

A vertical strip on the left side of the page features a blue background with white circles of various sizes. Overlaid on this are three circular cutouts of glassware: a large one at the top, a medium one in the middle, and a small one at the bottom. The glassware appears to be filled with a liquid, possibly water or a beverage, and the lighting creates reflections and highlights on the glass surfaces.

Reptes i  
oportunitats  
en l'era de  
les **teràpies  
avançades** a  
Espanya

---

Amb el suport de



LABORATOIRES

**Pierre Fabre**

2025, Consorci de Salut i Social de Catalunya  
Edita: Consorci de Salut i Social de Catalunya  
Primera edició: Barcelona, 2025

Coordinació: Josep M. Guiu Segura, Director de l'Àrea de Farmàcia i del Medicament del Consorci de Salut i Social de Catalunya

Avis legal: Els continguts d'aquest informe estan subjectes a una llicència de reconeixement -No comercial- sense obres derivades 4.0 de Creatives Commons. Es permet la reproducció, distribució o comunicació pública sempre que se citi l'autor i no es faci un ús comercial.

La llicència es pot consultar a:

<http://creativecommons.org/licenses/by-nc-nd/4.0/deed.es>



# índex

---

---

4 Introducció

---

6 Metodologia

---

10 Dimensions d'anàlisi i  
situació actual

---

35 Futur de les Teràpies  
Avançades a Espanya

---

50 Iniciatives prioritàries i  
propostes de pla d'acció

---

65 Conclusions

---

68 Annex

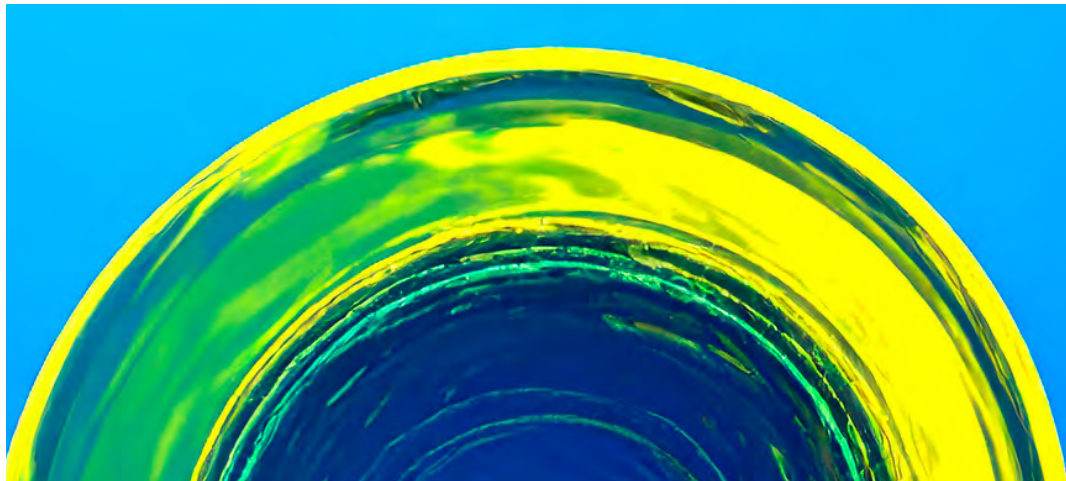
# 1.

## Introducció

---

**Les teràpies avançades constitueixen un paradigma emergent en la medicina, proporcionant estratègies terapèutiques innovadores com la teràpia gènica, cel·lular i tissular per al tractament de malalties d'elevada complexitat i sovint sense opcions terapèutiques efectives. Espanya s'ha consolidat com un referent internacional en aquest àmbit, ocupant la cinquena posició a nivell mundial en producció científica sobre teràpia cel·lular en relació amb el seu producte intern brut (PIB) i destacant per el seu lideratge en el número d'assajos clínics en desenvolupament.**

El Pla d'Abordatge de Teràpies Avançades en el Sistema Nacional de Salut, que compleix sis anys, ha estat fonamental per el progrés en aquest àmbit, permetent tractar a 1.406 pacients amb teràpies CAR-T fins a maig de 2024. No obstant això, el sistema de salut s'enfronta a desafiaments significatius, incloent-hi la necessitat de major inversió, l'agilitació de processos i l'ampliació de les capacitats de producció.



Per a consolidar i enfortir la seva posició de lideratge en l'àmbit de les teràpies avançades, Espanya està impulsant l'actualització del seu pla estratègic en aquest camp. Entre els seus objectius s'inclouen l'expansió de la xarxa de centres acreditats, la incorporació de noves indicacions terapèutiques i el foment de la col·laboració entre institucions acadèmiques i la indústria. Iniciatives com el PERTE de Salut d'Avantguarda i projectes com PRECISA i TERA FRONT estan orientats a promoure la innovació i el desenvolupament en una àrea clau per al futur de la medicina personalitzada.

En aquest context, el Consorci de Salut i Social de Catalunya, en línia amb la seva missió de promoure models de salut i atenció social excel·lents i sostenibles, orientats a millorar la qualitat de vida de les persones, desenvolupa aquest projecte amb l'objectiu de contribuir a l'avanç en la gestió de les teràpies avançades. Per a això, es centra en la identificació dels reptes i oportunitats tant per al sistema de salut com per a l'atenció sanitària.

Per part seva, Laboratoris Pierre Fabre, compromesos amb el desenvolupament de les teràpies avançades i la sostenibilitat del sistema de salut, participen activament en aquesta iniciativa. La seva contribució no es limita al suport del projecte, sinó que exerceixen un paper clau, com a socis estratègics en el seu desenvolupament. En aquest marc es busca definir possibles accions que permetin abordar els desafiaments actuals i fomentar l'adopció i implementació d'aquestes teràpies innovadores a Espanya.

Com a resultat d'aquest projecte, s'ha elaborat el present document de consens, fruit del treball i la implicació d'un ampli grup d'experts multidisciplinaris de diverses Comunitats Autònomes d'Espanya. En aquest document s'analitza l'estat actual de les teràpies avançades en el país, s'identifiquen els seus principals reptes, obstacles i oportunitats, i es proposen diferents línies d'acció, tant específiques com escalables, orientades a accelerar la seva implementació i adopció en el sistema de salut.



## 2.

# Metodologia

**Per aconseguir els objectius plantejats, aquest projecte es va estructurar en tres fases metodològiques, la qual cosa va permetre obtenir una visió integral de l'estat actual de les teràpies avançades a Espanya, així com dels seus principals reptes, oportunitats i perspectives futures en termes de gestió i implementació.**

Al llarg de tot el desenvolupament del projecte, es va comptar amb la participació d'un grup multidisciplinari d'experts, els qui, des de les seves respectives àrees de coneixement i experiència, van contribuir a la identificació dels principals desafiaments i a la definició de solucions i línies d'acció orientades a abordar-los de manera efectiva.

	Actuacions		Resultat
Fase 1 <b>Anàlisi de la situació actual</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Revisió bibliogràfica</li> <li>• 6 entrevistes a professionals</li> <li>• Qüestionari estructurat a experts</li> </ul>	»	<b>Informe de situació de les teràpies avançades en el SNS</b>
Fase 2 <b>Definició del model de futur</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Jornada d'innovació amb un grup d'experts multidisciplinaris amb l'objectiu de:</li> <li>• Validar i prioritzar reptes</li> <li>• Idear línies d'acció i solucions</li> </ul>	»	<b>Reflexió estratègica sobre el futur de les teràpies avançades en Espanya</b>
Fase 3 <b>Elaboració del document de consens</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Redacció, validació i presentació del document final del consens</li> </ul>	»	<b>Informe final de consens</b>

Amb l'objectiu d'obtenir una visió completa de les teràpies avançades, per el desenvolupament del projecte es van identificar sis àrees d'anàlisi que emmarcaran i guiaran totes les fases. Aquestes són:

1. **Marc regulador**
2. **Avaluació**
3. **Finançament i compra innovadora**
4. **Àmbit clínic, accés i recursos**
5. **Tecnologia i innovació**
6. **Recerca i desenvolupament**

---

## Fase 1. Anàlisi de la situació actual

Durant la primera fase del projecte l'objectiu principal va ser caracteritzar la situació actual de les teràpies avançades en l'àmbit nacional, tenint en compte també best practices a escala internacional, per tal de:

Desenvolupar un anàlisi bibliogràfica a través de fonts d'informació nacionals i internacionals que van emmarcar de manera teòrica la situació de partida, determinant de manera preliminar reptes i barreres, i identificant iniciatives d'èxit nacionals (per Comunitat Autònoma) i internacionals.

De manera paral·lela, es van dur a terme sis entrevistes a experts pertanyents a diferents àmbits del SNS, els qui, mitjançant la seva visió i dilatada experiència, van aportar un diagnòstic sobre la realitat actual de les teràpies avançades al nostre país en cadascuna de les àrees d'anàlisi.

Sobre la base de la informació recopilada, es va elaborar un qüestionari estructurat amb l'objectiu d'identificar de manera definitiva els reptes que presenten les teràpies avançades a Espanya. Aquest formulari va ser respost pels 13 professionals que formarien el grup de treball expert en la jornada d'innovació.

---

## Fase 2. Definició del model futur

La segona fase d'aquest projecte es va desenvolupar en el marc d'una sessió de treball organitzada en el Consorci de Salut i Social de Catalunya, en la qual van participar tretze experts procedents de diferents àmbits sanitaris i Comunitats Autònomes, amb l'objectiu de definir iniciatives estratègiques per a la gestió de les teràpies avançades.

Durant aquesta sessió, que va tenir una durada de quatre hores, es va presentar l'anàlisi de la situació actual i els reptes prèviament identificats en cadascuna de les dimensions avaluades. Això va permetre als participants realitzar una reflexió estratègica, consensuar i validar aquests desafiaments, i prioritzar sis d'ells per al seu posterior desenvolupament.

Una vegada definits els reptes prioritaris, els tretze experts es van organitzar en dos grups de treball, la qual cosa va facilitar el debat sobre les línies d'acció escalables a nivell nacional. A més, es van analitzar factors que podrien accelerar la implementació d'aquestes estratègies, així com possibles barreres que podrien dificultar la gestió, adopció i integració de les teràpies avançades en el sistema sanitari.

Posteriorment, es va elaborar un formulari de prioritització que va ser enviat als tretze participants per tal d'avaluar les 42 iniciatives, en funció del seu impacte esperat i factibilitat. Aquest procés va permetre identificar les línies estratègiques amb major potencial per a transformar el model d'incorporació de les teràpies avançades en l'SNS.

---

### Fase 3. Elaboració del document de consens

Amb els resultats obtinguts, es va realitzar un document de consens per definir les línies estratègiques i d'acció, que haurien d'impulsar el model futur d'implementació, gestió i abordatge de les teràpies avançades a Espanya.

---

## Autors del document

Aquest document de consens s'ha desenvolupat sota la coordinació del Consorci de Salut i Social de Catalunya, comptant amb la participació de diferents experts d'àmbits multidisciplinaris del Sistema Nacional de Salut.

Trobarà el llistat de participants i autors en l'Annex.

---

## Participants de la entrevista

**Juan Eduardo Mejías:** Responsable de l'Oficina Autònoma de Medicina Predictiva, Personalitzada i Teràpies Avançades de la Comunitat Valenciana.

**Benigno Rosón:** Subdirector general de Sistemes i Tecnologies de la Informació de la Conselleria de Sanitat, Xunta de Galícia.

**Sandra Fontanals:** Cap del Servei de Farmàcia Hospitalària del Institut Català d'Oncologia (ICO).

**Elena Casaus:** Cap de divisió de la Unitat de Teràpies Avançades de la Direcció General d'Investigació, Docència i Documentació del Servei Madrileny de Salut.

**Antonio Pérez:** Cap del Servei de Hemato-oncologia Pediàtrica de l'Hospital Universitari La Paz.

**Isabel Pineros:** Directora del Departament d'Accés de Farma-indústria.

---

## Participants de la jornada d'innovació

**Flora Pérez:** Cap de Servei de Gestió Farmacèutica del Servei Càntabre de Salut.

**Joan Vinent:** Cap de la Unitat de Farmàcia Oncològica. Hospital Sant Joan de Déu de Barcelona.

**Carla Alonso:** Farmacèutica hospitalària a l'Hospital Universitari Vall d'Hebron. Especialista en Hemato-oncologia i Teràpies Avançades.

**Carlos Crespo:** Cap de Servei de Farmàcia Hospitalària de l'Àrea Sanitària de Pontevedra i O Salnés. Servei Galleg de Salut.

**Vicente Escudero:** Farmacèutic adjunt de la Unitat d'Onco-hematologia de l'Hospital General Universitari Gregorio Marañón de Madrid.

**Nekane Murga:** Directora de Planificació, Ordenació i Avaluació Sanitària del Departament de Salut del País Basc.

**Ana Rubio:** Coordinadora de l'Àrea de Farmàcia del Servei de Salut de Castella-La Mancha.

**Vicente Arocas:** Coordinador regional de Teràpies Avançades en la Conselleria de Salut de la Regió de Murcia.

**Nuria Gavaldà:** Directora d'Estratègia i Innovació en el Banc de Sang i Teixits del Departament de Salut de Catalunya.

**Álvaro Roca:** Director de market access i public affairs de Pierre Fabre Espanya.

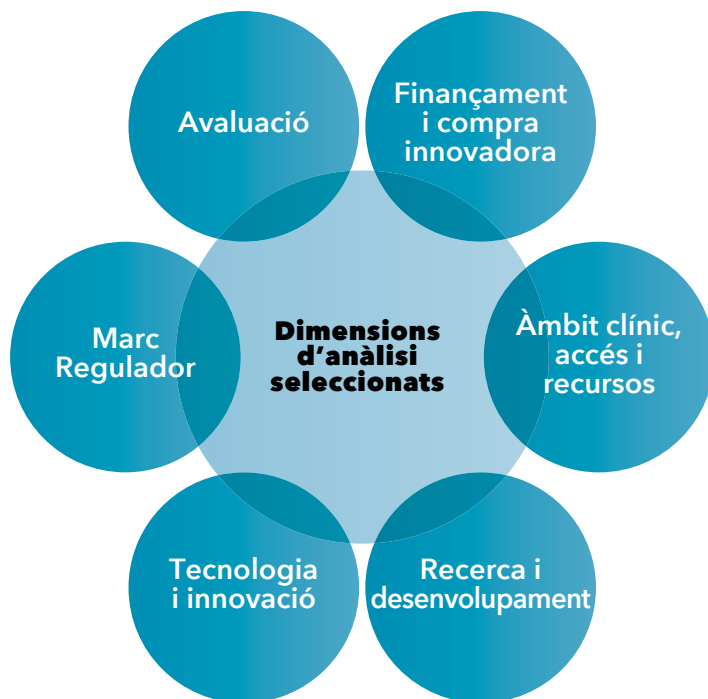
**Rubén Moreno:** Exsecretari general de Sanitat i Consum del Sistema Nacional de Salut.

**Josep Maria Guiu:** Director de l'Àrea de Farmàcia i del Medicament del Consorci de Salut i Social de Catalunya.

**Virginia García:** Farmacèutica de l'Àrea de Farmàcia i Medicament del Consorci de Salut i Social de Catalunya.

# 3.

## Dimensions d'anàlisi i situació actual



**Amb l'objectiu de definir i caracteritzar la situació actual de les teràpies avançades i poder establir el model futur, es van establir sis dimensions d'anàlisi. Aquests àmbits d'estudi van ser:**

### A escala nacional

Les teràpies avançades, i en particular les teràpies amb cèl·lules CAR-T, han experimentat un desenvolupament significatiu en el Sistema Nacional de Salut (SNS) en els últims anys. Des de la implementació del Pla d'Abordatge de les Teràpies Avançades en 2018, Espanya s'ha consolidat com un dels països líders a Europa en l'aplicació d'aquestes innovadores estratègies terapèutiques.

Aquest pla ha facilitat la designació de 28 centres de referència distribuïts per tot el territori nacional per a l'administració de teràpies CAR-T, la qual cosa ha permès duplicar la capacitat inicial. Aquestes teràpies han demostrat una alta eficàcia en el tractament de diverses malalties, especialment en neoplàsies oncohematològiques, oferint noves perspectives terapèutiques a pacients amb opcions prèvies limitades.

