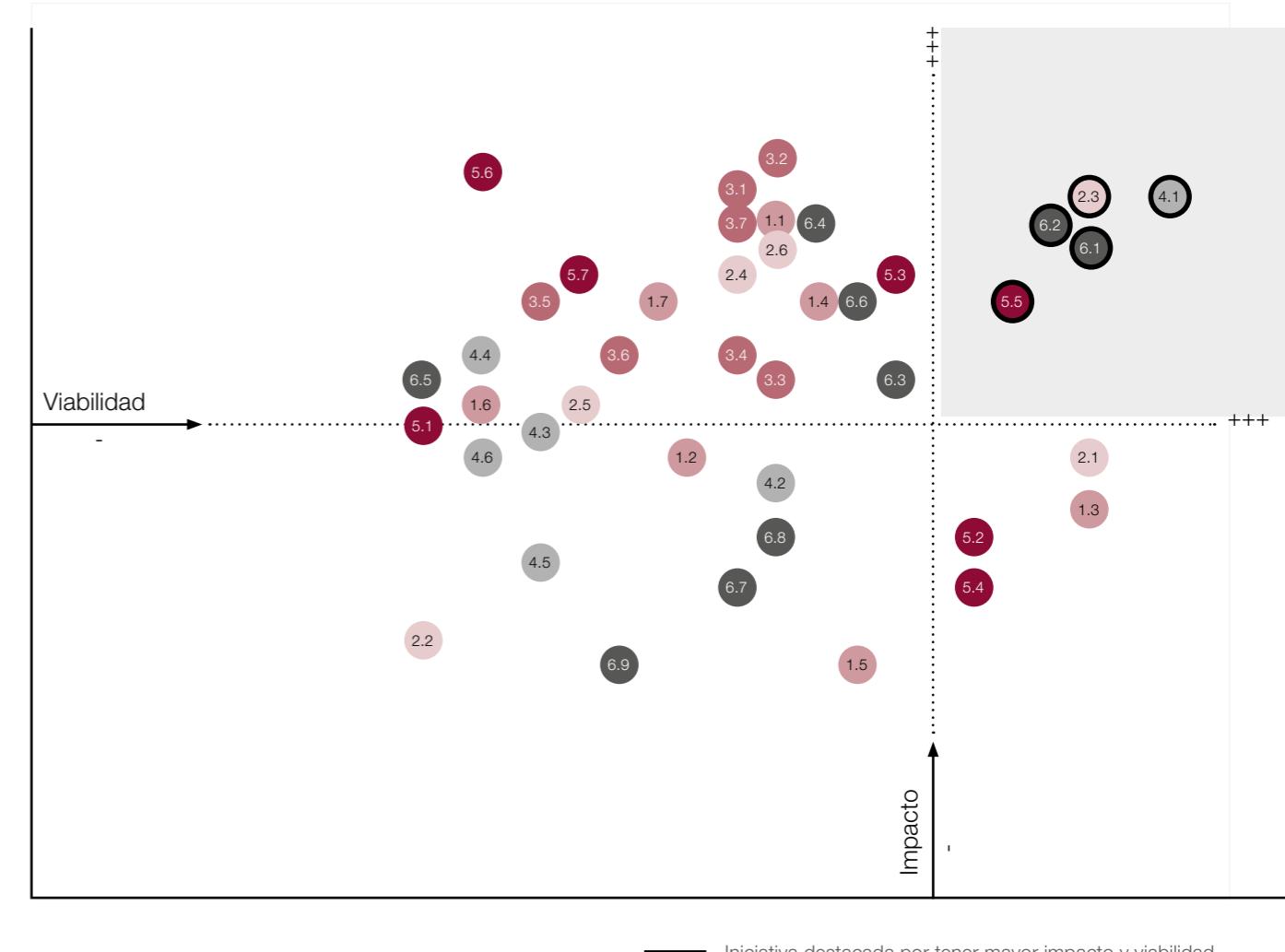
— Iniciativa destacada por tener mayor impacto y viabilidad
— Iniciativa relevante para el grupo de expertos

— Iniciativa destacada por tener mayor impacto y viabilidad
— Iniciativa relevante para el grupo de expertos

Reto	Iniciativas
6 Reducir la heterogeneidad e inequidad en el acceso de las terapias avanzadas entre CCAA.	<p>1 Impulso de la formación y capacitación de los profesionales, así como su especialización en terapias avanzadas.</p> <p>2 Estandarización nacional de procesos y protocolos de acceso a las terapias avanzadas.</p> <p>3 Creación de comités autonómicos encargados de definir el mejor tratamiento para los pacientes (ensayo vs terapia comercial).</p> <p>4 Impulso de la evaluación de resultados en salud con el objetivo de analizar el acceso y la equidad en resultados.</p> <p>5 Incorporación del coste del impacto social en el precio de la terapia.</p> <p>6 Mejorar la coordinación en el seguimiento del paciente entre centros de distintas Comunidades Autónomas y asegurar la trazabilidad de los resultados.</p> <p>7 Colaborar y trabajar de forma constante con las Asociaciones de Pacientes y sus respectivos pacientes expertos.</p> <p>8 Ajustar el modelo de compensación (SIFCO).</p> <p>9 Creación y ampliación de centros intracomunitarios.</p>

— Iniciativa destacada por tener mayor impacto y viabilidad
— Iniciativa relevante para el grupo de expertos

Matriz de evaluación global de las iniciativas en base a su impacto y viabilidad



— Iniciativa destacada por tener mayor impacto y viabilidad

Evaluación global de las iniciativas

Considerando las **42 iniciativas** propuestas para abordar los principales retos identificados en la adopción de las terapias avanzadas en España, atendiendo a su importancia y a la evaluación de su potencial impacto/viabilidad, se destacaron **9 líneas de acción prioritarias**.

Las iniciativas con mayor impacto y viabilidad fueron:

- **Fortalecer el Plan Estratégico Nacional**, incluyendo las características específicas de las diferentes terapias avanzadas.
- Establecer un **diálogo temprano con la industria** para acelerar y facilitar el proceso de financiación desde sus etapas más precoces.
- **Estandarización nacional de procesos y protocolos de acceso** a las terapias avanzadas.

- **Impulsar la formación y capacitación de los profesionales**, así como su especialización en terapias avanzadas.
- **Impulsar el diálogo entre los diferentes agentes implicados en el proceso de evaluación** de terapias avanzadas.