No obstant, el ràpid avanç en aquest camp planteja nous desafiaments. Un dels principals reptes és la necessitat d'optimitzar l'accés a aquestes teràpies, atès que aproximadament un 15% dels pacients no arriba a rebre el tractament degut als temps d'espera. Així mateix, s'observa un desajust entre el lideratge d'Espanya, quant a recerca i l'aplicació clínica efectiva d'aquestes innovacions, la qual cosa subratlla la necessitat d'enfortir la integració entre la generació del coneixement i la seva translació a la pràctica assistencial.

\* »El 91% dels experts consultats consideren que les teràpies avançades presenten reptes que és precís abordar a curt termini per assegurar i accelerar la seva correcta implementació i desenvolupament en Espanya. A més, el 100% creu que són un àmbit clau en el qual el SNS deu invertir esforços per l'optimització de l'assistència sanitària a curt termini.

Font: pròpia. Enquesta d'estat de situació.

## Marc regulador

\* El 75% dels experts participants en aquest projecte consideren prioritari abordar els desafiaments reguladors per a millorar i agilitzar la implementació, l'ús i el desenvolupament nacional.

Font: pròpia. Enquesta d'estat de situació.

En el context de les teràpies avançades, el marc legal el constituïa el **Reglament (CE) N.º 1394/2007 i el Reial Decret Legislatiu 1/2015**, de 24 de juliol, que transfonen la Directiva 2001/83/CE del Parlament Europeu i del Consell, de 6 de novembre de 2001, per la que s'estableix un codi comunitari sobre medicaments per a ús humà.

El **Reglament (CE) N.º 1394/2007** estableix les bases per la regulació dels medicaments de teràpia avançada, que inclouen teràpia cel·lular, teràpia gènica i enginyeria de teixits. Els seus principals aspectes són:

- Definir els tipus de medicaments de teràpia avançada.
- Establir els requisits de qualitat, seguretat i eficàcia per la seva autorització.
- Crear un Comitè de Teràpies Avançades en l'Agència Europea de Medicaments.
- Introduir la clàusula d'exempció hospitalària per productes no industrials.


El **Reial Decret Legislatiu 1/2015** transfereix la Directiva 2001/83/CE i incorpora les disposicions sobre medicaments de teràpia avançada. Els seus punts més rellevants són:

- Regular l'autorització, registre i condicions de dispensació d'aquests medicaments.
- Establir els requisits per la seva fabricació industrial.
- Determinar les competències de l'Agència Espanyola de Medicaments i Productes Sanitaris.

Totes dues normatives busquen garantir els més alts estàndards de qualitat, seguretat i eficàcia per a aquests medicaments innovadors, alhora que promouen la recerca i el desenvolupament en aquest camp.

En relació amb la fabricació, cal tenir en compte altres normatives com l'RD 477/2014, de 13 de juny de 2014, pel qual es regula l'autorització de medicaments de teràpia avançada de fabricació no industrial, seguint el que s'estableix en el Reglament europeu 1394/2007 sobre ATMPs

Malgrat que en l'actualitat, les teràpies avançades són un dels camps clau de desenvolupament, a nivell nacional tan sols les teràpies tipus CAR-T posseeixen una estratègia operativa d'adopció i ús. El document *Pla per a l'abordatge de les teràpies avançades en l'SNS: medicaments CAR-T*, neix en 2018 amb l'objectiu d'impulsar el desenvolupament i implementació eficaç d'aquestes teràpies innovadores, creant un marc regulador i estratègic específic, dissenyat per a garantir la seguretat, eficàcia i accessibilitat als tractaments CAR-T.

 Per tot això, el 75% dels experts participants considera "imprescindible" o "molt necessari" el desenvolupament d'un marc regulador nacional.

En línia amb aquesta afirmació, el 66,7% dels membres del grup d'experts considera que la legislació sanitària a Espanya (a nivell general) alenteix o, inclús, dificulta l'adopció de certes teràpies avançades derivada d'aspectes com:

1. **La inadaptació de les normatives al moment actual de les teràpies avançades.**
2. **La falta d'agilitat en els processos burocràtics.**
3. **La necessitat d'adaptar la legislació a les característiques pròpies de les teràpies avançades.**

En línia amb la centralització de la regulació, i amb l'objectiu d'agilitzar el procés d'implementació i aprovació de les teràpies avançades, un elevat percentatge d'experts (el 66,7%) mostra un alineament amb la necessitat de promoure estructures en les que es necessari involucrar agents clau que centralitzin els processos i coordinin la regulació a nivell nacional. Alguns dels organismes que deuen participar en el desenvolupament d'aquest nou marc normatiu son:

1. **Administracions públiques centrals i autonòmiques.**
2. **Societats científiques.**
3. **Centres d'investigació i desenvolupament.**
4. **Gestors hospitalaris.**
5. **Professionals assistencials.**
6. **Col·legis professionals.**

---

## Avaluació



**El 75% dels experts enquestats afirma que l'avaluació és un dels àmbits en els quals les teràpies avançades presenten més desafiaments.**

Font: pròpia. Enquesta d'estat de situació.

La recent irrupció dels nous medicaments de teràpies avançades d'ús humà ha suposat un nou repte per als farmacèutics d'hospital, professionals experts en la seguretat i qualitat dels medicaments, i amb competències en totes les etapes del procés farmacoterapèutic: selecció, elaboració, adquisició, conservació, custòdia, dispensació, seguiment clínic i investigació.

Aquests MTA presenten unes característiques intrínseques que els fan especials i diferents a la resta de medicaments: són medicaments d'alt impacte econòmic i sanitari, finançats amb model de risc compartit, pagat per resultats i que precisen de condicions de conservació i requeriments de qualitat específics, el que ha suposat un repte en l'adaptació de la farmàcia hospitalària.

**\* En aquesta línia de pensament, el 74,9% dels experts participants considera que és necessari generar sistemes estandarditzats i més senzills que permetin agilitzar i simplificar els procediments d'avaluació.**

Font: pròpia. Enquesta d'estat de situació.

Aquesta nova forma terapèutica ha suposat que tinguem que redissenyar el nostre mètode d'avaluació, tenint en compte els nous indicadors, amb l'objectiu de valorar factors tan importants com la seva seguretat, qualitat, aportació de valor o impacte en vida real.

La irrupció de les teràpies avançades ha significat un important desafiament per a les agències reguladores i també pels professionals implicats en l'avaluació de medicaments. Conscient d'allò, la EMA establí en 2009 el *Committee for Advanced Therapies* (CAT) per a l'avaluació inicial dels MTA. Aquest comitè està compost per experts en teràpia gènica, teràpia cel·lular, teràpia tissular, biotecnologia, ètica, farmacovigilància, gestió de riscos, dispositius mèdics o cirurgia.

**\* No obstant això, a nivell nacional, el 58,3% dels experts considera necessària la creació de nous organismes tant a nivell centralitzat (33,3%) com a autonòmic (16,7%). D'altra banda, el 33,3% considera important prioritzar els ja existents amb l'objectiu d'agilitzar i impulsar la coordinació nacional en els àmbits d'avaluació i mesurament de resultats.**

Font: pròpia. Enquesta d'estat de situació.

En opinió del grup de treball, les principals barreres a les que ens enfrontem en l'àmbit de l'avaluació i mesurament de resultats són:

1. **Falta de models i protocols d'avaluació innovadors adaptats.**
2. **Falta d'eines tecnològiques que permetin realitzar-la de forma eficaç i eficient.**
3. **Existència de protocols de revaluació autonòmica que alenteixin la gestió.**
4. **Necessitat d'identificar indicadors apropiats i específics i que tinguin en compte la veu del pacient.**
5. **Falta de cultura de l'avaluació de resultats.**

---

## Finançament i compra innovadora

**\* El 91,7% afirma que el finançament i compra innovadora és el principal àmbit en el que les teràpies avançades presenten més desafiaments.**

Font: pròpia. Enquesta d'estat de situació.

El finançament i compra innovadora de teràpies avançades a Espanya es troba en un moment crucial de desenvolupament.

El país es posiciona com un referent en investigació i assajos clínics d'aquestes teràpies innovadores, especialment en el camp de les CAR-T. En els últims anys, s'han implementat iniciatives governamentals significatives per a impulsar el desenvolupament, producció i accés a aquestes teràpies, buscant aprofitar el potencial de la indústria biotecnològica espanyola i millorar l'atenció sanitària.

No obstant això, el panorama actual presenta tant oportunitats com desafiaments, incloent la necessitat d'adaptar, actuar i crear nous models d'avaluació i finançament per a garantir la sostenibilitat del sistema sanitari i l'accés dels pacients a aquests tractaments innovadors.

La creació d'infraestructures pel desenvolupament i aplicació de les teràpies avançades comporta un impacte econòmic significatiu en el Sistema Nacional de Salut (SNS). Segons alguns experts en l'àmbit, s'estima que per 2025 les agències reguladores aprovaran entre 10 i 20 teràpies gèniques i cel·lulars per any.

**\* En aquest sentit, el 83,3% dels experts considera que els models de finançament actuals per a les teràpies avançades no són sostenibles per el SNS.**

Font: pròpia. Enquesta d'estat de situació.

Actualment de les 26 teràpies avançades disponibles en la Unió Europea només hi ha 7 disponibles en el Sistema Nacional de Salut, per la qual cosa és precís agilitzar i actualitzar els marcs organitzatius i normatius per facilitar l'accés a aquestes teràpies.

Els principals reptes que el grup d'experts ha identificat relacionats amb el camp de l'avaluació i finançament s'orienten a:

- 1. La necessitat de mesurar de forma efectiva el valor que una nova teràpia pot aportar al sistema amb l'objectiu de prioritzar i ser més sostenibles. El 91,6% considera que l'establiment de biomarcadors que defineixin l'aportació de valor d'una nova teràpia avançada i, per tant, la seva prioritat de finançament nacional, podrien ajudar a millorar la sostenibilitat del sistema.**
- 2. La necessitat de definir nous models estandarditzats i aprovats pel SNS pel finançament de teràpies innovadores.**
- 3. Disminuir la iniquitat en el potencial i poder finançador de les teràpies avançades entre CA i, inclús, centres hospitalaris.**
- 4. Agilitzar el procés de finançament i entrada al mercat de les noves teràpies.**

Com una de les principals iniciatives desenvolupades a nivell nacional amb l'objectiu d'ajudar en el finançament de les teràpies avançades, destaca la creació de la Societat Mercantil de teràpies avançades, un nou projecte de col·laboració pública-privada dedicat a desenvolupar i comercialitzar medicaments, teràpies i tecnologies avançades, innovadores o emergents en l'àmbit sanitari, provinents dels resultats de grups d'investigació espanyoles, punters en les seves àrees.

**\* El 83,3% considera que la creació de noves organitzacions com la Societat Mercantil de teràpies avançades o el Consorci CERTERA ofereix oportunitats per agilitzar el finançament de les teràpies avançades a Espanya, encara que el 50% no ho visualitza a curt termini.**

Font: pròpia. Enquesta d'estat de situació.


Seguint amb el enfocament públic-privat, també s'ha de destacar la creació del Consorci CERTERA, a través del Institut de Salut Carles III (ISCIII), una infraestructura científic-tècnica en xarxa que compta amb 43 entitats en 14 CA i que està orientada al desenvolupament de medicaments de teràpies avançades. CERTERA busca facilitar l'accés a teràpies avançades pels ciutadans espanyols, impulsant la investigació i desenvolupament en aquest camp. A més, pretén establir aliances estratègiques amb el sector industrial i crear un ecosistema d'innovació en teràpies avançades.

Aquests dos nous organismes neixen amb l'objectiu de fer front als principals reptes del finançament de les teràpies avançades, que són:

1. **La incertesa clínica-financera**
2. **La dificultat en l'avaluació del cost-efectivitat**
3. **La falta de mitjans i eines que agilitzin l'avaluació**

---

## Àmbit clínic, accés i recursos

 El 75,1% dels experts consideren que és altament necessari desenvolupar procediments específics establerts i criteris clars per millorar l'accés a les teràpies avançades.

Font: pròpia. Enquesta d'estat de situació.

Les teràpies avançades estan tenint un impacte significatiu en la pràctica clínica real dins del Sistema Nacional de Salut, oferint noves opcions terapèutiques per a malalties que abans mancaven de tractaments eficaços.

Alguns dels **camp terapèutics amb major impacte** en aquest tipus de teràpies són:

**Oncologia:** les teràpies avançades han mostrat un impacte significatiu en el tractament del càncer. Destaquen les teràpies CAR-T, que utilitzen cèl·lules del sistema immunitari modificades genèticament per combatre cèl·lules tumorals. Aquestes teràpies s'apliquen principalment en el tractament de càncers hematològics, com la leucèmia limfoblàstica aguda de cèl·lules B (LLA-B).

**Malalties Hematològiques:** a més del seu ús en oncohematologia, les teràpies avançades s'empren en altres patologies per la regeneració de teixits i el tractament de diverses malalties. Espanya és un referent en assajos clínics relacionats amb teràpies avançades per a malalties hematològiques.

**Malalties Neurodegeneratives:** les teràpies avançades ofereixen noves perspectives pel tractament de malalties neurològiques complexes. S'estan desenvolupant aplicacions per malalties com l'Alzheimer, el Parkinson i l'Esclerosi Lateral Amiotròfica (ELA). Aquestes teràpies busquen restaurar o millorar les funcions neurològiques alterades.

**Malalties Cardiovasculars:** s'estan investigant tractaments per condicions com l'ictus i la isquèmia amb l'objectiu de regenerar els teixits cardíacs danyats i millorar la funció cardiovascular.

**Malalties Rares:** les teràpies avançades ofereixen esperança per moltes malalties rares. S'estan desenvolupant tractaments per algunes de les més de 7.000 malalties rares conegudes. Aquestes teràpies poden proporcionar opcions terapèutiques per condicions que anteriorment no tenien tractaments efectius.

**Medicina Regenerativa:** la regeneració de teixits és una àrea important d'aplicació. S'empren teràpies cel·lulars per la regeneració de diversos teixits i òrgans. Aquestes teràpies tenen potencial en àrees com l'ortopèdia i la reparació de lesions.

No obstant això, la potencial inequitat en l'accés a teràpies avançades a Espanya és un problema creixent que afecta de manera desigual als pacients depenent de la seva comunitat autònoma de residència. Aquesta situació genera importants disparitats en l'atenció sanitària i les oportunitats de tractament entre els diferents territoris espanyols.

**\* El 91,7% dels participants consideren que el SNS, tal i com el coneixem en l'actualitat, NO es troba preparat (el 50% afirma que només en alguns centres) per assegurar l'accés àgil i homogeni a aquestes teràpies en totes les comunitats autònomes.**

Els cinc motius principals que els experts senyalen com a causants d'aquesta potencial inequitat són:

1. **Falta d'un sistema d'informació unificat i transparent sobre la disponibilitat i accés a aquestes teràpies.**
2. **Disparitats pressupostàries i d'inversió en innovació sanitària entre territoris.**
3. **Falta de coordinació efectiva a nivell nacional.**
4. **Diferències en els processos d'avaluació i aprovació entre CA.**
5. **Burocràcia existent durant el procés.**

Amb l'objectiu de fer front a aquesta situació, optimitzar la implementació i l'accés a aquestes noves teràpies avançades, és necessari introduir nous agents clau en el procés, com:

1. **Gestors sanitaris**
2. **Professionals assistencials**
3. **Administracions sanitàries (centrals i autonòmiques)**
4. **Indústria farmacèutica**

**\* El 91,6% afirma que la col·laboració pública-privada és un element imprescindible per l'adopció i acceleració de les teràpies avançades a Espanya.**

Font: pròpia. Enquesta d'estat de situació.

Segons el grup de treball, la col·laboració amb la indústria farmacèutica des de les etapes inicials és un factor determinant per accelerar el procés d'adopció de les teràpies avançades. En aquest sentit, consideren que el sector privat exerceix un paper fonamental per:

- Impulsar la innovació terapèutica
- Fer costat a la recerca i fabricació hospitalària
- Facilitar nous models de finançament
- Ajudar en l'estandardització de processos administratius en els centres hospitalaris
- Optimitzar els fluxos associats al procés assistencial
- Fer més efectiva l'avaluació de les teràpies avançades

## Investigació i desenvolupament

Espanya s'ha posicionat com un dels països referents en teràpies avançades, destacant tant pel seu nivell científic com pel número d'assajos clínics realitzats.