El grupo de expertos también valoró como iniciativas más relevantes:

- **Establecer modelos de financiación** dinámica, seguimiento, reevaluación y re-financiación **ligados a resultados**.
- **Promover la evaluación de resultados y del valor aportado**, para la priorización en la financiación de terapias avanzadas.
- **Fortalecer el Plan Estratégico Nacional**, incluyendo las características específicas de las diferentes terapias avanzadas.
- **Creación y/o mejora de las herramientas tecnológicas** para facilitar el proceso de evaluación y medición.
- **Mejorar los procesos de reevaluación económica y evaluación dinámica**, incluyendo aspectos como la desfinanciación y el reposicionamiento de la terapia.

Propuestas del plan de acción

Para la definición y desarrollo de cada una de las iniciativas prioritarias, se sigue el siguiente esquema:

Reto	Reto al que da respuesta la iniciativa
Iniciativa	Nombre de la línea de acción priorizada
Descripción	Justificación y explicación de la iniciativa
Objetivos	Propósito de la puesta en marcha de la iniciativa
Actuaciones	Actividades clave a desarrollar
Agentes	Agentes que es necesario implicar para la consecución de la iniciativa

Fortalecer el Plan Estratégico Nacional, incluyendo las características específicas de las diferentes terapias avanzadas.

Reto	Adaptar el marco normativo al contexto actual y las características propias de las terapias avanzadas.
Línea de acción	Fortalecer el Plan Estratégico Nacional , incluyendo las características específicas de las diferentes terapias avanzadas.
Descripción	Actualizar y fortalecer el Plan de Abordaje de Terapias Avanzadas en el Sistema Nacional de Salud, incorporando las particularidades de las diferentes modalidades de terapias avanzadas.
Objetivos	<ul style="list-style-type: none"> • Actualizar el marco estratégico nacional para reflejar los últimos avances en terapias avanzadas. • Homogeneizar la incorporación de nuevas terapias. • Mejorar el acceso equitativo a estas terapias en todo el territorio nacional. • Estandarizar y armonizar el marco de referencia normativo. • Desarrollar una normativa dinámica que pueda adaptarse al desarrollo y necesidades científicas. • Describir un marco de referencia para el desarrollo, evaluación e inclusión de nuevas indicaciones terapéuticas. • Definir procedimientos claros y estandarizados que impulsen el acceso precoz. • Mantener el liderazgo de España en el desarrollo y aplicación de terapias avanzadas.
Actuaciones	<ul style="list-style-type: none"> • Definir un grupo de trabajo multidisciplinar formado por profesionales sanitarios expertos y autoridades de la administración sanitaria. • Analizar las particularidades de cada tipo de terapia. • Establecer unos criterios y pautas de actuación. • Elaborar documentos que recojan procedimientos claros a nivel nacional. • Implementar, evaluar y actualizar los criterios consensuados. • Incorporar nuevos modelos y protocolos de evaluación y reevaluación orientados a valor y a una mejor financiación. • Establecer alianzas estratégicas para la colaboración de los distintos agentes implicados. • Crear Comités Autonómicos encargados de evaluar tratamientos y su adecuación para los pacientes.
Stakeholders	Ministerio de Sanidad, Ministerio de Ciencia e Innovación, Consejerías de Sanidad de las Comunidades Autónomas, agencias reguladoras, profesionales sanitarios, instituciones de investigación, industria farmacéutica y centros sanitarios.

Establecer un diálogo temprano con la industria para acelerar y facilitar el proceso de financiación desde sus etapas más precoces.

Reto	Optimizar el proceso de financiación y entrada al mercado de las nuevas terapias.
Línea de acción	Establecer un diálogo temprano con la industria para acelerar y facilitar el proceso de financiación desde sus etapas más precoces.
Descripción	Desarrollar sinergias y canales de comunicación entre autoridades sanitarias e industria farmacéutica desde etapas previas a la autorización, para acelerar el acceso a tratamientos innovadores y contribuir al uso más eficiente de los recursos.
Objetivos	<ul style="list-style-type: none"> Alinear necesidades y expectativas entre la industria farmacéutica, centros de referencia y agentes reguladores y financieros. Anticipar y abordar posibles desafíos en el proceso de financiación. Reducir tiempos de evaluación y acceso tras la autorización. Facilitar la planificación de recursos y agilizar los procesos burocráticos. Asegurar la colaboración estratégica entre el ámbito asistencial público y privado. Facilitar los procesos de evaluación, financiación y acceso de las terapias.
Actuaciones	<ul style="list-style-type: none"> Analizar las particularidades de cada tipo de terapia. Establecer protocolos y procesos de diálogo entre los agentes involucrados. Desarrollar guías de recomendaciones, que recojan un cronograma con los puntos clave del proceso global, criterios aplicados y acciones requeridas por parte de cada agente. Diseñar canales de comunicación ágiles. Definir y estandarizar de forma colaborativa protocolos de evaluación orientados al valor para facilitar el proceso de acceso y financiación. Impulsar el uso de herramientas tecnológicas para facilitar el proceso de evaluación. Definir nuevos modelos de colaboración público-privada.
Stakeholders	Ministerio de Sanidad, Ministerio de Ciencia e Innovación, agencias reguladoras, profesionales/instituciones de investigación y gestión sanitaria e industria farmacéutica.

Estandarización nacional de procesos y protocolos de acceso a las terapias avanzadas.

Reto	Reducir la heterogeneidad e inequidad en el acceso de las terapias avanzadas entre CCAA.
Línea de acción	Estandarización nacional de procesos y protocolos de acceso a terapias avanzadas.
Descripción	Esta iniciativa busca establecer procedimientos claros y uniformes para mejorar la equidad y eficiencia, reduciendo las diferencias de acceso entre comunidades autónomas, maximizando el impacto de las terapias avanzadas y asegurando el acceso uniforme de los pacientes.
Objetivos	<ul style="list-style-type: none"> Garantizar un acceso equitativo a las terapias avanzadas en todas las Comunidades Autónomas. Mejorar la coordinación en el abordaje del paciente entre los diferentes centros. Definir procedimientos claros y estandarizados que impulsen el acceso precoz. Optimizar los procesos de evaluación y selección de pacientes. Mejorar la eficiencia en la administración y seguimiento de estas terapias. Facilitar el registro, la recogida de resultados en salud y la evaluación de resultados a nivel nacional. Mejorar los procesos de evaluación, acceso y financiación de las terapias avanzadas. Garantizar la sostenibilidad del sistema. Impulsar la comunicación y colaboración entre los principales agentes implicados promoviendo la coordinación entre las diferentes CCAA.
Actuaciones	<ul style="list-style-type: none"> Desarrollar protocolos estandarizados para la valoración de solicitudes de terapias avanzadas. Establecer criterios uniformes para la designación de centros autorizados para administrar estas terapias. Implementar un sistema centralizado de seguimiento y registro de terapias avanzadas. Crear guías nacionales para el manejo y seguimiento de pacientes. Estandarizar los procedimientos de derivación de pacientes entre centros y Comunidades Autónomas. Crear comités nacionales para la elaboración de procesos y protocolos. Definir procedimientos e indicadores de evaluación e impulsar la evaluación de resultados en salud. Definir e implementar modelos de colaboración entre los diferentes agentes clave identificados.
Stakeholders	Ministerio de Sanidad, agencias reguladoras, profesionales sanitarios, instituciones de investigación, industria farmacéutica, sociedades científicas, asociaciones de pacientes y representantes de centros sanitarios.