**\* El 58,4% dels experts consideren que Espanya és un país líder en investigació de teràpies avançades.**

Font: pròpia. Enquesta d'estat de situació.

A més, les àrees terapèutiques en les que s'enfoquen aquestes empreses són les malalties oncològiques, cardiovasculars, autoimmunes o musculoesquelètiques, entre altres.

En aquests últims anys, la biotecnologia ha protagonitzat un gran esforç en I+D en teràpies avançades en el món. Entre 2014 i 2023 en Espanya es van completar o finalitzar 557 assajos clínics enfocats en teràpia gènica o cel·lular. Avui dia, hi ha més de 60 assajos clínics actius de teràpia gènica i més de 500 de teràpia cel·lular a Espanya.

El país es posiciona en el cinquè lloc pel que fa el nombre de publicacions científiques en l'àmbit de la teràpia cel·lular respecte al PIB, per davant de països com Corea del Sud, el Regne Unit o Itàlia, i lidera el nombre d'assajos clínics al món. No obstant això, la majoria d'ells es troba en estadis molt inicials.

Entre els principals grups d'investigació diferenciem:

- Unitat Mixta de Teràpies Avançades (FJD-CIEMAT).
- Xarxa Espanyola de Teràpies Avançades (TERAV).
- Unitat de Teràpies Avançades del IIS La Fe.
- Unitat CRIS d'Investigació Translacional i Teràpies Avançades.
- BioCat.
- LivingCells.

Malgrat que Espanya es troba a l'avantguarda del desenvolupament de teràpies avançades, no està exempta de la problemàtica que implica la seva fabricació.

**\* 5 de cada 10 experts afirmen que existeix ineficàcia en la capacitat de traslladar els resultats d'investigació, encara que el 41,7% afirma que aquesta capacitat dependrà del centre.**

Font: pròpia. Enquesta d'estat de situació.

La necessitat d'optimització del procés de producció d'aquesta mena de tractaments és una de les claus que, segons tots els experts, el nostre país ha de solucionar si vol continuar sent líder del sector.

En aquesta línia, els principals obstacles del desenvolupament acadèmic de teràpies són:

1. **Dificultats per obtenir recursos i finançament**
2. **Falta de capacitació professional**
3. **Inequitat entre centres sobre els recursos disponibles**

Així mateix, segons els experts participants, les principals causes que provoquen aquesta desigualtat en la capacitat de translació entre els diferents centres són:

1. **Dificultats per obtenir recursos tècnics i finançament**
2. **Necessitat de capacitació professional**
3. **Necessitat de coordinació entre agents clau**
4. **Heterogeneïtat en els recursos disponibles**

---

## Tecnologia i innovació

La biotecnologia ha revolucionat la medicina moderna i, en el mercat espanyol, la seva aplicació en teràpies avançades està marcant una diferència significativa.

**\* El 75% del grup expert afirma que la tecnologia pot ser un dels drivers de canvi en el paradigma de les teràpies avançades a Espanya.**

Font: pròpia. Enquesta d'estat de situació.

Segons la visió dels professionals participants, els àmbits on la tecnologia podria ser de major ajuda en relació amb les teràpies avançades són:

- L'àrea d'investigació
- A nivell clínic i assistencial
- En l'avaluació de teràpies
- A nivell burocràtic i legislatiu
- En la gestió i protecció de dades clíniques i sistemes d'informació

---

## A escala regional

Malgrat que les teràpies avançades són ja una realitat en el SNS, les diferents comunitats autònomes han assumit un paper proactiu en el desenvolupament i implementació d'aquestes teràpies innovadores.

En els últims anys, hem estat testimonis d'un creixent interès i compromís per part de les administracions regionals per impulsar la investigació, producció i aplicació de medicaments de teràpies avançades. Les comunitats autònomes estan establint les bases per convertir-se en referents en aquest camp emergent, mitjançant la creació de consells assessors especialitzats o amb la inversió en infraestructures d'avantguarda.

A continuació, s'analitzen els avenços més rellevants en l'àmbit de les teràpies avançades en les diferents regions d'Espanya, amb especial èmfasis en les iniciatives pioneres, els assoliments aconseguits i les estratègies implementades. S'examina com cada comunitat autònoma està abordant els desafiaments específics que planteja la integració d'aquestes teràpies, des del desenvolupament d'unitats de producció fins a la seva participació en assajos clínics innovadors.

Aquesta anàlisi permetrà visualitzar un panorama heterogeni però alineat en un objectiu comú: optimitzar la qualitat de vida dels pacients mitjançant la innovació biomèdica i l'excel·lència en la prestació de serveis sanitaris.

Comunitat Autònoma	Estratègies de teràpies avançades	Organismes / comitès destacats	Iniciatives destacades
<b>Andalusia</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>En el context de la Iniciativa Andalusia de Teràpies Avançades (IATA), Andalusia va donar a llum dues estratègies de teràpies avançades, una en 2010 i una actualització d'aquesta entre els anys 2018- 2022.</li> <li>'Pla de Medicina Personalitzada i de Precisió 2023-2027'.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Iniciativa Andalusia en Teràpies Avançades (IATA).</li> <li>Xarxa Andalusia per el Disseny i Traducció de Teràpies Avançades.</li> <li>Xarxa de laboratoris GMP i unitat de processament. En total 10 laboratoris ubicats en les províncies de Còrdoba, Granada, Màlaga i Sevilla per a la fabricació de teràpies avançades.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Els centres designats per a teràpies CAR-T en Andalusia són: Hospital Universitari Virgen del Rocío (Sevilla), Hospital Regional Universitari de Màlaga i Hospital Universitari Reina Sofia (Còrdoba).</li> </ul>
<b>Cantàbria</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Estratègia de Governança del Sistema de Teràpies Avançades de Cantàbria (TerAVal) 2023-2027.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Sistema de Teràpies Avançades (TerAVal): Per l'atenció a pacients i per investigació</li> <li>i producció de medicaments. Des de Maig 2023.</li> <li>Consell Assessor de Teràpies Avançades- Conselleria de Sanitat. És un òrgan de consulta, assessorament i planificació del desenvolupament d'estratègies i de plans operatius.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Els centres designats per a teràpies CAR-T en Andalusia són: Hospital Universitari Virgen del Rocío (Sevilla), Hospital Regional Universitari de Màlaga i Hospital Universitari Reina Sofia (Còrdoba).</li> </ul>
<b>Castella i Lleó</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>A pesar que la Comunitat encara no compta amb una estratègia de teràpies avançades, en 2024, la Conselleria de Sanitat va anunciar que està treballant en la creació d'una Estratègia d'I+i en teràpies avançades.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Centre en Xarxa de Medicina regenerativa i Teràpia cel·lular de Castella i Lleó, creat en 2012 i encarregat d'investigar la potencial capacitat terapèutica de les cèl·lules mare adultes.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>El Complex Assistencial Universitari de Salamanca ha estat designat com a centre de referència per la utilització de medicaments CAR-T.</li> </ul>

Comunitat Autònoma	Estratègies de teràpies avançades	Organismes / comitès destacats	Iniciatives destacades
<p><b>Catalunya</b></p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• La Xarxa de Teràpies Avançades de Catalunya, coordinada per BioCat, té com a objectiu impulsar la investigació, la fabricació i el desenvolupament de teràpies avançades, per tal de fer-les accessibles a la ciutadania d'una forma àgil, eficient i sostenible.</li> <li>• Programa de teràpies avançades i emergents en salut de Catalunya. Coordinat per el Banc de Sang i Teixits, té l'objectiu d'incrementar</li> <li>• la disponibilitat dels tractaments, augmentar la equitat i reduir els costos dels mateixos.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Hospital Sant Joan de Déu Barcelona: ha posat en marxa una nova Plataforma de Teràpies Avançades per desenvolupar i produir teràpies avançades per a pacients pediàtrics.</li> <li>• Hospital Parc Taulí de Sabadell: compta amb una Plataforma de Teràpies Mèdiques Avançades i forma part de la Xarxa de Teràpies Avançades de Catalunya.</li> <li>• Hospital de la Santa Creu i Sant Pau: està construint una nova Unitat de Teràpies Avançades per augmentar la fabricació de medicaments biològics personalitzats.</li> <li>• Institut Germans Trias i Pujol (IGTP): s'ha adherit a la Xarxa de Teràpies Avançades de Catalunya per impulsar la seva investigació i desenvolupament.</li> <li>• Hospital Clínic de Barcelona: centre pioner en la producció de teràpies CAR-T en Espanya.</li> <li>• Hospital Vall d'Hebron: compta amb la Unitat de Teràpies Avançades en Hematologia (UTAH).</li> <li>• És pioner en assajos clínics i en el desenvolupament propi de TILs, CAR-Ts i altres acadèmics (VHIO).</li> <li>• Banc de Sang i Teixits. Coordinador del Programa de TA i emergents de Catalunya, membre de TERA-V i centre productor de TA.</li> <li>• Hospital Universitari de Bellvitge. Líder en investigació en TA.</li> <li>• Hospital del Mar. Referent en investigació en TA, a través del seu institut d'investigació.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Catalunya es situa en la 5a posició en Europa i 8a a nivell mundial en número d'assajos clínics de teràpies avançades.</li> <li>• Lidera el rànquing estatal en publicacions científiques relacionades amb teràpies avançades, amb</li> <li>• 2.195 publicacions (38% del total nacional).</li> <li>• Ha rebut el 64% del finançament total de la convocatòria CERTERA a nivell nacional.</li> <li>• Projecte PRECISEU. Un macroprojecte europeu liderat per Biocat per impulsar la medicina personalitzada i les teràpies avançades en Europa, amb un finançament de quasi 23 milions d'euros.</li> <li>• FICAT (Functional Integration of Customized Advanced Therapeutics). Un projecte innovador en el camp de les teràpies avançades liderat per Integra Therapeutics, una empresa biotecnològica derivada de la Universitat Pompeu Fabra (UPF).</li> <li>• Centres designats per a l'administració de teràpies 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.</li> </ul>

Comunitat Autònoma	Estratègies de teràpies avançades	Organismes / comitès destacats	Iniciatives destacades
<b>Comunitat Valenciana</b>		<ul style="list-style-type: none"> <li>Unitat de Teràpies Avançades de l'Institut d'Investigació Sanitària La Fe. Forma part de la xarxa CERTERA.</li> <li>Oficina Autònoma de Medicina Predictiva, Personalitzada i Teràpies Avançades de la Comunitat Valenciana. Creada recentment per la Conselleria de Sanitat, aquesta oficina té com objectiu elaborar, implementar i avaluar el Pla valencià de medicina predictiva, personalitzada i teràpies avançades.</li> <li>Servei d'Optimització Terapèutica, Medicaments Innovadors i Teràpies Avançades de la Conselleria de Sanitat.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>L'Hospital Universitari i Politècnic La Fe i l'Hospital Clínic Universitari de València estan designats com a centres autoritzats de referència per l'ús de teràpies CAR-T.</li> </ul>
<b>Madrid</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Estratègia Regional de Teràpies Avançades en 2018.</li> <li>En 2022, va crear el Pla de Teràpies Avançades 2022-2024.</li> <li>Ruta assistencial Teràpies CAR-T.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Comitè Director de la Estratègia Regional de Teràpies Avançades.</li> <li>Xarxa de Teràpies Avançades de la Comunitat de Madrid.</li> <li>Divisió de la Unitat de Teràpies Avançades de la Direcció General d'Investigació, Docència i Documentació.</li> <li>Establiment de 8 unitats de comitès: instal·lacions hospitalàries del Servei Madrileny de Salut (SERMAS: Hospital General Universitari Gregorio Marañón, Hospital Infantil Universitari Niño Jesús, Hospital Universitari 12 de Octubre, Hospital Universitari La Paz, Hospital Universitari Ramón y Cajal, Hospital Universitari La Princesa, Hospital Universitari Puerta de Hierro, Hospital Universitari Puerta de Hierro.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Designació de 7 centres hospitalaris per a l'administració de teràpies CAR-T: Gregorio Marañón, 12 de Octubre, Ramón y Cajal, Puerta de Hierro-Majadahonda, La Princesa i La Paz per adults; Niño Jesús i La Paz per pacients pediàtrics.</li> <li>Desenvolupament i autorització del medicament NC-1 en l'Hospital Puerta de Hierro-Majadahonda, sent el primer fàrmac de teràpia avançada d'origen acadèmic autoritzat en Espanya.</li> </ul>

Comunitat Autònoma	Estratègies de teràpies avançades	Organismes / comitès destacats	Iniciatives destacades
<p><b>País Basc</b></p>		<ul style="list-style-type: none"> <li>Basque Advanced Therapies. Es va llançar aquesta iniciativa que mobilitza tota la cadena de valor del sistema basc de salut, incloent quatre grans grups empresarials, 18 pimes i sis centres tecnològics, amb l'objectiu de convertir-se en un referent en teràpies avançades.</li> <li>El Grup de Pilotatge de Salut Personalitzada. És un component clau de l'estratègia d'especialització intel·ligent RIS3 en el País Basc, específicament enfocat en l'àmbit de les teràpies avançades, medicina personalitzada, tecnologia i salut mental.</li> <li>La unitat de Producció de Teràpies Avançades (UPTA) de l'Institut Biobizkaia. Forma part del Consorci CERTERA.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Projecte Gipuzkoa Advanced New Therapies Territory (GANTT). Programa amb l'objectiu de consolidar a Gipuzkoa com una referència mundial en el desenvolupament de les teràpies cel·lulars, gèniques i de ARN amb una orientació industrial.</li> <li>L'Hospital Universitari de Donostia és l'únic centre autoritzat per a</li> <li>L'aplicació de teràpies CAR-T.</li> </ul>
<p><b>Regió de Múrcia</b></p>	<ul style="list-style-type: none"> <li>En l'actualitat, el territori es troba elaborant una Estratègia Regional en Teràpies Avançades.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Comitè Multidisciplinari de Teràpies Avançades de l'Hospital Clínic Universitari Virgen de Arrixaca.</li> <li>Comitè Multidisciplinari de Teràpies Avançades de l'Hospital General Universitari Morales Meseguer.</li> <li>Unitat de producció cel·lular en l'Hospital Clínic Universitari Virgen de Arrixaca.</li> </ul>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Dos centres designats per administració de teràpies CAR-T: Hospital Clínic Universitari Virgen de Arrixaca (adults, pediatria i ARI) i Hospital General Universitari Morales Meseguer (adults).</li> <li>Curs "Advanced Therapies: scientific basis and clinical uses". Universitat de Múrcia, Xarxa Espanyola de Teràpies Avançades i SEHH".</li> </ul>

---

## A l'àmbit europeu

A Europa, el desenvolupament i la implementació d'aquestes teràpies innovadores han experimentat un creixement significatiu en els últims anys, marcant fites importants en l'atenció mèdica i la recerca biomèdica.

La Unió Europea ha establert un marc regulador sòlid per garantir la seguretat i eficàcia d'aquests tractaments innovadors, creant el Comitè de Teràpies Avançades dins de l'Agència Europea de Medicaments.

En els últims dotze anys, l'Agència Europea de Medicaments ha aprovat vuit medicaments de teràpies avançades, reflectint el progrés constant en aquest camp. Aquests avanços no sols han permès curar malalties amb alta morbimortalitat, sinó que han aconseguit convertir en cròniques algunes patologies que abans eren mortals. A més, han permès millorar significativament les taxes de supervivència en diversos tipus de càncer. Malgrat els desafiaments que enfronten aquestes teràpies, com els alts costos de desenvolupament i producció, així com la complexitat de la seva fabricació personalitzada, el futur s'entreveu prometedor. La tendència apunta cap a la combinació de teràpia gènica i teràpia cel·lular, buscant sinergies per a desenvolupar tractaments encara més efectius i segurs.

En aquest capítol, s'exploraran els avanços més significatius, les fites aconseguides i les millors pràctiques implementades en el camp de les teràpies avançades a Europa. A més, s'examinaran els desafiaments i oportunitats que es presenten en l'horitzó de la medicina personalitzada.