Impulsar la formación y capacitación de los profesionales, así como su especialización en terapias avanzadas.

Reto	Reducir la heterogeneidad e inequidad en el acceso de las terapias avanzadas entre CCAA.
Línea de acción	Impulsar la formación y capacitación de los profesionales, así como su especialización en terapias avanzadas.
Descripción	Desarrollar programas de formación y capacitación integral especializada en terapias avanzadas.
Objetivos	<ul style="list-style-type: none"> Promover y asegurar una capacitación global de los diferentes profesionales implicados en: investigación, desarrollo normativo, acceso, evaluación, financiación, implementación, abordaje clínico y seguimiento de las terapias avanzadas. Aumentar el <i>expertise</i> y el conocimiento de buenas prácticas. Facilitar la transferencia de conocimiento. Promover la innovación.
Actuaciones	<ul style="list-style-type: none"> Crear comités multidisciplinares. Desarrollar programas acreditados especializados en terapias avanzadas. Generar programas de intercambio de formación en centros de referencia. Organizar congresos o sesiones de actualización multidisciplinar. Promover canales de comunicación. Fomentar los ámbitos clave de las terapias avanzadas como son la evaluación y la orientación hacia valor y resultados.
Stakeholders	Ministerio de Sanidad, agencias reguladoras, profesionales sanitarios, industria farmacéutica, sociedades científicas, centros especializados y de formación.

Impulsar el diálogo entre los diferentes agentes implicados en el proceso de evaluación de terapias avanzadas.

Reto	Agilizar el proceso de evaluación de las terapias avanzadas.
Línea de acción	Impulsar el diálogo entre los diferentes agentes implicados en el proceso de evaluación de las terapias avanzadas.
Descripción	Esta iniciativa busca fomentar y facilitar la comunicación efectiva entre los diversos actores involucrados en el proceso de evaluación de las terapias avanzadas.
Objetivos	<ul style="list-style-type: none"> Mejorar y agilizar los procedimientos de evaluación de las terapias avanzadas. Promover la coordinación entre centros, impulsando el trabajo en red. Optimizar el proceso de evaluación de las terapias avanzadas. Crear canales de comunicación eficaces y efectivos entre los diferentes agentes implicados. Asegurar el diálogo temprano para facilitar los modelos de evaluación. Promover y establecer nuevos modelos de colaboración (ej. público-privada).
Actuaciones	<ul style="list-style-type: none"> Identificar los diferentes agentes clave en el proceso de evaluación de las terapias avanzadas, garantizando la participación multisectorial. Facilitar el proceso de evaluación, reduciendo los tiempos de aprobación de terapias seguras y eficaces. Crear protocolos estandarizados de comunicación entre los diferentes agentes. Promover canales de comunicación que faciliten el diálogo temprano. Implementar programas de formación y capacitación de los diferentes agentes implicados.
Stakeholders	Autoridades sanitarias, industria farmacéutica, profesionales sanitarios y agencias reguladoras.

Establecer modelos de financiación dinámica, seguimiento, reevaluación y refinanciación, ligados a resultados.

Reto	Garantizar la sostenibilidad en la financiación de las terapias avanzadas en el Sistema Nacional de Salud.
Línea de acción	Establecer modelos de financiación dinámica, seguimiento, reevaluación y refinanciación ligados a resultados.
Descripción	Esta iniciativa busca implementar un sistema de financiación flexible y adaptativo para las terapias avanzadas, que se ajuste en función de los resultados obtenidos en práctica clínica real y de forma adaptada a lo largo del tiempo. Este enfoque permite una asignación más eficiente de los recursos y una mejor adaptación a la evolución y efectividad de estas terapias innovadoras.
Objetivos	<ul style="list-style-type: none"> Desarrollar modelos de medición de coste-efectividad e impacto clínico para definir la urgencia de acceso y las prioridades de gasto de cada terapia. Obtener datos actualizados de efectividad. Optimizar la inversión basándose en la efectividad real. Incentivar la innovación y desarrollo de terapias más efectivas. Ajustar el acceso de cada terapia, facilitando también el acceso temprano. Promover la cultura de evaluación y decisiones basadas en evidencia, asegurando también la trazabilidad de resultados. Desarrollar nuevos modelos de financiación, reevaluación y refinanciación. Fomentar la colaboración entre centros.
Actuaciones	<ul style="list-style-type: none"> Desarrollar un sistema de recogida de datos clínicos de vida real, que sea estandarizado y a nivel nacional. Establecer indicadores y criterios claros y medibles de efectividad clínica para cada tipo de terapia avanzada. Implementar modelos de financiación vinculado a resultados obtenidos (ej. modelos de pago por riesgo compartido). Crear un comité de expertos multidisciplinar para la evaluación periódica de los resultados y la toma de decisiones sobre refinanciación. Desarrollar modelos predictivos que faciliten la obtención de información de valor. Establecer un sistema de reevaluación periódica (anual o bianual) de la efectividad y el coste-beneficio de cada terapia avanzada financiada. Implementar un sistema de financiación escalonada, donde el pago completo se realice solo si se alcanzan ciertos hitos de efectividad a lo largo del tiempo. Impulso de la tecnología como herramienta fundamental.
Stakeholders	Ministerio de Sanidad, AEMPS, agentes reguladores, proveedores y de financiación, Comunidades Autónomas, centros referencia e industria farmacéutica.

Promover la evaluación de resultados y del valor aportado para la priorización en la financiación de terapias avanzadas.

Reto	Garantizar la sostenibilidad en la financiación de las terapias avanzadas en el Sistema Nacional de Salud.
Línea de acción	Promover la evaluación de resultados y del valor aportado de las terapias avanzadas para su priorización en la financiación.
Descripción	Esta iniciativa busca asegurar que las terapias avanzadas más efectivas y valiosas sean priorizadas en la financiación, optimizando así los recursos del sistema de salud y mejorando el acceso de los pacientes a tratamientos innovadores.
Objetivos	<ul style="list-style-type: none"> Definir y estandarizar los criterios de evaluación y reevaluación incluyendo nuevos factores (como el impacto social o las alternativas terapéuticas). Impulsar la evaluación de resultados en salud. Conocer el valor clínico que aportará cada terapia avanzada. Identificar cuáles son las terapias avanzadas con mayor necesidad de financiación. Priorizar la financiación de las terapias avanzadas que generen mayor valor para el sistema sanitario. Facilitar el acceso a las terapias avanzadas. Garantizar la sostenibilidad del sistema sanitario.
Actuaciones	<ul style="list-style-type: none"> Identificar cuáles son los indicadores que necesitamos evaluar para identificar el valor aportado. Impulsar herramientas tecnológicas que faciliten la recogida de resultados de evaluación e impacto presupuestario, asociados al valor aportado de cada terapia. Definir las grandes necesidades clínicas para poder priorizar las terapias existentes. Crear modelos de evaluación en colaboración con la industria con el objetivo de hacer más efectivo el proceso desde las etapas más tempranas. Definir nuevos modelos de compra innovadora que nos permitan facilitar el acceso de las terapias avanzadas.
Stakeholders	Ministerio de Sanidad, agencias reguladoras, profesionales/ instituciones de investigación e industria farmacéutica.

Creación y/o mejora de las herramientas tecnológicas para facilitar el proceso de evaluación y medición.

Reto	Optimizar los modelos de evaluación existentes y/o generar nuevos modelos de evaluación.
Línea de acción	Creación y/o mejora de las herramientas tecnológicas para facilitar el proceso de evaluación y medición.
Descripción	Esta iniciativa busca desarrollar e implementar soluciones tecnológicas avanzadas que permitan una evaluación más eficiente, precisa y estandarizada de las terapias avanzadas.
Objetivos	<ul style="list-style-type: none"> • Facilitar la estandarización de procesos de evaluación en todo el territorio nacional. • Promover cultura de evaluación y la toma de decisiones basadas en evidencia. • Mejorar la eficiencia y precisión en la evaluación de terapias avanzadas. • Facilitar la recogida de datos de evaluación e impacto presupuestario. • Facilitar la recopilación, análisis y seguimiento de datos clínicos a largo plazo. • Acelerar el proceso de evaluación y aprobación de nuevas terapias. • Impulsar la coordinación e interoperabilidad entre los diferentes agentes implicados y centros. • Mejorar la coordinación en el seguimiento del paciente entre diferentes centros a nivel nacional.
Actuaciones	<ul style="list-style-type: none"> • Creación de un comité multidisciplinar experto que defina qué herramientas tecnológicas son necesarias y qué características son claves para que tengan un impacto y aplicabilidad real. • Analizar las herramientas existentes en todos los territorios, para valorar su utilidad y o necesidad de optimización (ej. sistemas de trazabilidad, etc.). • Detectar qué herramientas no están presentes y desarrollarlas (ej. plataformas centralizadas para la gestión y análisis de datos clínicos de pacientes). • Estandarizar el uso de herramientas seleccionadas que faciliten el proceso de medición y/ o evaluación. • Implementar sistemas de alerta temprana basados en la monitorización continua de datos. • Fomentar la capacitación y formación de los profesionales. • Definir indicadores para la evaluación e impacto que reflejen el valor aportado.
Stakeholders	Ministerio de Sanidad, AEMPS, profesionales sanitarios, empresas tecnológicas, centros de referencia e industria farmacéutica.

Mejorar los procesos de reevaluación económica y evaluación dinámica incluyendo aspectos como la desfinanciación y el reposicionamiento de la terapia.

Reto	Garantizar la sostenibilidad en la financiación de las terapias avanzadas en el Sistema Nacional de Salud.
Línea de acción	Mejorar los procesos de reevaluación económica y evaluación dinámica incluyendo aspectos como la desfinanciación y el reposicionamiento de la terapia.
Descripción	Esta iniciativa busca generar nuevos procesos de evaluación dinámica que aseguren y faciliten la reevaluación de las terapias avanzadas con el objetivo de definir el valor clínico aportado y su posible reposicionamiento.
Objetivos	<ul style="list-style-type: none"> • Facilitar los protocolos de reevaluación de las terapias avanzadas. • Asegurar el reposicionamiento de la terapia según su aporte de valor. • Optimizar el uso de recursos. • Promover la sostenibilidad del sistema de financiación.
Actuaciones	<ul style="list-style-type: none"> • Establecer protocolos homogeneizados de reevaluación estandarizados para todos los centros. • Definir y estandarizar los criterios de reevaluación incluyendo factores fundamentales como el impacto social y las alternativas terapéuticas surgidas. • Incluir nuevos aspectos en la evaluación como la competencia surgida que posibiliten el reposicionamiento de la terapia. • Mejorar la medición del coste-efectividad e impacto clínico de una terapia avanzada. • Impulsar herramientas tecnológicas que faciliten la recogida de datos de evaluación e impacto presupuestario. • Fomentar la capacitación y formación a profesionales.
Stakeholders	Ministerio de Sanidad, agencias reguladoras, profesionales/ instituciones de investigación e industria farmacéutica.

6

Conclusiones

Las terapias avanzadas se encuentran en un momento crucial con avances significativos y desafíos por delante. Por ello, es vital analizar de forma minuciosa la situación actual y los retos presentes para poder desarrollar acciones que permitan responder de forma adaptada, coordinada y optimizada.

España tiene el potencial de consolidar su posición como líder en terapias avanzadas. Para ello será crucial abordar los desafíos de acceso, evaluación, financiación y transferencia de la investigación y la práctica clínica, mediante un enfoque adaptado, coordinado y comprometido.



Basándonos en los retos identificados y las iniciativas propuestas podemos concluir que existen ciertos ámbitos prioritarios:



Necesidad de estandarización y enfoque estratégico nacional



La estandarización de los procesos y protocolos de acceso a las terapias avanzadas se presenta como una prioridad fundamental para reducir las diferencias entre Comunidades Autónomas y garantizar un acceso equitativo en todo el país.



Este objetivo está estrechamente vinculado a la necesidad de fortalecer el plan estratégico nacional, integrando las particularidades de cada terapia avanzada para establecer un marco homogéneo y coherente que oriente la investigación, el desarrollo, la evaluación, la financiación y la implementación de estas terapias.