A nivell regulador, per tal d'establir un marc comú per la regulació i comercialització dels medicaments de teràpia avançada, en 2007 es va introduir el Reglament (CE) núm. 1394/2007 del Parlament Europeu i del Consell sobre medicaments de teràpia avançada, creant també el Comitè de Teràpies Avançades.

Aquest reglament estableix normes per l'autorització, supervisió i vigilància de les teràpies avançades, amb l'objectiu de garantir la seguretat i disponibilitat dels nous medicaments basats en teràpia gènica, somàtica i enginyeria tissular. A més, faculta a l'Agència Europea del Medicament per emetre recomanacions científiques sobre un producte determinat, i estableix un instrument de certificació a nivell de qualitat per a les petites i mitjanes empreses que participen en el desenvolupament pre-clínic per facilitar la transferència de recerca.

Posteriorment, aquest reglament es va actualitzar al 2014 mitjançant un informe de la comissió al Parlament Europeu i al consell de conformitat amb

l'article 25 del Reglament (CE) núm. 1394/2007 del Parlament Europeu i del Consell sobre medicaments de teràpia avançada i pel qual es modifiquen la Directiva 2001/83/CE i el Reglament (CE) núm. 726/2004. Aquest informe fa un balanç de la situació de les teràpies avançades a la Unió Europea.

De manera addicional, la EMA va crear la designació PRIME (PRiority MEdi- cines) per afavorir una via accelerada en el desenvolupament de teràpies avançades per a pacients amb necessitats mèdiques no cobertes, garantint l'accés ràpid a aquestes.

A més, la EMA ofereix suport específic pel desenvolupament de teràpies avançades mitjançant:

- Suport sobre els criteris de classificació i procés de sol·licituds.
- Informació de guies clau relacionades amb teràpies avançades.
- Guies de bones pràctiques clíniques (GCP).
- Guies específiques de bones pràctiques en la fabricació (GMP).
- Guia de bones pràctiques en laboratori (GLP).
- Guies d'informació i suport en els procediments d'autorització de comercialització, per facilitar la comprensió del procés d'avaluació de teràpies avançades en la Unió Europea.
- Guies de farmacovigilància específiques per a teràpies avançades després de la seva autorització.
- Documents de resolució de dubtes, com els publicats en conjunt amb el Comitè de Teràpies Avances de la EMA i el Biologic Working Party.
- Incentius. La legislació de la EMA presenta incentius per fomentar la investigació i desenvolupament en teràpies avançades: per exemple, es contempla un 65% (90% en cas de PYMES) de reducció de taxes en les sol·licituds d'assessorament científic.

En relació amb la investigació i desenvolupament d'assajos clínics, trobarem que des de gener de 2014 (i fins 2019) es van iniciar més de 323 assajos clínics de teràpies avançades a Europa. En aquest període els principals països que van iniciar assajos clínics van ser UK (112), Espanya (102), França (101), Alemanya (83) i Itàlia (66).

Actualment (fins Juliol de 2024) trobem que en Europa estan en marxa 341 assajos clínics, de les quals 172 van ser assajos de teràpia gènica, 69 de teràpia cel·lular i 2 d'enginyeria tissular.

En relació amb el procés d'aprovació de l'assaig, la majoria són aprovats entre 6 i 12 mesos, temps molt variable en funció del país i la seva regulació.

De forma global, la majoria de les molècules investigades no arriben a la fase d'investigació clínica, i s'estima que menys de la quarta part de l'assaig clínic obté autorització de comercialització. A més, existeixen dificultats

afegides degut a aspectes de finançament i als requeriments específics en el cas de les teràpies avançades. Hem de tenir en compte també que la recerca en teràpies avançades està realitzada majoritàriament per entitats del món acadèmic o PIMES, que disposen de recursos més limitats i a vegades poden estar menys familiaritzades amb el marc reglamentari que regula l'autorització i comercialització de MTA.

Després de l'entrada en vigor del reglament sobre teràpies avançades a la UE, es faculta als estats per a autoritzar l'ús -sense necessitat d'autorització de comercialització de teràpies avançades a mesura- amb la condició que el medicament sigui utilitzat per a un sol pacient, en un centre hospitalari i sota la responsabilitat professional d'un metge.

Les variacions reguladores donen com a resultat un entorn menys competitiu i atractiu per la realització d'assajos clínics multicèntrics. Per això seria important disposar d'un marc reglamentari adaptat que garanteixi la seguretat i contribueixi al desenvolupament i autorització de noves teràpies.

L'exempció hospitalària facilita la recerca en l'àmbit acadèmic i hospitalari, i proporciona informació per una futura autorització de comercialització.

En aquest context, al 2023 es va signar un posicionament conjunt des de la EFPIA (la Federació Europea de la Indústria Farmacèutica) amb l'Aliança per a la Medicina Regenerativa (ARM), el grup de la indústria biotecnològica EuropaBio, la Confederació Europea d'Empresaris Farmacèutics (Eurocope) i la Societat Internacional de Teràpies Cel·lulars i Genètiques (ISCT). Aquest posicionament tracta aspectes com l'homogeneïtzació i els requisits específics associats a l'exempció hospitalària per garantir la seguretat i qualitat dels medicaments utilitzats.

Alguns dels comitès existents a nivell europeu són:

**Comitè de Teràpies Avançades (CTA):** Forma part de l'Àgència Europea del Medicament (EMA). Des de 2009 és l'encarregat d'emetre dictàmens sobre la qualitat, seguretat i eficàcia dels MTA (Medicament de Teràpies Avançades), dels quals el Comitè de Medicaments d'Ús Humà basarà l'autorització. El Comitè de Teràpies Avançades de l'EMA reconeix la necessitat de desenvolupar directrius reguladores que cobreixin la qualitat, la seguretat i l'eficàcia que siguin rellevants pels medicaments.

**Innovation Task Force (ITF):** Eina que proporciona un fòrum pel diàleg primerenc sobre el desenvolupament de fàrmacs innovadors amb l'EMA. Està dirigit a tot tipus de promotors (investigadors acadèmics, PIME, indústria farmacèutica, etc.). Abasta qüestions reglamentàries, tècniques i científiques, permetent l'intercanvi informal d'infor-

mació i orientació en el procés de desenvolupament de fàrmacs (és complementari als procediments formals requerits per l'EMA). Les teràpies avançades són una de les principals àrees en les que ofereixen major suport.

**Alliance for Regenerative Medicine:** Organització internacional de la defensa dels beneficis per teràpies avançades. Facilita intercanvis sobre pràctiques, proporcionant dades i anàlisis, i involucrant diferents actors pel desenvolupament de teràpies avançades.



---

## Alemanya

A Alemanya, els principals centres amb activitat en teràpies avançades són:

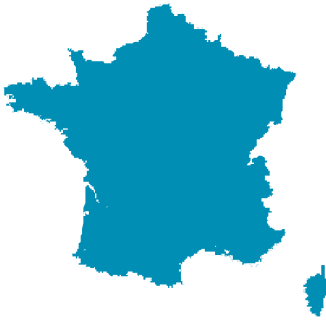
**Centre IOZK (Immun-Onkologisches Zentrum Köln):** Es posiciona com un centre especialitzat en immunoteràpia contra el càncer, oferint tractaments personalitzats i alternatius basats en l'activació del sistema immunitari del pacient, amb un enfocament en la recerca contínua i l'aplicació de teràpies avançades.

**Hospital Universitari de Tübingen:** Es destaca com un centre important en recerca i teràpies amb cèl·lules mare a Alemanya.

**Projecte 'Captain T Cell':** Un innovador projecte, sorgit del Centre Max De-Imbrück de Medicina Molecular, que aposta per cèl·lules immunològiques extremadament actives, les anomenades "cèl·lules T". Aquestes s'obtenen de la sang dels pacients i se'ls agreguen, en un laboratori, una molècula artificial. En el cos, les cèl·lules T detecten cèl·lules tumorals i les destrueixen. Posant el focus en una forma de leucèmia particularment agressiva, Captain T Cell va desenvolupar una plataforma tecnològica amb la qual poden optimitzar cèl·lules T. L'equip d'investigació és un dels guanyadors del concurs GO-Bio 2018, del Ministeri Federal d'Educació i Recerca d'Alemanya.

**BioNtech:** Una empresa que desenvolupa medicaments contra el càncer, a mesura, per a cada pacient a través de noves tècniques de digitalització i automatització que fan possible produir medicaments personalitzats en quantitats suficients per estudis clínics.

**Instituto Leibniz d'Investigació i Tecnologia del Plasma (INP):** Un "llapis de plasma" desenvolupat en el INP, emprat pel tractament de ferides en pacients de càncer. A través d'una petita flama, a 40 graus de temperatura, es transfereixen molècules al pacient i es destrueixen els gèrmens actius.



**Fundació Alemanya d'Investigació (DFG):** Centre transnacional que crea un entorn per afavorir infraestructures i centres transnacionals.

## França

Encara que França és un dels països més avançats d'Europa i del món en teràpies gèniques, la falta de finançament i la fragilitat econòmica del sector frenen el desenvolupament d'aquests tractaments innovadors.

Aquest país compta amb un marc regulador favorable per el desenvolupament de teràpies avançades. L'Agència Nacional de Seguretat del Medicament i dels Productes Sanitaris (ANSM) és l'encarregada d'avaluar i autoritzar aquests tractaments.

El govern francès ha identificat les teràpies avançades com una àrea estratègica i ha implementat diverses iniciatives per impulsar el seu desenvolupament:

- Creació de centres especialitzats en teràpies cel·lulars i gèniques.
- Finançament de projectes d'investigació a través de programes nacionals.
- Col·laboració pública-privada per accelerar la translació clínica.

Entre algunes fites, principalment en recerca i desenvolupament de teràpies avançades, destaquem:

### **Aliança entre Sensorion, empresa biotecnològica, i l'Institut**

**Pasteur:** Aquesta associació concedeix a Sensorion una opció de llicència exclusiva per desenvolupar i comercialitzar candidats a fàrmacs de teràpia gènica procedents de projectes de col·laboració per abordar necessitats no cobertes en audició. Actualment s'estan duent a terme dos programes de desenvolupament en aquest marc, a saber, SENS-501 (OTOF-GT) i GJB2-GT.

**Inserm:** És la institució nacional francesa de salut i investigació mèdica. Amb seu en París, és l'organisme acadèmic d'investigació biomèdica líder d'Europa amb 350 centres ubicats a França i a l'estranger. Estudis recents han mostrat resultats prometedors en el tractament de malalties rares com la distròfia muscular de Duchenne i la fibrosi quística. Aquestes teràpies es centren en corregir els defectes genètics subjacents, oferint esperança als pacients i les seves famílies.

**Genopole:** és un recinte empresarial i un campus científic per les biotecnologies, situat al sud de París, en Evry Courcouronnes. Genopole és el principal recinte de genòmica, amb empreses que desenvolupen teràpies cel·lulars i genètiques, solucions de diagnòstic, tecnologia alimentària i molt més. Actualment alberga 65 empreses i 16 laboratoris acadèmics in situ.

**Paris Saclay Cancer Cluster (PSCC):** Va ser un dels primers projectes secundats per França 2030; el seu objectiu és recolzar la innovació en oncologia fent-la més predictiva, precisa i eficaç. En reunir totes aquestes capacitats en una única ubicació, el PSCC crea un ecosistema centrat en el pacient per establir un centre de primer nivell en el camp de l'oncologia.

**Medicen:** reuneix organitzacions públiques i privades relacionades amb la innovació per a desenvolupar la solució terapèutica del futur. Actua com a catalitzador de tot l'ecosistema i compta amb més de 500 membres, incloses 430 empreses emergents.

**Gustave-Roussy Institute:** teràpies innovadores en oncologia, medicina molecular, immunoteràpia, reparació de l'ADN i càncers poc comuns.

**Biotherapies institute (campus Genopole):** bioteràpies per malalties genètiques poc comunes, malalties neuromusculars, sistema immunitari, trastorns sanguinis, miologia i cèl·lules mare humanes pluripotents.

**Meary Center:** bioproducció, medicaments de teràpia avançada, teràpia genètica i cel·lular i enginyeria dels teixits.

**Imagine Institute per a malalties genètiques:** immunologia, autoimmunitat, hematologia, ronyó, ossos, metabolisme, discapacitat intel·lectual, dermatologia, gastroenterologia, oftalmologia i malalties infeccioses.



---

## Itàlia

A Itàlia destaca:

**Fondazione Telethon:** Una organització sense ànim de lucre que finança i desenvolupa recerques en teràpia gènica i cel·lular per malalties genètiques rares.

**Hospital d'Investigació San Raffaele:** Centre mèdic multidisciplinari altament especialitzat, que uneix tractament, investigació clínica i ensenyança. L'hospital està reconegut com Institut Científic d'Investigació i Assistència Sanitària (IRCCS) per la seva investigació en medicina molecular i l'aplicació de tractaments innovadors, com la teràpia gènica.

**Holostem Therapie Avanzate:** Una empresa spin-off de la Universitat de Mòdena i Reggio Emilia, centrada en el desenvolupament de teràpies basades en cèl·lules mare per malalties rares.

**Proyecto Dante Citizen Test:** Desenvolupat a Itàlia a través de l'empresa Dante Labs. L'objectiu d'aquest és introduir la seqüenciació clínica del genoma complet, a través de la prova CE-IVD, amb informes clínics en l'atenció mèdica estàndard dels hospitals i el sistema de salut del país. Aquest és el primer pas per a introduir la seqüenciació del genoma complet en el sistema de salut nacional d'un país europeu i del G7. La prova aprofitarà el programari Extensa (propietat de Dante) per a l'elaboració d'informes, la interpretació i l'anàlisi de dades mèdiques i del genoma complet.



---

## Regne Unit

Al 2024, el Regne Unit anunciava una inversió històrica de fins a 464 milions d'euros, destinada a enfortir el sector de les ciències de la vida i la recerca mèdica, amb l'objectiu de millorar l'accés dels pacients a tractaments innovadors i accelerar els assajos clínics.

Aquest projecte, que representa la major col·laboració pública-privada del seu tipus en el món, té com a objectiu no sols fomentar la innovació mèdica, sinó també impulsar el creixement econòmic a través de la recerca en salut i el desenvolupament de noves tecnologies. Els fons estaran dirigits a crear 18 nous Centres de Recerca Comercial (CRDC, per les seves sigles en anglès), a millorar la fabricació sostenible de medicaments i modernitzar els mètodes d'avaluació de noves tecnologies sanitàries, contribuint així a la competitivitat global del Regne Unit.

El 5% restant de la inversió, equivalent a uns 23 milions d'euros, s'utilitzarà per millorar els mètodes d'avaluació de tecnologies sanitàries, facilitant l'accés a medicaments innovadors. Aquest tipus d'avaluacions, que analitzen la relació cost-eficàcia dels nous tractaments, són fonamentals per assegurar que els pacients rebin les teràpies més avançades de manera oportuna i rendible. El programa també donarà suport al laboratori d'innovació de

l'Institut Nacional per l'Excel·lència en la Salut i l'Atenció (NICE), així com la plataforma UK Pharmascan, que proporcionarà informació clau sobre nous medicaments en desenvolupament.

Entre alguns dels principals organismes podem destacar:

**MHRA Medicines Healthcare Products regulatory Agency:** Com agència reguladora està involucrada en el desenvolupament de vies d'accés d'introducció de fàrmacs innovadors.

**The Cell and Gene Therapy Catapult (CGT Catapult):** és una organització, independent, d'innovació i excel·lència en el Regne Unit, dedicada a l'avanç i creixement del sector de teràpies cel·lulars i gèniques. Els seus objectius són:

- Catalitzar i facilitar el creixement de la indústria de teràpies cel·lulars i gèniques.
- Construir un sector líder, mundialment, en teràpies cel·lulars i gèniques.
- Proporcionar experiència, recursos i tecnologia per ajudar els desenvolupadors de teràpies cel·lulars a millorar els seus processos de fabricació.