De manera complementaria, resulta imperativo adaptar el marco normativo para que responda con agilidad a los avances científicos y tecnológicos del sector, mediante el desarrollo de modelos regulatorios dinámicos y realistas que faciliten su implementación.



La convergencia de estos tres pilares —estandarización, fortalecimiento estratégico y adaptación normativa— constituye la base para consolidar un enfoque nacional cohesivo que refuerce el liderazgo de España en el ámbito de las terapias avanzadas, garantizando su integración en el sistema sanitario y maximizando su impacto en la atención a los pacientes.

Optimización de procesos de evaluación y financiación, con enfoque en resultados y valor

La implementación de procesos robustos de evaluación y reevaluación es crucial para determinar el verdadero valor aportado.

Enfocar los procesos de evaluación y financiación en los resultados y el valor generado representa una estrategia clave para garantizar el avance y la sostenibilidad del sistema sanitario español. Es fundamental establecer modelos de financiación dinámica estrechamente vinculados a los resultados clínicos obtenidos, lo que permitiría una asignación más eficiente de los recursos y una adaptación ágil a la evolución de las terapias innovadoras. Este enfoque no solo optimizaría la inversión, sino que también fomentaría la mejora continua y la innovación en el desarrollo de terapias avanzadas.

Para ello, es necesario adoptar metodologías de evaluación que integren, además del impacto clínico, factores como la mejora en la calidad de vida de los pacientes, la reducción de costes a largo plazo y el efecto global en el sistema sanitario. Al priorizar modelos de financiación basados en el valor demostrado, se garantiza que los recursos se asignen a aquellas terapias que ofrecen los mayores beneficios tanto para los pacientes como para el sistema de salud, contribuyendo así a la sostenibilidad del Sistema Nacional de Salud en el ámbito de las terapias avanzadas.

Colaboración entre agentes implicados

La colaboración entre los distintos agentes implicados en el ámbito de las terapias avanzadas podría considerarse un factor crítico para el éxito y la aceleración de su desarrollo e implementación en España.

La generación de nuevas alianzas y el fomento de un diálogo abierto y constructivo entre agentes reguladores, instituciones de evaluación y financiación, investigadores, profesionales sanitarios, representantes de pacientes e industria farmacéutica es fundamental para crear un ecosistema dinámico y eficiente. Establecer sinergias multidisciplinares no solo permite una comprensión más profunda de las necesidades y desafíos existentes, sino que también facilita la identificación de soluciones innovadoras y la optimización de los procesos para el desarrollo, implementación y acceso a estas terapias.

La colaboración temprana con la industria, en particular, emerge como una estrategia clave para agilizar los procesos desde sus etapas iniciales. Este enfoque permitiría alinear las expectativas y requerimientos regulatorios con las capacidades y planes de desarrollo de la industria, facilitando una planificación más efectiva de los recursos y una mejor anticipación de los desafíos potenciales. Además, la interacción temprana puede contribuir significativamente a la definición de criterios de evaluación más pertinentes y a la creación de modelos de financiación innovadores que reflejen el valor real de las terapias avanzadas.

Desarrollo de capacitación específica e integración de tecnología

En un contexto de avances acelerados en el desarrollo de terapias avanzadas y de creciente necesidad de adaptación del Sistema Nacional de Salud para responder de manera eficiente a esta nueva realidad, resulta fundamental promover la capacitación específica de los distintos profesionales implicados en su implementación.

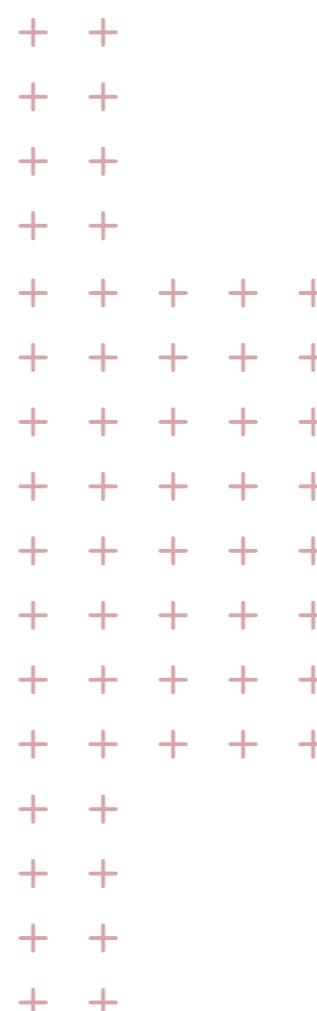
Asimismo, dentro de esta capacitación, es esencial el desarrollo e integración de soluciones tecnológicas que faciliten la adopción de nuevos modelos de abordaje, coordinación, evaluación y seguimiento de estas terapias, optimizando así su gestión y aplicación clínica.

Abordar los desafíos actuales y desarrollar iniciativas en las áreas mencionadas no solo permitirá acelerar el acceso de los pacientes a tratamientos potencialmente transformadores, sino que también contribuirá a fortalecer la posición de España como referente global en el campo de las terapias avanzadas.

7

Anexo

Acrónimos



- **AIRF:** Autoridad Independiente de Responsabilidad Fiscal
- **ANSM:** Agencia Nacional de Seguridad del Medicamento y de los Productos Sanitarios
- **ARM:** Alianza para la Medicina Regenerativa
- **AseBio:** Asociación Española de Bioempresas
- **BioCat:** Agente tractor del ecosistema de innovación en salud en Cataluña
- **ATMPs:** Advanced Therapy Medicinal Products
- **CTA:** Comité de Terapias Avanzadas de la EMA (Committee Advanced Therapies)
- **CCAA:** Comunidades Autónomas
- **CSC:** Consorci de Salut i Social de Catalunya
- **CERTERA:** Consorcio Estatal en Red para el desarrollo de Medicamentos de Terapias Avanzadas
- **DFG:** Fundación Alemana de Investigación
- **EFPIA:** Federación Europea de la Industria Farmacéutica
- **ELA:** Esclerosis Lateral Amiotrófica
- **EMA:** Agencia Europea del Medicamento
- **FJD-CIEMAT:** Unidad conjunta entre la Fundación Jiménez Díaz y el Centro de Investigaciones Energéticas, Medioambientales y Tecnológicas
- **GCP:** Guía de Buenas Prácticas Clínicas
- **GLP:** Guía de Buenas Prácticas en Laboratorio
- **GMP:** Guías específicas de Buenas Prácticas en la Fabricación
- **I+D:** Investigación y Desarrollo
- **IATA:** Iniciativa Andaluza en Terapias Avanzadas
- **ISCIII:** Instituto de Salud Carlos III
- **IRCCS:** Instituto Científico de Investigación y Asistencia Sanitaria
- **ISCT:** Sociedad Internacional de Terapias Celulares y Genéticas
- **ITF:** Innovation Task Force
- **JCA:** Evaluación Clínica Conjunta Europea (Joint Clinical Assessment)
- **LLA-B:** Leucemia linfoblástica aguda de células
- **MTA:** Medicamentos de terapias avanzadas