**Advanced Therapy Medicinal Products Program:** aquest programa forma part de la cartera de serveis especialitzats i s'encarrega i prepara al NHS per la incorporació i enfocament nacional de teràpies avançades. El programa complementa i dona suport als programes nacionals ja presents (National Programmes of Care, Innovative Medicine Fund i Cancer Drugs Fund) proporcionant lideratge i supervisió en l'avaluació i implementació d'aquestes teràpies juntament amb el NICE.

## 4

# Futur de les Teràpies Avançades a Espanya

---

**Les teràpies avançades representen una transformació paradigmàtica en el camp de la medicina, oferint noves oportunitats pel tractament de malalties prèviament considerades com “incurables” o “de difícil maneig”. No obstant, el seu desenvolupament i implementació a Espanya presenten múltiples desafiaments que requereixen un abordatge estructurat i multidisciplinari.**

En aquest document, es presenta una anàlisi detallada dels principals reptes identificats pel grup d'experts participants. Després d'avaluar els 42 desafiaments estratègics identificats durant la fase d'anàlisi situacional, es van prioritzar aquells que representen les principals barreres per l'adopció de les teràpies avançades a Espanya. Entre aquests s'inclouen obstacles reguladors i econòmics, així com limitacions en infraestructura i en la formació especialitzada, factors que actualment limiten el potencial d'aquestes innovacions dins del Sistema Nacional de Salut.

Com a resultat del procés de cocreació dut a terme pels experts, es proposen una sèrie d'iniciatives i línies d'acció concretes dirigides a superar aquests desafiaments. Aquestes propostes, fonamentades en el coneixement i l'experiència dels professionals involucrats, delineen una estratègia clara per a facilitar la incorporació efectiva de les teràpies avançades en el sistema sanitari, garantint la seva accessibilitat i sostenibilitat en benefici dels pacients a Espanya.

---

## Reptes i iniciatives

Mitjançant l'anàlisi de situació realitzat, es van definir un total de 14 reptes que representaven el paradigma actual de les teràpies avançades a Espanya:

1. **Adaptar el marc normatiu al context actual i característiques pròpies de les teràpies avançades.**
2. **Agilitzar els processos burocràtics.**
3. **Promoure la coordinació i el assessorament específic per l'avaluació de teràpies avançades.**
4. **Optimitzar els models d'avaluació existents i generar nous.**
5. **Agilitzar el procés d'avaluació de teràpies avançades.**
6. **Reduir la heterogeneïtat i inequitat en el accés i el poder finançador de les teràpies avançades entre CA.**
7. **Optimitzar el procés de finançament i entrada al mercat de les noves teràpies.**
8. **Garantir la sostenibilitat en el finançament de les teràpies avançades en el SNS.**
9. **Disminuir el temps d'espera en l'accés del pacient a una teràpia avançada.**
10. **Estandarditzar els protocols administratius de la Indústria Farmacèutica, vinculats a la incorporació de teràpies avançades en els hospitals.**
11. **Optimitzar la coordinació entre centres i CA.**
12. **Facilitar la translació dels resultats de la investigació a la pràctica clínica real.**
13. **Incorporar la innovació tecnològica per l'impuls de les teràpies avançades.**
14. **Analitzar el valor afegit de les teràpies avançades acadèmiques.**

Pel seu treball individual i desenvolupament, el grup d'experts van prioritzar aquells 6 reptes l'abordatge del qual a curt i mitjà termini és clau per a millorar el model de gestió de les teràpies avançades a Espanya. Els reptes prioritzats van ser:

1. **Optimitzar els models d'avaluació existents i/o generar nous models d'avaluació.**
2. **Optimitzar el procés de finançament i entrada al mercat de les noves teràpies.**
3. **Garantir la sostenibilitat en el finançament de les teràpies avançades en el SNS.**
4. **Adaptar el marc normatiu al context actual i les característiques pròpies de les teràpies avançades.**
5. **Agilitzar el procés d'avaluació de les teràpies avançades.**
6. **Reduir la heterogeneïtat i iniquitat en l'accés de les teràpies avançades entre CA.**

Per a cadascun dels 6 reptes prioritzats, el grup de treball va identificar:

- Accions específiques a impulsar per donar resposta al repte plantejat.
- Acceleradors del procés, que es troben en el sistema actual i que ajudin a impulsar la transformació.
- Barreres o obstacles que, pel contrari, frenen els processos.

## Repte 1

# Optimitzar els models d'avaluació existents i/o generar nous models d'avaluació

Institucions com la Federació Europea de la Indústria Farmacèutica (EFPIA) han senyalat la urgent necessitat de replantejar els models d'avaluació, valoració i finançament de les teràpies avançades. Encara que la seva arribada es indubtablement positiva pel sistema sanitari i pels pacients, els costos associats plantegen un dilema als finançadors públics. El desenvolupament d'aquestes teràpies requereix una inversió en I+D comparable a la dels fàrmacs tradicionals destinats a milions de pacients, però la seva aplicació es limita a un número molt reduït d'individus, a vegades només a unes desenes de persones per país.

Aquest desequilibri entre la inversió necessària i la grandària del mercat potencial crea una tensió entre la innovació mèdica i la sostenibilitat financera dels sistemes de salut. Per tant, és imperatiu desenvolupar nous models d'avaluació que no sols considerin el cost immediat, sinó també el valor a llarg termini i l'impacte social d'aquestes teràpies revolucionàries, amb l'objectiu d'identificar el veritable valor d'aquestes innovacions terapèutiques.

Entre els acceleradors identificats destaquem:

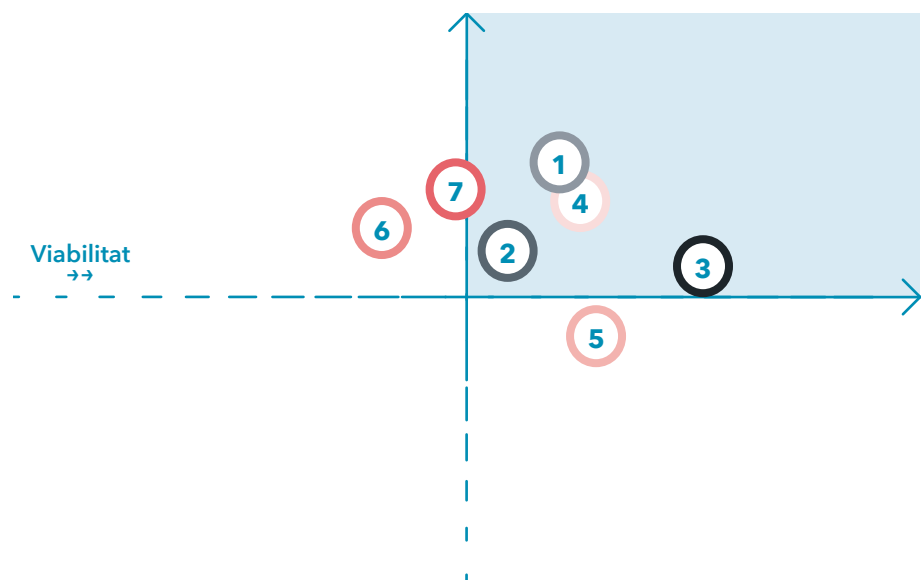
- Impulsar una cultura d'informació i comunicació
- L'actual potencial dels sistemes d'informació
- Les noves normatives de privacitat de dades
- L'avaluació clínica conjunta europea (JCA)

En contraposició, les barreres actuals són:

- La baixa explotació de les capacitats dels sistemes d'informació actuals
- La heterogeneïtat en el registre de dades
- Nou reial decret d'avaluació de tecnologies sanitàries
- Els fils d'informació entre CA i, inclús, entre centres
- La falta de cultura de rendició de comptes

## Iniciatives

- 1 Creació i/o millora de les eines tecnològiques per facilitar el procés d'avaluació i mesurament.
- 2 Disseny de noves metodologies d'avaluació mitjançant la definició de nous criteris de mesurament adaptats a les teràpies avançades.
- 3 Col·laboració i diàleg primerenc amb la indústria (hospitals i CA) per definir de manera prematura els aspectes clau necessaris i que requereixen ser mesurats des de l'àmbit assistencial..
- 4 Definició i estandardització dels criteris de revaluació, incloent-hi factors fonamentals com l'impacte social i les alternatives terapèutiques sorgides.
- 5 Inclusió en els protocols de mesurament als pacients que provenen d'assajos clínics.
- 6 Difusió i distribució de les dades en salut entre les Comunitats Autònomes (i fins i tot països) per a assegurar la seva transparència..
- 7 Professionalització de l'avaluació i incentiu de l'orientació cap a el mesurament de resultats entre tots els professionals sanitaris del Sistema Nacional de Salut.



Matriu de valoració per impacte i viabilitat de les iniciatives proposades per al repte 1

## Repte 2

# Optimitzar el procés de finançament i entrada al mercat de les noves teràpies

El procés de finançament i accés al mercat de les teràpies avançades representa un desafiament significatiu tant pels sistemes de salut com per la indústria farmacèutica. L'optimització d'aquest procés és fonamental per garantir que aquestes teràpies innovadores arribin als pacients que les necessiten, al mateix temps que es preserva la sostenibilitat financera del sistema sanitari.

Un dels enfocaments clau per abordar aquest repte és el desenvolupament de models de pagament adaptatius. Els acords d'accés gestionat, com els esquemes de pagament per resultats i els contractes de pagament diferit, emergeixen com a estratègies viables per facilitar la introducció d'aquestes teràpies en la pràctica clínica. Aquests models innovadors busquen equilibrar la necessitat d'incentivar la inversió en recerca i desenvolupament amb la responsabilitat d'optimitzar l'eficiència i la sostenibilitat de la despesa sanitària.

L'avaluació i finançament dels medicaments de teràpia avançada (\*ATMP) ha de basar-se en el valor que aporten, però amb un enfocament flexible que reconegui la variabilitat d'aquest valor en funció del context de cada país i sistema de salut. Es preveu una adopció creixent de models de pagament basats en el valor i d'acords innovadors en els quals el finançament estigui condicionat a la generació d'evidència addicional i els pagaments s'ajustin en funció dels resultats clínics observats en la pràctica real.

Els acceleradors identificats són:

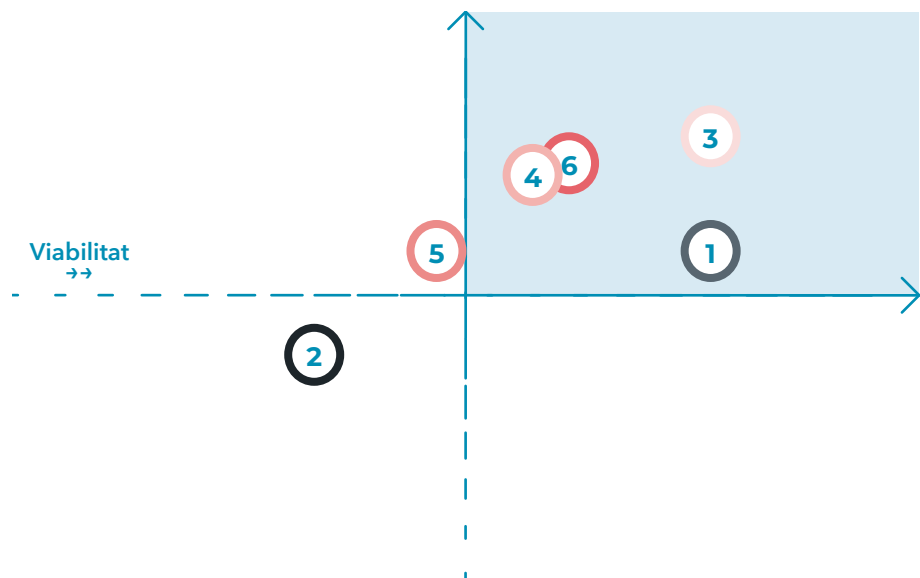
- La participació activa de les CA
- Augmentar la confiança entre la part assistencial i la indústria
- Assegurar el diàleg primerenc amb la indústria

D'altra banda, les barreres definides van ser:

- La Llei de Contractes del Sector Públic actual
- La falta de transparència per part de la indústria en els costos de les teràpies
- L'heterogeneïtat en l'oferta de la indústria farmacèutica

## Iniciatives

- 1 Ús de noves metodologies i eines de suport, com el Horizon Scanning, que ens ajudin en l'avaluació de les teràpies avançades pel seu futur finançament.
- 2 Definició de llimars de despesa amb l'objectiu de ser més previsibles en el finançament.
- 3 Diàleg primerenc amb la indústria per accelerar i facilitar el procés de finançament des de les seves etapes més precoces.
- 4 Millorar els processos de revaluació econòmica i avaluació dinàmica, incloent-hi aspectes com el desfinançament i el reposicionament de la teràpia..
- 5 Adaptació de la llei de contractes per impulsar nous sistemes de pagament com el pagament a llargs terminis.
- 6 Millorar el mesurament del cost-efectivitat i impacte clínic d'una teràpia avançada amb l'objectiu que ens permeti definir la seva urgència d'accés i, en conseqüència, les prioritats de despesa



Matriu de valoració per impacte i viabilitat de les iniciatives proposades per al repte 2

## Repte 3

# Garantir la sostenibilitat en el finançament de les teràpies avançades en el Sistema Nacional de Salut

La incorporació de les teràpies avançades en la pràctica mèdica ha transformat l'abordatge de nombroses malalties, proporcionant noves opcions terapèutiques a pacients que prèviament mancaven de tractaments eficaços. No obstant això, aquestes innovacions plantegen desafiaments significatius pels sistemes de salut, particularment en termes de sostenibilitat financera. L'elevat cost de desenvolupament, la complexitat dels processos de producció i la seva aplicació a poblacions reduïdes dificulten la fixació de preus i els models de finançament d'aquestes teràpies.

L'avaluació del valor real de les teràpies avançades va més enllà dels enfocaments tradicionals d'anàlisi cost-benefici. És necessari adoptar una perspectiva integral que no sols contempli el cost monetari immediat, sinó també l'impacte a llarg termini en la qualitat de vida dels pacients i la possible reducció de costos futurs en el sistema de salut. A més, la incertesa inherent a aquestes teràpies emergents exigeix el desenvolupament de nous enfocaments per la recopilació i l'anàlisi d'evidència clínica, que permeti una millor presa de decisions.

En aquest context, resulta fonamental el disseny de models innovadors de finançament que equilibrin l'accés dels pacients a aquestes teràpies amb la sostenibilitat econòmica del sistema sanitari. Aquest desafiament requereix explorar les complexitats associades a la valoració i finançament de les teràpies avançades, així com les estratègies emergents que permetin garantir la seva accessibilitat sense comprometre l'estabilitat financera del sistema de salut a llarg termini.

Els acceleradors identificats van ser:

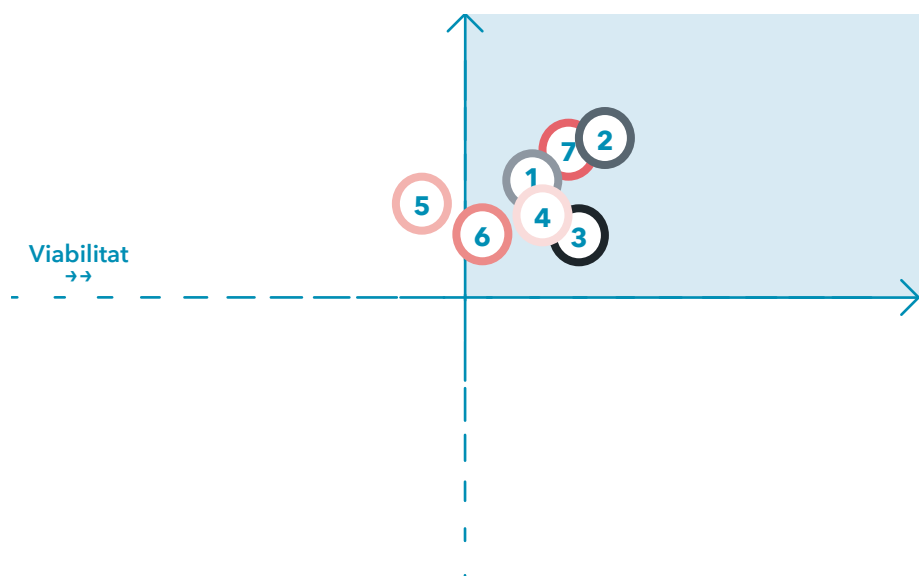
- Emprar tecnologia amb l'objectiu de facilitar la recollida i avaluació de dades.
- Potenciar el seguiment de l'impacte indirecte (sanitari i social).
- Establir models de finançament lligats a resultats.
- Revisió de resultats i preu/finançament associat al valor real aportat.
- Establir mesures de "deixar de fer", de manera que es pugui prioritzar la selecció de teràpies finançades.
- Potenciar la transparència de l'impacte pressupostari i inversió.
- Corresponsabilització i conscienciació dels professionals implicats.
- Augmentar el coneixement i formació sobre gestió clínica, compra pública innovadora i l'accés precoç.

D'altra banda, les barreres definides van ser:

- Les limitacions pressupostàries.
- L'avaluació de fàrmacs d'una sola dosi.
- La falta d'evidència i dades de valor en pràctica clínica.
- La falta de confiança i comunicació entre els agents implicats (administració, indústria, hisenda, etc.).
- Les normatives de contractació.
- L'inflexible marc normatiu actual, que frena la creació de models innovadors de compra.
- La inexistència d'un òrgan de seguiment institucionalitzat

## Iniciatives

- 1 Promoure l'avaluació de resultats i del valor aportat, per la prioritització en el finançament de teràpies avançades.
- 2 Establir models de finançament dinàmic, seguiment, revaluació i refinançament lligats a resultats.
- 3 Definir indicadors per l'avaluació i impacte que reflecteixin el valor aportat.
- 4 Establir models de col·laboració pública-privada.
- 5 Promoure la recerca i el treball col·laboratiu entre CA.
- 6 Impulsar un marc normatiu dinàmic que s'adapti a models innovadors de compra.
- 7 Impulsar eines tecnològiques que facilitin la recollida de dades d'avaluació i impacte pressupostari..



Matriu de valoració per impacte i viabilitat de les iniciatives proposades per al repte 3

## Repte 4

# Adaptar el marc normatiu al context actual i les característiques pròpies de les teràpies avançades

Malgrat els avanços significatius en l'àmbit clínic de les teràpies avançades, el marc normatiu i legal no ha evolucionat al mateix ritme, creant un desfament que dificulta l'accés i la implementació d'aquestes teràpies prometedores.

Des de l'autorització de les primeres teràpies avançades a Europa fa més de dues dècades, el panorama ha canviat dràsticament. Actualment, la Unió Europea compta amb 26 teràpies avançades aprovades, de les quals set estan disponibles en el Sistema Nacional de Salut espanyol. Aquesta realitat subratlla la urgent necessitat d'adaptar les estructures organitzatives i normatives per a facilitar l'accés a aquests tractaments innovadors.

Les oportunitats a tenir en compte pel desenvolupament d'aquest nou marc normatiu són:

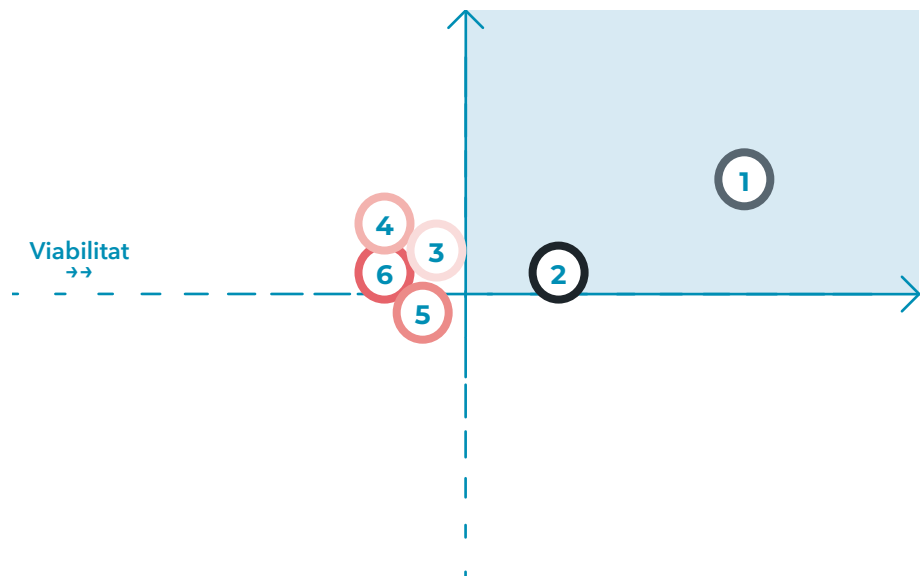
- Analitzar i identificar les peculiaritats específiques de les teràpies avançades.
- Impulsar els canvis necessaris en la llei de contractació pública.
- Suport en el marc legislatiu farmacèutic europeu.
- Aprendre de l'experiència de les teràpies CAR-T.
- Creació d'una normativa flexible, modulable i vinculant.
- Conscienciació i capaciació específica dels diferents agents implicats en el desenvolupament normatiu.

Les barreres identificades per la consecució de l'objectiu van ser:

- L'heterogeneïtat de característiques entre les diferents teràpies avançades.
- La falta de consens polític.
- La falta de lideratge.
- El desenvolupament normatiu actual, un procés lent.
- La prioritització d'aspectes no sanitaris.
- Les diferències organitzatives i legals entre CA.
- La rigidesa dels sistemes d'informació i de la gestió econòmica.

## Iniciatives

- 1 Enfortir el Pla Estratègic Nacional, incloent-hi les característiques específiques de les diferents teràpies avançades..
- 2 Definir i incloure nous perfils professionals especialitzats.
- 3 Promoure la capacitat específica als diferents agents implicats en el desenvolupament normatiu (Tribunal de Comptes, Ministeri d'Economia, Comerç i Empresa, AIREF, Assessories Jurídiques i Interventors, Conselleries d'Hisenda de les CA).
- 4 Desenvolupar una normativa dinàmica que pugui adaptar-se al desenvolupament i necessitats científiques.
- 5 Avaluar l'impacte del marc normatiu.
- 6 Desenvolupar una agència de qualitat assistencial independent (ex. AIREF).



Matriu de valoració per impacte i viabilitat de les iniciatives proposades per al repte 4

## Repte 5

# Agilitzar el procés d'avaluació de les teràpies avançades

A mesura que les teràpies avançades emergeixen, es fa evident la necessitat d'agilitzar els processos d'avaluació i aprovació per garantir que els pacients puguin beneficiar-se d'elles de manera oportuna.

En els últims anys, Espanya ha fet passos significatius en la implementació i regulació de teràpies avançades, com ho demostra l'èxit del Pla Nacional de Teràpies Avançades. No obstant això, el creixent nombre de tractaments innovadors i la complexitat de la seva avaluació plantegen nous desafiaments que requereixen una resposta eficient del sistema sanitari.

L'Agència Espanyola de Medicaments i Productes Sanitaris (AEMPS) ha reconegut aquesta necessitat en introduir un procediment d'avaluació accelerada o fast-track per a certs assajos clínics. Aquesta iniciativa promet reduir els temps d'avaluació fins a un 30%, la qual cosa podria traduir-se en un accés més ràpid a teràpies potencialment eficaces i eficients.

Com altres acceleradors del procés, el grup d'experts va identificar:

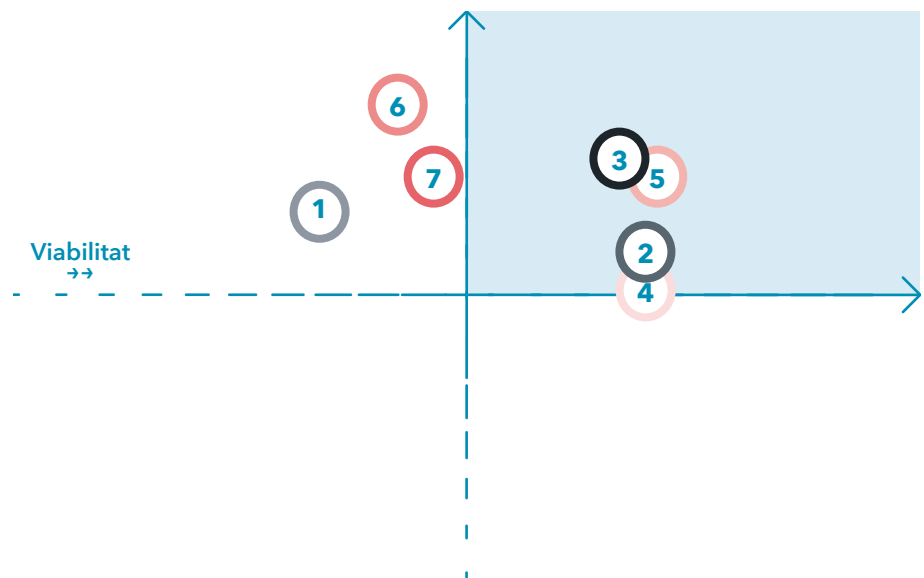
- El desenvolupament i inclusió del procés d'avaluació en el pla estratègic de teràpies avançades.
- Definir què i per a què avaluem.
- La inclusió de dades d'avaluació econòmica i d'eficiència.
- Optimitzar la interoperabilitat dels sistemes d'informació.
- Comptar amb el suport d'una normativa estandarditzada i dinàmica.
- Procediments d'avaluació de resultats en períodes.
- Impulsar la confiança i el diàleg entre els agents implicats.

Per contra, les barreres identificades van ser:

- La falta de cultura de registre de dades.
- La falta de consciència i responsabilitat professional cap a l'avaluació.
- La falta de transparència i comunicació de resultats.
- Les diferències en la predisposició per part de la indústria farmacèutica.
- La falta de claredat en els objectius comuns de l'avaluació per la presa de decisions.

## Iniciatives

- 1 • Creació d'una agència reguladora professionalitzada a nivell nacional (ex. Revalmed).
- 2 • Impulsar la publicació de resultats d'avaluació econòmica i eficiència.
- 3 • Definir procediments clars i estandarditzats que impulsin l'accés precoç.
- 4 • Promoure la inclusió de la veu del pacient.
- 5 • Impulsar el diàleg entre els diferents agents implicats.
- 6 • Desenvolupament de sistemes d'informació interoperables.
- 7 • Inclusió de dades clíniques en el model de compra i finançament.



Matriu de valoració per impacte i viabilitat de les iniciatives proposades per al repte 5

## Repte 6

# Reduir l'heterogeneïtat i inequitat en l'accés de les teràpies avançades entre Comunitats Autònomes

La incorporació de les teràpies avançades a Espanya ha generat noves expectatives per pacients amb malalties greus; no obstant això, també ha evidenciat un desafiament crucial: la potencial inequitat en l'accés a aquests tractaments. Malgrat els avanços aconseguits des de la implementació del Pla d'Abordatge de les Teràpies Avançades al 2018, encara persisteixen barreres que dificulten l'accés oportú i equitatiu de tots els pacients elegibles a aquestes teràpies.

La situació actual posa de manifest una problemàtica preocupant: les traves administratives, la falta d'actualització del pla nacional i les disparitats regionals en la implementació d'aquestes teràpies han generat un accés desigual que requereix ser abordat amb urgència mitjançant estratègies coordinades i sostenibles.

Entre les principals causes que podrien causar aquesta inequitat destaquen:

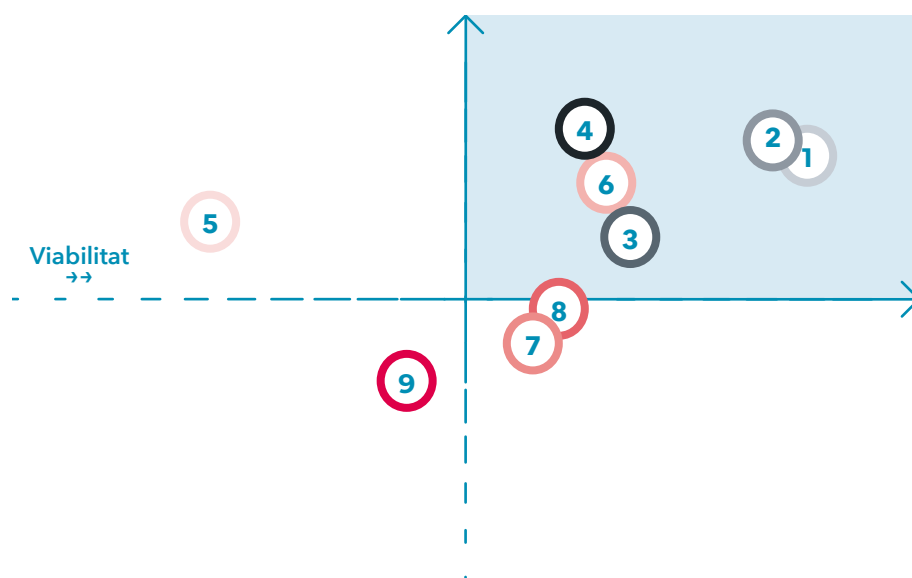
- Diferències d'indicacions entre les CA.
- Diferències en l'avaluació i posicionament de les CA.
- Heterogeneïtat en els protocols establerts entre els Comitès Nacionals i Autonòmics.

Com a oportunitats per a la reducció de la inequitat existent, el grup expert va identificar:

- La transparència i difusió de resultats.
- Assegurar una major coordinació i treball en xarxa.
- Facilitar la comunicació constant entre centres per compartir *best practices*.

## Iniciatives

- 1 • Impuls de la formació i capacitat dels professionals, així com la seva especialització en teràpies avançades.
- 2 • Estandardització nacional de processos i protocols d'accés a les teràpies avançades.
- 3 • Creació de comitès autonòmics encarregats de definir el millor tractament pels pacients (assaig vs. teràpia comercial).
- 4 • Impuls de l'avaluació de resultats en salut amb l'objectiu d'analitzar l'accés i l'equitat en resultats.
- 5 • Incorporació del cost de l'impacte social en el preu de la teràpia.
- 6 • Millorar la coordinació en el seguiment del pacient entre centres de diferents Comunitats Autònomes i assegurar la traçabilitat dels resultats.
- 7 • Col·laborar i treballar de manera constant amb les Associacions de Pacients i els seus respectius pacients experts..
- 8 • Ajustar el model de compensació (Sistema d'Informació del Fons de Cohesió, SIFCO).
- 9 • Creació i ampliació de centres intra-comunitat.



Matriu de valoració per impacte i viabilitat de les iniciatives proposades per al repte 6

## 5


# Iniciatives prioritàries i propostes de pla d'acció


Considerant els reptes presents en l'actualitat i en el futur, es van proposar 42 iniciatives per a abordar els principals reptes identificats en l'adopció de les teràpies avançades a Espanya.

Atenent la seva importància i a l'avaluació del seu potencial impacte/viabilitat, es van destacar 9 com a línies d'acció prioritàries. Es presenten a continuació:


REPTE	Iniciatives
<b>REPTE 1</b>  <b>Optimitzar els models d'avaluació existents i/o generar nous models d'avaluació</b>	<b>1</b> Creació i/o millora de les eines tecnològiques per facilitar el procés d'avaluació i mesurament.
	<b>2</b> Disseny de noves metodologies d'avaluació mitjançant la definició de nous criteris de mesurament adaptats a les teràpies avançades.
	<b>3</b> Col·laboració i diàleg primerenc amb la indústria (hospitals i CA) per definir de manera prematura els aspectes clau necessaris i que requereixen ser mesurats des de l'àmbit assistencial..
	<b>4</b> Definició i estandardització dels criteris de revaluació, incloent-hi factors fonamentals com l'impacte social i les alternatives terapèutiques sorgides.
	<b>5</b> Inclusió en els protocols de mesurament als pacients que provenen d'assajos clínics.
	<b>6</b> Difusió i distribució de les dades en salut entre les Comunitats Autònomes (i fins i tot països) per a assegurar la seva transparència..
	<b>7</b> Professionalització de l'avaluació i incentiu de l'orientació cap a el mesurament de resultats entre tots els professionals sanitaris del Sistema Nacional de Salut.