- **NHS:** Servicio Nacional de Salud (Reino Unido)
- **NICE:** Instituto Nacional para la Excelencia en la Salud y la Atención
- **PERTE:** Proyecto Estratégico para la Recuperación y Transformación Económica
- **PRIME:** PRIority MEDicines
- **RIS3:** Estrategia de Investigación e Innovación para la Especialización Inteligente
- **SERMAS:** Servicio Madrileño de Salud
- **SNS:** Sistema Nacional de Salud
- **SIFCO:** Sistema de Información del Fondo de Cohesión Sanitaria
- **TA:** Terapias avanzadas
- **TerAVal:** Sistema de Terapias Avanzadas de Cantabria
- **TERAV:** Red Española de Terapias Avanzadas

Participantes

- **Álvaro Roca:** Director de Market Access y Public Affairs de Pierre Fabre España.
- **Ana Rubio:** Coordinadora del Área de Farmacia del Servicio de Salud de Castilla-La Mancha.
- **Antonio Pérez:** Jefe de Servicio de Hemato-Oncología Pediátrica y Trasplante Hematopoyético. Hospital Universitario La Paz. Investigador principal del Grupo de Investigación Traslacional en Cáncer Infantil, Trasplante Hematopoyético y Terapia Celular del Hospital Universitario La Paz de Madrid.
- **Benigno Rosón:** Subdirector de sistemas y tecnologías de la información en SERGAS, el Servicio Gallego de Salud.
- **Carla Alonso:** Farmacia Hospitalaria en el Hospital Universitari Vall d'Hebron de Barcelona.
- **Carlos Crespo:** Jefe de Servicio de Farmacia del Área Sanitaria de Pontevedra y O Salnés.
- **Elena Casaus:** Jefe de división de la Unidad de Terapias Avanzadas. División de la Unidad de Terapias Avanzadas de la Consejería de Sanidad de la Comunidad de Madrid.
- **Flora Pérez:** Jefa de Servicio de Gestión Farmacéutica del Servicio Cántabro de Salud.
- **Isabel Pineros:** Directora del departamento de acceso de Farmaindustria.
- **Josep M^a Guiu:** Director del Área de Farmacia y del Medicamento del Consorci de Salut i Social de Catalunya.
- **Jose Luis Poveda:** Gerente del Hospital Universitario y Politécnico de La Fe.
- **Joan Vinent:** Jefe de la Unidad de Farmacia Oncológica del Hospital Sant Joan de Déu.
- **Juan Megías:** Responsable de la Oficina Autonómica de Medicina Predictiva, Personalizada y Terapias Avanzadas de la Comunitat Valenciana. Farmacéutico especialista en Farmacia Hospitalaria en Hospital Universitari i Politècnic La Fe.

- **Nekane Murga:** Directora de Planificación, Ordenación y Evaluación Sanitaria del departamento de Salud del País Vasco.
- **Núria Gavaldà:** Directora de Estrategia e Innovación en el Banco de Sangre y Tejidos del Departamento de Salud de Cataluña.
- **Rubén Moreno:** Ex Secretario General de Sanidad y Consumo del Sistema Nacional de Salud.
- **Sandra Fontanals:** Jefa de Servicio de Farmacia del Institut Català de Oncología (ICO).
- **Vicente Arocás:** Coordinación Regional de Terapias Avanzadas en la Consejería de Salud de la Región de Murcia.
- **Vicente Escudero:** Farmacéutico de la Unidad de Oncohematología del Gregorio Marañón.
- **Virginia García:** Coordinadora del Área de Farmacia y del Medicamento e Innovación del Consorci de Salut i Social de Catalunya.

Coordinación

Josep M^a Guiu: Director del Área de Farmacia y del Medicamento del Consorci de Salut i Social de Catalunya

Equipo de soporte metodológico y redactor

Petri- Laboratorio de Ideas S.L.

- **Marcos Guerra Fernández:** Socio Director.
- **Rodrigo Gómez Ruiz:** Socio Director.
- **Inés Domínguez Fernández:** Consultora Senior.
- **Elena Martínez Fernández:** Consultora Senior.



Con el apoyo de:



Bibliografía

Ministerio de Ciencia e Innovación. (2024, marzo). Sociedad mercantil terapias avanzadas. Gobierno de España. <https://www.ciencia.gob.es/Noticias/2024/marzo/sociedad-mercantil-terapias-avanzadas.html>

Ministerio de Sanidad, Consumo y Bienestar Social. (2018). Plan de abordaje de las terapias avanzadas en el Sistema Nacional de Salud: Medicamentos CAR. https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/infoMedicamentos/terapiasAvanzadas/docs/Plan_Abordaje_Terapias_Avanzadas_SNS_15112018.pdf

Díario Farma. (2024, 10 de julio). España, líder en fabricación de fármacos: El nuevo reto, producir en terapias avanzadas. <https://diariofarma.com/2024/07/10/espana-lider-en-fabricacion-de-farmacos-el-nuevo-reto-producir-en-terapias-avanzadas>

AseBio. (2024, 14 de marzo). La sociedad mercantil de terapias avanzadas, una oportunidad para aprovechar las capacidades de desarrollo y producción españolas en un mercado global y altamente competitivo. <https://www.asebio.com/actualidad/noticias/sociedad-mercantil-terapias-avanzadas-espana-capacidades-industria>

Ministerio de Sanidad. (2022, 15 de julio). Informe de seguimiento de la Dirección General de Cartera Común de Servicios del Sistema Nacional de Salud (SNS) y Farmacia sobre el Plan para el abordaje de las terapias avanzadas en el SNS. https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/infoMedicamentos/terapiasAvanzadas/docs/20220715_infor_ms_seg_plan_terapias_avanzadas_sns.pdf

Punzano, D. (2023, 8 de junio). Nueve CCAA crean consejos asesores para el desarrollo de terapias avanzadas. Redacción Médica. <https://www.redaccionmedica.com/secciones/hematologia-y-hemoterapia/nueve-ccaa-crean-consejos-asesores-para-el-desarrollo-de-terapias-avanzadas-8863>