REPTE	Iniciatives
<p><b>REPTE 2</b></p> <p><b>Optimitzar el procés de finançament i entrada al mercat de les noves</b></p>	<ol style="list-style-type: none"> <li data-bbox="531 517 1433 622">1 Ús de noves metodologies i eines de suport, com el Horizon Scanning, que ens ajudin en l'avaluació de les teràpies avançades pel seu futur finançament.</li> <li data-bbox="531 645 1433 712">2 Definició de llindars de despesa amb l'objectiu de ser més previsibles en el finançament.</li> <li data-bbox="531 734 1433 824">3 Diàleg primerenc amb la indústria per accelerar i facilitar el procés de finançament des de les seves etapes més precoces.</li> <li data-bbox="531 846 1433 952">4 Millorar els processos de revaluació econòmica i avaluació dinàmica, incloent-hi aspectes com la desfinanciació i el reposicionament de la teràpia..</li> <li data-bbox="531 974 1433 1041">5 Adaptació de la llei de contractes per impulsar nous sistemes de pagament com el pagament a llargs terminis.</li> <li data-bbox="531 1064 1433 1169">6 Millorar el mesurament del cost-efectivitat i impacte clínic d'una teràpia avançada amb l'objectiu que ens permeti definir la seva urgència d'accés i, en conseqüència, les prioritats de despesa</li> </ol>
<p><b>REPTE 3</b></p> <p><b>Garantir la sostenibilitat en el finançament de les teràpies avançades en el Sistema Nacional de Salut</b></p>	<ol style="list-style-type: none"> <li data-bbox="531 1200 1433 1283">1 Promoure l'avaluació de resultats i del valor aportat, per la prioritització en el finançament de teràpies avançades.</li> <li data-bbox="531 1305 1433 1373">2 Establir models de finançament dinàmic, seguiment, revaluació i refinançament lligats a resultats.</li> <li data-bbox="531 1395 1433 1462">3 Definir indicadors per l'avaluació i impacte que reflecteixin el valor aportat.</li> <li data-bbox="531 1485 1433 1552">4 Establir models de col·laboració pública-privada.</li> <li data-bbox="531 1574 1433 1641">5 Promoure la recerca i el treball col·laboratiu entre CA.</li> <li data-bbox="531 1664 1433 1769">6 Impulsar un marc normatiu dinàmic que s'adapti a models innovadors de compra.</li> <li data-bbox="531 1792 1433 1874">7 Impulsar eines tecnològiques que facilitin la recollida de dades d'avaluació i impacte pressupostari..</li> </ol>

 Iniciativa rellevant pel grup d'experts

 Iniciativa destacada per tenir major impacte i viabilitat

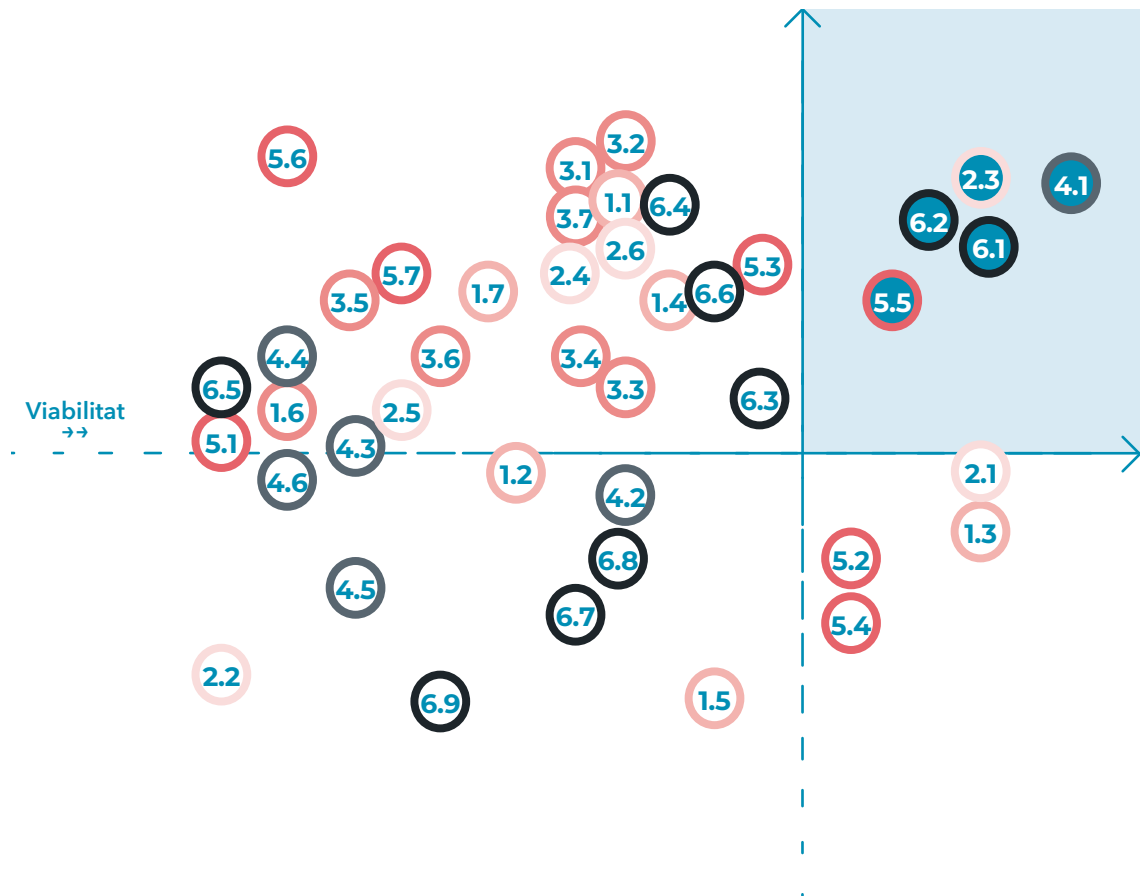
REPTE	Iniciatives
<p><b>REPTE 4</b></p> <p><b>Adaptar el marc normatiu al context actual i les característiques pròpies de les teràpies avançades</b></p>	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>1</b> Enfortir el Pla Estratègic Nacional, incloent-hi les característiques específiques de les diferents teràpies avançades..</li> <li><b>2</b> Definir i incloure nous perfils professionals especialitzats.</li> <li><b>3</b> Promoure la capacitat específica als diferents agents implicats en el desenvolupament normatiu (Tribunal de Comptes, Ministeri d'Economia, Comerç i Empresa, AIREF, Assessories Jurídiques i Interventors, Conselleries d'Hisenda de les CA).</li> <li><b>4</b> Desenvolupar una normativa dinàmica que pugui adaptar-se al desenvolupament i necessitats científiques.</li> <li><b>5</b> Avaluar l'impacte del marc normatiu.</li> <li><b>6</b> Desenvolupar una agència de qualitat assistencial independent (ex. AIREF).</li> </ul>
<p><b>REPTE 5</b></p> <p><b>Agilitzar el procés d'avaluació de les teràpies avançades</b></p>	<ul style="list-style-type: none"> <li><b>1</b> Creació d'una agència reguladora professionalitzada a nivell nacional (ex. Revalmed).</li> <li><b>2</b> Impulsar la publicació de resultats d'avaluació econòmica i eficiència.</li> <li><b>3</b> Definir procediments clars i estandarditzats que impulsin l'accés precoç.</li> <li><b>4</b> Promoure la inclusió de la veu del pacient.</li> <li><b>5</b> Impulsar el diàleg entre els diferents agents implicats.</li> <li><b>6</b> Desenvolupament de sistemes d'informació interoperables.</li> <li><b>7</b> Inclusió de dades clíniques en el model de compra i finançament.</li> </ul>

 Iniciativa rellevant pel grup d'experts

 Iniciativa destacada per tenir major impacte i viabilitat

REPTE	Iniciatives
<p><b>REPTE 6</b></p> <p><b>Reduir l'heterogeneïtat i inequitat en l'accés de les teràpies avançades entre Comunitats Autònomes</b></p>	<ol style="list-style-type: none"> <li data-bbox="539 517 1374 577">① <b>Impuls de la formació i capacitació dels professionals, així com la seva especialització en teràpies avançades.</b></li> <li data-bbox="539 622 1358 683">② <b>Estandardització nacional de processos i protocols d'accés a les teràpies avançades.</b></li> <li data-bbox="539 728 1342 788">③ <b>Creació de comitès autonòmics encarregats de definir el millor tractament pels pacients (assaig vs. teràpia comercial).</b></li> <li data-bbox="539 833 1401 893">④ <b>Impuls de l'avaluació de resultats en salut amb l'objectiu d'analitzar l'accés i l'equitat en resultats.</b></li> <li data-bbox="539 938 1369 999">⑤ <b>Incorporació del cost de l'impacte social en el preu de la teràpia.</b></li> <li data-bbox="539 1043 1369 1104">⑥ <b>Millorar la coordinació en el seguiment del pacient entre centres de diferents Comunitats Autònomes i assegurar la traçabilitat dels resultats.</b></li> <li data-bbox="539 1149 1401 1209">⑦ <b>Col·laborar i treballar de manera constant amb les Associacions de Pacients i els seus respectius pacients experts..</b></li> <li data-bbox="539 1254 1398 1314">⑧ <b>Ajustar el model de compensació (Sistema d'Informació del Fons de Cohesió, SIFCO).</b></li> <li data-bbox="539 1359 1161 1420">⑨ <b>Creació i ampliació de centres intracomunitat.</b></li> </ol>

## Matriu d'avaluació global de les iniciatives sobre la base del seu impacte i viabilitat



Iniciativa destacada per tenir major impacte i viabilitat

## Avaluació global de les iniciatives

Considerant les 42 iniciatives proposades per abordar els principals reptes identificats en l'adopció de les teràpies avançades a Espanya, atenent la seva importància i a l'avaluació del seu potencial impacte/viabilitat, es van destacar 9 línies d'acció prioritàries.

Les iniciatives amb major impacte i viabilitat van ser:

- Enfortir el Pla Estratègic Nacional, incloent-hi les característiques específiques de les diferents teràpies avançades.
- Establir un diàleg precoç amb la indústria per a accelerar i facilitar el procés de finançament des de les seves etapes més precoces.

- Estandardització nacional de processos i protocols d'accés a les teràpies avançades.
- Impulsar la formació i capacitatció dels professionals, així com la seva especialització en teràpies avançades.
- Impulsar el diàleg entre els diferents agents implicats en el procés d'avaluació de teràpies avançades.

El grup d'experts també va valorar com a iniciatives més rellevants:

- Establir models de finançament dinàmic, seguiment, revaluació i refinançament lligats a resultats.
- Promoure l'avaluació de resultats i del valor aportat, per la prioritització en el finançament de teràpies avançades.
- Enfortir el Pla Estratègic Nacional, incloent-hi les característiques específiques de les diferents teràpies avançades.
- Creació i/o millora de les eines tecnològiques per facilitar el procés d'avaluació i mesurament.
- Millorar els processos de revaluació econòmica i avaluació dinàmica, incloent-hi aspectes com el desfinançament i el reposicionament de la teràpia.

## Propostes del pla d'acció

Per la definició i desenvolupament de cadascuna de les iniciatives prioritàries, se segueix el següent esquema:

<b>Repte</b>	Repte al qual dona resposta la iniciativa
<b>Iniciativa</b>	Nom de la línia d'acció prioritzada
<b>Descripció</b>	Justificació i explicació de la iniciativa
<b>Objectius</b>	Propòsit de la posada en marxa de la iniciativa
<b>Actuacions</b>	Activitats clau a desenvolupar
<b>Agents</b>	Agents que és necessari implicar per a la consecució de la iniciativa <sup>1</sup>

### Enfortir el Pla Estratègic Nacional, incloent-hi les característiques específiques de les diferents teràpies avançades.

<b>Repte</b>	<b>Adaptar el marc normatiu al context actual i les característiques pròpies de les teràpies avançades</b>
<b>Línia d'acció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Enfortir el Pla Estratègic Nacional, incloent-hi les característiques específiques de les diferents teràpies avançades.</li> </ul>
<b>Descripció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Actualitzar i enfortir el Pla d'Abordatge de Teràpies Avançades en el Sistema Nacional de Salut, incorporant les particularitats de les diferents modalitats de teràpies avançades.</li> </ul>
<b>Objectius</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Actualitzar el marc estratègic nacional per reflectir els últims avenços en teràpies avançades.</li> <li>• Homogeneïtzar la incorporació de noves teràpies.</li> <li>• Millorar l'accés equitatiu a aquestes teràpies en tot el territori nacional.</li> <li>• Estandarditzar i harmonitzar el marc de referència normatiu.</li> <li>• Desenvolupar una normativa dinàmica que pugui adaptar-se al desenvolupament i necessitats científiques.</li> <li>• Descriure un marc de referència pel desenvolupament, avaluació i inclusió de noves indicacions terapèutiques.</li> <li>• Definir procediments clars i estandarditzats que impulsin l'accés precoç.</li> <li>• Mantenir el lideratge d'Espanya en el desenvolupament i aplicació de teràpies avançades.</li> </ul>
<b>Actuacions</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Definir un grup de treball multidisciplinari format per professionals sanitaris experts i autoritats de l'administració sanitària.</li> <li>• Analitzar les particularitats de cada tipus de teràpia.</li> <li>• Establir uns criteris i pautes d'actuació.</li> <li>• Elaborar documents que recullin procediments clars a nivell nacional.</li> <li>• Implementar, avaluar i actualitzar els criteris consensuats.</li> <li>• Incorporar nous models i protocols d'avaluació i revaluació orientats a valor i a un millor finançament.</li> <li>• Establir aliances estratègiques per la col·laboració dels diferents agents implicats.</li> <li>• Crear Comitès Autònoms encarregats d'avaluar tractaments i la seva adequació pels pacients.</li> </ul>
<b>Stakeholders</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Ministeri de Sanitat, Ministeri de Ciència i Innovació, Conselleries de Sanitat de les Comunitats Autònomes, agències reguladores, professionals sanitaris, institucions de recerca, indústria farmacèutica i centres sanitaris.</li> </ul>

### Establir un diàleg primerenc amb la indústria per accelerar i facilitar el procés de finançament des de les seves etapes més precoces

<b>Repte</b>	Optimitzar el procés de finançament i entrada al mercat de les noves teràpies.
<b>Línia d'acció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Establir un diàleg primerenc amb la indústria per accelerar i facilitar el procés de finançament des de les seves etapes més precoces.</li> </ul>
<b>Descripció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Desenvolupar sinergies i canals de comunicació entre autoritats sanitàries i indústria farmacèutica des d'etapes prèvies a l'autorització, per accelerar l'accés a tractaments innovadors i contribuir a l'ús més eficient dels recursos.</li> </ul>
<b>Objectius</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Alinear necessitats i expectatives entre la indústria farmacèutica, centres de referència i agents reguladors i finançadors.</li> <li>Anticipar i abordar possibles desafiaments en el procés de finançament.</li> <li>Reduir temps d'avaluació i accés després de l'autorització.</li> <li>Facilitar la planificació de recursos i agilitzar els processos burocràtics.</li> <li>Assegurar la col·laboració estratègica entre l'àmbit assistencial públic i privat.</li> <li>Facilitar els processos d'avaluació, finançament i accés de les teràpies.</li> </ul>
<b>Actuacions</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Analitzar les particularitats de cada tipus de teràpia.</li> <li>Establir protocols i processos de diàleg entre els agents involucrats.</li> <li>Desenvolupar guies de recomanacions, que recullin un cronograma amb els punts clau del procés global, criteris aplicats i accions requerides per part de cada agent.</li> <li>Dissenyar canals de comunicació àgils.</li> <li>Definir i estandarditzar de manera col·laborativa protocols d'avaluació orientats al valor per facilitar el procés d'accés i finançament.</li> <li>Impulsar l'ús d'eines tecnològiques per facilitar el procés d'avaluació.</li> <li>Definir nous models de col·laboració pública-privada.</li> </ul>
<b>Stakeholders</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Ministeri de Sanitat, Ministeri de Ciència i Innovació, agències reguladores, professionals/institucions de recerca i gestió sanitària i indústria farmacèutica.</li> </ul>