Leunda, J. (2023, 31 de julio). Las terapias avanzadas en España: una innovadora y creciente apuesta sanitaria de las CC.AA. ConSalud.es. https://www.consalud.es/autonomias/terapias-avanzadas-en-espana-innovadora-creciente-apuesta-sanitaria-ccaa_132491_102.html

AseBio. (2023, 23 de mayo). AseBio presenta el 'Mapa de capacidades de terapias avanzadas de la industria biotecnológica' en España. <https://asebio.com/actualidad/noticias/asebio-presenta-el-mapa-de-capacidades-de-terapias-avanzadas-de-la-industria>

AseBio. (2021, 7 de abril). España lidera la investigación en terapias avanzadas con casi 120 ensayos clínicos. <https://www.asebio.com/actualidad/noticias/espana-lidera-la-investigacion-en-terapias-avanzadas-con-casi-120-ensayos>

Comunidad de Madrid. (2022, 4 de febrero). La Comunidad de Madrid estrenará antes de verano un plan para impulsar la investigación y la accesibilidad de los pacientes a los medicamentos de terapias avanzadas en España. https://www.consalud.es/autonomias/terapias-avanzadas-en-espana-impulsar-terapias-avanzadas-sns_3926050

pulsar la investigación y la accesibilidad de los pacientes a los medicamentos de terapias avanzadas. <https://www.comunidad.madrid/noticias/2022/02/04/comunidad-madrid-estrenara-antes-verano-plan-impulsar-investigacion-accesibilidad-pacientes-medicamentos-terapias-avanzadas>

Red de Terapia Celular (TerCel). (2019). Libro Blanco de la Terapia Celular en España. Instituto de Salud Carlos III.

Ministerio de Ciencia e Innovación. (2021). Plan Estatal de Investigación Científica, Técnica y de Innovación (PEICTI). Gobierno de España. <https://www.ciencia.gob.es/Estrategias-y-Planes/Planes-y-programas/PEICTI.html>

Haro, J. (2023, 14 de diciembre). Tendencias globales en terapias avanzadas. Institut d'Investigació i Innovació Parc Taulí. <https://www.tauli.cat/es/institut/actualitat/vigilancia-tecnologica/2023/12/tendencias-globales-en-terapias-digitales/>

NewsRare. (2021, 16 de noviembre). Terapias avanzadas y enfermedades raras: Elementos esenciales para la promoción de un acceso más ágil y equitativo al mercado. <https://newsrare.es/articulos/en-profundidad/terapias-avanzadas-y-enfermedades-raras-elementos-esenciales-para-la-promocion-de-un-acceso-mas-agil-y-equitativo-al-mercado/>

Poveda Andrés, J. L., & Valero García, S. (2021). Fabricación de medicamentos de terapias avanzadas en los Servicios de Farmacia Hospitalaria: ¿empezamos? Revisa de la OFIL, 31(1), 9-10.

Urbano, A. (2024, 26 de abril). El modelo CAR-T académico español marcará la equidad en terapias avanzadas. Redacción Médica. <https://www.redaccionmedica.com/opinion/alvaro-urbano-8481/el-modelo-car-t-academico-espanol-marca-la-equidad-en-terapias-avanzadas-8424>

Farmaindustry. (2024, 27 de junio). Radiografía de la llegada de medicamentos innovadores a España: el 62% de los autorizados en Europa está disponible, pero se acumulan 22 meses de retraso.

Ministerio de Ciencia, Innovación y Universidades. (2023, 13 de diciembre). Conoce el Consorcio CERTERA para el desarrollo de medicamentos y terapias avanzadas en el PERTE de Salud. Plan de Recuperación. <https://plande-recuperacion.gob.es/noticias/conoce-consorcio-CERTERA-desarrollo-medicamentos-terapias-avanzadas-perteneciente-prtr>

Servimedia. (2023, 19 de septiembre). Las asociaciones de pacientes denuncian falta de voluntad política para facilitar el acceso a las terapias avanzadas en España. <https://www.servimedia.es/noticias/asociaciones-pacientes-denuncian-falta-voluntad-politica-facilitar-acceso-terapias-avanzadas-espana/3926050>

Fundación Instituto Roche. (2020). Anticipando 2020: Terapias avanzadas: terapia celular y terapia génica. https://www.institutoroche.es/static/archivosInformes_anticipando_2020_TERAPIAS_AVANZADAS_RGB.pdf

Instituto de Salud Carlos III. (2023, 4 de diciembre). El ISCIII financia con 45 millones el desarrollo de CERTERA, una infraestructura científica en red para impulsar en España las terapias avanzadas. <https://bnccs.isciii.es/web/guest/w/el-isciii-financia-con-45-millones-el-desarrollo-de-certe-ra-una-infraestructura-cientifica-en-red-para-impulsar-en-espana-las-terapias-avanzadas-1>

RedTerav. (n.d.). Grupos de investigación. <https://www.redterav.es/redterav/grupos.jsf?ca=17>

Biocat. (2023, 18 de junio). Oportunidad y retos del futuro hub de terapias avanzadas en Cataluña. <https://www.biocat.cat/es/actualidad/insights-articles/oportunidad-y-retos-del-futuro-hub-de-terapias-avanzadas-en-cataluna>

Asebio. (2024, 20 de febrero). LivingCells, la primera bioincubadora en España especializada en terapias avanzadas. <https://www.asebio.com/actualidad/noticias/livingcells-la-primer-bioincubadora-en-espana-especializada-en-terapias>

Asebio. (2024, 3 de junio). Biotecnología y terapias avanzadas: nuevas tecnologías en el mercado español. <https://www.asebio.com/actualidad/noticias/biotecnologia-terapias-avanzadas-nuevas-tecnologias-mercado-espa%C3%A9B1ol>

Consejería de Salud. (2018). I+I Estrategia de investigación e innovación en salud Andalucía. https://www.junta-deandalucia.es/export/drupalida/Estrategial+i_v5.pdf

Consejería de Salud y Familias. (2023). Plan de medicina personalizada y precisión 2023-2027. <https://www.junta-deandalucia.es/sites/default/files/2023-10/3.1.2.%20Plan%20medicina%20personalizada%20y%20precisi%C3%B3n%202023-2027.pdf>

Consejería de Salud y Familias. (2018). Estrategia y Plan Comité Rector. <https://www.sspa.juntadeandalucia.es/terapiasavanzadas/images/Estrategia%20y%20Plan%20Comit%C3%A9A9%20Rector.pdf>

Consejería de Sanidad. (2023). Plan Integral de Enfermedades Raras de Castilla y León (PIERCyL) 2023-2027. <https://www.saludcastillayleon.es/institucion/es/piercyficheros/2510285-PLAN%20INTEGRAL%20ENFERMEDADES%20RARAS%20DE%20CASTILLA%20Y%20LE%C3%93N%20PIERCyL%29%202023-2027.pdf>

Consejería de Sanidad. (2024, 17 de agosto). Grupo de investigación en terapia regenerativa osteoarticular. <https://www.saludcastillayleon.es/HRHortega/en/actualidad/grupo-investigacion-terapia-regenerativa-osteoaarticular-cas.files/2817806-2027-08-17%20Terapia%20Regenerativa%20DIARIO%20DE%20LE%C3%93N%20PIERCyL%29%202023-2027.pdf>

Asebio. (2022). Dossier sobre terapias avanzadas. https://www.asebio.com/sites/default/files/2022-10/DOSSIER_TERAPIAS_AVANZADAS_ASEBIO_2022.pdf

[TERAPIA_VF_0.pdf](#)

Agencia Española de Medicamentos y Productos Sanitarios. (n.d.). Terapias avanzadas. <https://aelmu.es/terapias-avanzadas/>

Biocat. (2023). Hub de terapias avanzadas y emergentes de Cataluña: plan de acción. <https://www.biocat.cat/es/publicaciones/hub-de-terapias-avanzadas-y-emergentes-de-cataluna-plan-de-accion>

Parque Científico de Barcelona. (2024, 11 de julio). Arranca PRECISEU, un macroproyecto para impulsar la medicina personalizada y las terapias avanzadas en Europa. <https://www.pcb.ub.edu/es/arranca-preciseu-un-macroproyecto-para-impulsar-la-medicina-personalizada-y-las-terapias-avanzadas-a-europa/>

Parque Científico de Barcelona. (2024, 11 de junio). Pistoletazo de salida a la Red de Terapias Avanzadas de Cataluña. <https://www.pcb.ub.edu/es/pistoletazo-de-salida-a-la-red-de-terapias-avanzadas-de-cataluna/>

Consejería de Sanidad. Comunidad de Madrid. (2019). Ruta asistencial para la administración y seguimiento de las terapias CAR-T en la Comunidad de Madrid. https://www.hematologiamadrid.org/images/stories/recursos/noticias/CANDIDATO_A_CAR_T_2019.pdf

Comunidad de Madrid. (2022, 4 de febrero). La Comunidad de Madrid estrenará antes de verano un plan para impulsar la investigación y la accesibilidad de los pacientes a los medicamentos de terapias avanzadas. <https://www.comunidad.madrid/noticias/2022/02/04/comunidad-madrid-estrenara-antes-verano-plan-impulsar-investigacion-accesibilidad-pacientes-medicamentos>

Gobierno Vasco. (n.d.). RIS3 Euskadi. <https://www.bioef.eus/es/ris3-euskadi/>

Eleconomista. (2022, 25 de mayo). Ser referente en terapias avanzadas, objetivo de Basque Advanced Therapies. <https://www.economista.es/salud/noticias/11778000/05/22/Ser-referente-en-terapias-avanzadas-objetivo-de-Basque-Advanced-Therapies.html>

GANTT. (n.d.). Gipuzkoa Advanced New Therapies Territory. <https://www.gantt.eus/es/>

El Global Farma. (2023, 23 de mayo). España lidera el desarrollo de terapias avanzadas con la puesta en marcha de más de 100 ensayos por año. <https://elglobalfarma.com/industria/espana-lidera-el-desarrollo-de-terapias-avanzadas-con-la-puesta-en-marcha-de-mas-de-100-ensayos-por-año/>

Ministerio de Sanidad. (2014). El Gobierno regula la autorización de medicamentos de terapia avanzada de fabricación no industrial. <https://www.sanidad.gob.es/gabinete/notasPrensa.do?id=3324>

Biocat. (2024, 15 de mayo). Cataluña ocupa el 5º lugar en Europa y el 8º en el mundo en ensayos clínicos. <https://www.biocat.cat/es/sala-de-prensa/notas-de-prensa/cataluna-ocupa-el-5o-lugar-en-europa-y-el-8o-en-el-mun>

do-en-ensayos

European Medicines Agency. (n.d.). Guidelines relevant for advanced therapy medicinal products. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview/guidelines-relevant-advanced-therapy-medicinal-products>

Dirección General de Salud y Seguridad Alimentaria. (2019, 16 de octubre). Guidelines on Good Clinical Practice (GCP) specific to Advanced Therapy Medicinal Products (ATMP). Comisión Europea. https://health.ec.europa.eu/latest-updates/guidelines-good-clinical-practice-gcp-specific-advanced-therapy-medicinal-products-atmp-2019-10-16_en

European Commission. (2017, 22 de noviembre). Guidelines of 22.11.2017 Good Manufacturing Practice for Advanced Therapy Medicinal Products. https://health.ec.europa.eu/document/download/ad33d9dd-03f0-4bef-af53-21308ce2187d_en

European Medicines Agency. (2017, 26 de enero). Good laboratory practice (GLP) principles in relation to advanced therapy medicinal products (ATMPs). https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/good-laboratory-practice-glp-principles-relation-advanced-therapy-medicinal-products-atmps_en.pdf

European Medicines Agency. (2024, 10 de enero). Marketing authorisation procedures for advanced therapy medicinal products. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/marketing-authorisation/advanced-therapies-marketing-authorisation/marketing-authorisation-procedures-advanced-therapy-medicinal-products>

European Medicines Agency. Pharmacovigilance for advanced therapies. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/post-authorisation/advanced-therapies-post-authorisation/pharmacovigilance-advanced-therapies>

European Medicines Agency. Support for advanced therapy developers. <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory-overview/advanced-therapy-medicinal-products-overview/support-advanced-therapy-developers>

Alliance for Regenerative Medicine. (2019). Trends in clinical trials. [https://alliancerm.org/wp-content/uploads/2019/10/Trends-in-Clinical-Trials-2019-Final_Digital.pdf\[4\]](https://alliancerm.org/wp-content/uploads/2019/10/Trends-in-Clinical-Trials-2019-Final_Digital.pdf[4])

Alliance for Regenerative Medicine. (2024). Sector snapshot. <https://alliancerm.org/sector-snapshot-august-2024/>

Alliance for Regenerative Medicine. (2024). Trials Final Q2 24. https://alliancerm.org/wp-content/uploads/2024/08/Trials_Final_Q2_24.pdf