### Estandardització nacional de processos i protocols d'accés a les teràpies avançades

<b>Repte</b>	<b>Reduir l'heterogeneïtat i inequitat en l'accés de les teràpies avançades entre CA.</b>
<b>Línia d'acció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Estandardització nacional de processos i protocols d'accés a teràpies avançades.</li> </ul>
<b>Descripció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Aquesta iniciativa cerca establir procediments clars i uniformes per millorar l'equitat i eficiència, reduint les diferències d'accés entre comunitats autònomes, maximitzant l'impacte de les teràpies avançades i assegurant l'accés uniforme dels pacients.</li> </ul>
<b>Objectius</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Garantir un accés equitatiu a les teràpies avançades en totes les Comunitats Autònomes.</li> <li>• Millorar la coordinació en l'abordatge del pacient entre els diferents centres.</li> <li>• Definir procediments clars i estandarditzats que impulsin l'accés precoç.</li> <li>• Optimitzar els processos d'avaluació i selecció de pacients.</li> <li>• Millorar l'eficiència en l'administració i seguiment d'aquestes teràpies.</li> <li>• Facilitar el registre, la recollida de resultats en salut i l'avaluació de resultats a nivell nacional.</li> <li>• Millorar els processos d'avaluació, accés i finançament de les teràpies avançades.</li> <li>• Garantir la sostenibilitat del sistema.</li> <li>• Impulsar la comunicació i col·laboració entre els principals agents implicats promovent la coordinació entre les diferents CA.</li> </ul>
<b>Actuacions</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Desenvolupar protocols estandarditzats per la valoració de sol·licituds de teràpies avançades.</li> <li>• Establir criteris uniformes per la designació de centres autoritzats per administrar aquestes teràpies.</li> <li>• Implementar un sistema centralitzat de seguiment i registre de teràpies avançades.</li> <li>• Crear guies nacionals pel maneig i seguiment de pacients.</li> <li>• Estandarditzar els procediments de derivació de pacients entre centres i Comunitats Autònomes.</li> <li>• Crear comitès nacionals per l'elaboració de processos i protocols.</li> <li>• Definir procediments i indicadors d'avaluació i impulsar l'avaluació de resultats en salut.</li> <li>• Definir i implementar models de col·laboració entre els diferents agents clau identificats.</li> </ul>
<b>Stakeholders</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Ministeri de Sanitat, agències reguladores, professionals sanitaris, institucions de recerca, indústria farmacèutica, societats científiques, associacions de pacients i representants de centres sanitaris.</li> </ul>

### Impulsar la formació i capacitatíó dels professionals, així com la seva especialització en teràpies avançades

<b>Repte</b>	<b>Reduir l'heterogeneïtat i inequitat en l'accés de les teràpies avançades entre CA.</b>
<b>Línia d'acció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Impulsar la formació i capacitatíó dels professionals, així com la seva especialització en teràpies avançades.</li> </ul>
<b>Descripció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Desenvolupar programes de formació i capacitatíó integral especialitzada en teràpies avançades.</li> </ul>
<b>Objectius</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Promoure i assegurar una capacitatíó global dels diferents professionals implicats en: recerca, desenvolupament normatiu, accés, avaluació, finançament, implementació, abordatge clínic i seguiment de les teràpies avançades.</li> <li>• Augmentar el expertise i el coneixement de bones pràctiques.</li> <li>• Facilitar la transferència de coneixement.</li> <li>• Promoure la innovació.</li> </ul>
<b>Actuacions</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Crear comitès multidisciplinaris.</li> <li>• Desenvolupar programes acreditats especialitzats en teràpies avançades.</li> <li>• Generar programes d'intercanvi de formació en centres de referència.</li> <li>• Organitzar congressos o sessions d'actualització multidisciplinària.</li> <li>• Promoure canals de comunicació.</li> <li>• Fomentar els àmbits clau de les teràpies avançades com són l'avaluació i l'orientació cap a valor i resultats.</li> </ul>
<b>Stakeholders</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Ministeri de Sanitat, agències reguladores, professionals sanitaris, indústria farmacèutica, societats científiques, centres especialitzats i de formació.</li> </ul>

## Impulsar el diàleg entre els diferents agents implicats en el procés d'avaluació de teràpies avançades

<b>Repte</b>	<b>Agilitzar el procés d'avaluació de les teràpies avançades</b>
<b>Línia d'acció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Impulsar el diàleg entre els diferents agents implicats en el procés d'avaluació de les teràpies avançades.</li> </ul>
<b>Descripció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Aquesta iniciativa busca fomentar i facilitar la comunicació efectiva entre els diversos actors involucrats en el procés d'avaluació de les teràpies avançades.</li> </ul>
<b>Objectius</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Millorar i agilitzar els procediments d'avaluació de les teràpies avançades.</li> <li>• Promoure la coordinació entre centres, impulsant el treball en xarxa.</li> <li>• Optimitzar el procés d'avaluació de les teràpies avançades.</li> <li>• Crear canals de comunicació eficaços i efectius entre els diferents agents implicats.</li> <li>• Assegurar el diàleg d'hora per facilitar els models d'avaluació.</li> <li>• Promoure i establir nous models de col·laboració (ex. pública-privada).</li> </ul>
<b>Actuacions</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Identificar els diferents agents clau en el procés d'avaluació de les teràpies avançades, garantint la participació multisectorial.</li> <li>• Facilitar el procés d'avaluació, reduint els temps d'aprovació de teràpies segures i eficaces.</li> <li>• Crear protocols estandarditzats de comunicació entre els diferents agents.</li> <li>• Promoure canals de comunicació que facilitin el diàleg d'hora.</li> <li>• Implementar programes de formació i capacitació dels diferents agents implicats.</li> </ul>
<b>Stakeholders</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Autoritats sanitàries, indústria farmacèutica, professionals sanitaris i agències reguladores.</li> </ul>

### Establir models de finançament dinàmics, seguiment, revaluació i refinançament, lligat a resultats.

<b>Repte</b>	<b>Garantir la sostenibilitat en el finançament de les teràpies avançades en el Sistema Nacional de Salut</b>
<b>Línia d'acció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Establir models de finançament dinàmic, seguiment, revaluació i refinançament lligat a resultats.</li> </ul>
<b>Descripció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Aquesta iniciativa busca implementar un sistema de finançament flexible i adaptatiu per les teràpies avançades, que s'ajusti en funció dels resultats obtinguts en pràctica clínica real i de forma adaptada al llarg del temps. Aquest enfocament permet una assignació més eficient dels recursos i una millor adaptació a l'evolució i efectivitat d'aquestes teràpies innovadores.</li> </ul>
<b>Objectius</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Desenvolupar models de mesurament de cost-efectivitat i impacte clínic per definir la urgència d'accés i les prioritats de la despesa de cada teràpia.</li> <li>• Obtenir dades actualitzades d'efectivitat.</li> <li>• Optimitzar la inversió basant-se en l'efectivitat real.</li> <li>• Incentivar la innovació i desenvolupament de teràpies més efectives.</li> <li>• Ajustar l'accés de cada teràpia, facilitant també l'accés d'hora.</li> <li>• Promoure la cultura d'avaluació i decisions basades en evidència, assegurant també la traçabilitat dels resultats.</li> <li>• Desenvolupar nous models de finançament, revaluació i refinançament.</li> <li>• Fomentar la col·laboració entre centres.</li> </ul>
<b>Actuacions</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Desenvolupar un sistema de recollida de dades clíniques de vida real, que sigui estandarditzat i a nivell nacional.</li> <li>• Establir indicadors i criteris clars i mesurables d'efectivitat clínica per a cada tipus de teràpia avançada.</li> <li>• Implementar models de finançament vinculats a resultats obtinguts (ex. models de pagament per risc compartit).</li> <li>• Crear un comitè d'experts multidisciplinari per l'avaluació periòdica dels resultats i la presa de decisions sobre refinançament.</li> <li>• Desenvolupar models predictius que facilitin l'obtenció d'informació de valor.</li> <li>• Establir un sistema de revaluació periòdica (anual o bianual) de l'efectivitat i el cost-benefici de cada teràpia avançada finançada.</li> <li>• Implementar un sistema de finançament escalonat, on el pagament complet es realitzi solament si s'arriben a certes fites d'efectivitat al llarg del temps.</li> <li>• Impuls de la tecnologia com a eina fonamental.</li> </ul>
<b>Stakeholders</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Ministeri de Sanitat, AEMPS, agents reguladors, proveïdors i de finançament, Comunitats Autònomes, centres de referència i indústria farmacèutica.</li> </ul>

### Promoure l'avaluació de resultats i del valor aportat per la prioritització en el finançament de teràpies avançada

<b>Repte</b>	<b>Garantir la sostenibilitat en el finançament de les teràpies avançades en el Sistema Nacional de Salut.</b>
<b>Línia d'acció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Promoure l'avaluació de resultats i del valor aportat de les teràpies avançades per la seva prioritització en el finançament.</li> </ul>
<b>Descripció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Aquesta iniciativa cerca assegurar que les teràpies avançades més efectives i valuoses siguin prioritzades en el finançament, optimitzant així els recursos del sistema de salut i millorant l'accés dels pacients a tractaments innovadors.</li> </ul>
<b>Objectius</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Definir i estandarditzar els criteris d'avaluació i revaluació incloent nous factors (com l'impacte social o les alternatives terapèutiques).</li> <li>Impulsar l'avaluació de resultats en salut.</li> <li>Conèixer el valor clínic que aportarà cada teràpia avançada.</li> <li>Identificar quines són les teràpies avançades amb major necessitat de finançament.</li> <li>Prioritzar el finançament de les teràpies avançades que generin major valor pel sistema sanitari.</li> <li>Facilitar l'accés a les teràpies avançades.</li> <li>Garantir la sostenibilitat del sistema sanitari.</li> </ul>
<b>Actuacions</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Identificar quins són els indicadors que necessitem avaluar per identificar el valor aportat.</li> <li>Impulsar eines tecnològiques que facilitin la recollida de resultats d'avaluació i impacte pressupostari, associats al valor aportat de cada teràpia.</li> <li>Definir les grans necessitats clíniques per poder prioritzar les teràpies existents.</li> <li>Crear models d'avaluació en col·laboració amb la indústria amb l'objectiu de fer més efectiu el procés des de les etapes més primerenques.</li> <li>Definir nous models de compra innovadora que ens permetin facilitar l'accés de les teràpies avançades.</li> </ul>
<b>Stakeholders</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>Ministeri de Sanitat, agències reguladores, professionals/ institucions de recerca i indústria farmacèutica.</li> </ul>

## Creació i/o millora de les eines tecnològiques per facilitar el procés d'avaluació i mesurament

<b>Repte</b>	<b>Optimitzar els models d'avaluació existents i/o generar nous models d'avaluació.</b>
<b>Línia d'acció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Creació i/o millora de les eines tecnològiques per facilitar el procés d'avaluació i mesurament.</li> </ul>
<b>Descripció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Aquesta iniciativa cerca desenvolupar i implementar solucions tecnològiques avançades que permetin una avaluació més eficient, precisa i estandarditzada de les teràpies avançades.</li> </ul>
<b>Objectius</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Facilitar l'estandardització de processos d'avaluació en tot el territori nacional.</li> <li>• Promoure cultura d'avaluació i la presa de decisions basades en evidència.</li> <li>• Millorar l'eficiència i precisió en l'avaluació de teràpies avançades.</li> <li>• Facilitar la recollida de dades d'avaluació i impacte pressupostari.</li> <li>• Facilitar la recopilació, anàlisi i seguiment de dades clíniques a llarg termini.</li> <li>• Accelerar el procés d'avaluació i aprovació de noves teràpies.</li> <li>• Impulsar la coordinació i interoperabilitat entre els diferents agents implicats i centres.</li> <li>• Millorar la coordinació en el seguiment del pacient entre diferents centres a nivell nacional.</li> </ul>
<b>Actuacions</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Creació d'un comitè multidisciplinari expert que defineixi quines eines tecnològiques són necessàries i quines característiques són claus perquè tinguin un impacte i aplicabilitat real.</li> <li>• Analitzar les eines existents en tots els territoris, per valorar la seva utilitat i o necessitat d'optimització (ex. sistemes de traçabilitat, etc.).</li> <li>• Detectar quines eines no són presents i desenvolupar-les (ex. plataformes centralitzades per la gestió i anàlisi de dades clíniques de pacients).</li> <li>• Estandarditzar l'ús d'eines seleccionades que facilitin el procés de mesurament i/ o avaluació.</li> <li>• Implementar sistemes d'alerta primerenca basats en el monitoratge continu de dades.</li> <li>• Fomentar la capacitat i formació dels professionals.</li> <li>• Definir indicadors per l'avaluació i impacte que reflecteixin el valor aportat.</li> </ul>
<b>Stakeholders</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Ministeri de Sanitat, AEMPS, professionals sanitaris, empreses tecnològiques, centres de referència i indústria farmacèutica.</li> </ul>

### Millorar els processos de revaluació econòmica i avaluació dinàmica incloent aspectes com el desfinançament i el reposicionament de la teràpia

<b>Repte</b>	Garantir la sostenibilitat en el finançament de les teràpies avançades en el Sistema Nacional de Salut.
<b>Línia d'acció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Millorar els processos de revaluació econòmica i avaluació dinàmica incloent aspectes com el desfinançament i el reposicionament de la teràpia.</li> </ul>
<b>Descripció</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Aquesta iniciativa cerca generar nous processos d'avaluació dinàmica que assegurin i facilitin la revaluació de les teràpies avançades amb l'objectiu de definir el valor clínic aportat i el seu possible reposicionament.</li> </ul>
<b>Objectius</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Facilitar els protocols de revaluació de les teràpies avançades.</li> <li>• Assegurar el reposicionament de la teràpia segons la seva aportació de valor.</li> <li>• Optimitzar l'ús de recursos.</li> <li>• Promoure la sostenibilitat del sistema de finançament.</li> </ul>
<b>Actuacions</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Establir protocols homogeneïtzats de revaluació estandarditzats per a tots els centres.</li> <li>• Definir i estandarditzar els criteris de revaluació incloent factors fonamentals com l'impacte social i les alternatives terapèutiques sorgides.</li> <li>• Incloure nous aspectes en l'avaluació com la competència sorgida que possibilitin el reposicionament de la teràpia.</li> <li>• Millorar el mesurament del cost-efectivitat i impacte clínic d'una teràpia avançada.</li> <li>• Impulsar eines tecnològiques que facilitin la recollida de dades d'avaluació i impacte pressupostari.</li> <li>• Fomentar la capacitació i formació a professionals.</li> </ul>
<b>Stakeholders</b>	<ul style="list-style-type: none"> <li>• Ministeri de Sanitat, agències reguladores, professionals/ institucions de recerca i indústria farmacèutica.</li> </ul>

# 6

## Conclusions

---

**Les teràpies avançades es troben en un moment crucial amb avanços significatius i desafiaments per davant. Per això, és vital analitzar de manera minuciosa la situació actual i els reptes presents per poder desenvolupar accions que permetin respondre de forma adaptada, coordinada i optimitzada.**

Espanya té el potencial de consolidar la seva posició com a líder en teràpies avançades. Per a això serà crucial abordar els desafiaments d'accés, avaluació, finançament i transferència de la recerca i la pràctica clínica, mitjançant un enfocament adaptat, coordinat i compromès.

Basant-nos en els reptes identificats i les iniciatives proposades podem concloure que existeixen uns certs àmbits prioritaris.

---

### **Necessitat d'estandardització i enfocament estratègic nacional**

L'estandardització dels processos i protocols d'accés a les teràpies avançades es presenta com una prioritat fonamental per reduir les diferències entre Comunitats Autònomes i garantir un accés equitatiu en tot el país.

Aquest objectiu està estretament vinculat a la necessitat d'enfortir el pla estratègic nacional, integrant les particularitats de cada teràpia avançada per establir un marc homogeni i coherent que orienti la recerca, el desenvolupament, l'avaluació, el finançament i la implementació d'aquestes teràpies.

De manera complementària, resulta imperatiu adaptar el marc normatiu perquè respongui amb agilitat als avanços científics i tecnològics del sector, mitjançant el desenvolupament de models reguladors dinàmics i realistes que facilitin la seva implementació.

La convergència d'aquests tres pilars —estandardització, enfortiment estratègic i adaptació normativa— constitueix la base per consolidar un enfocament nacional cohesiu que reforci el lideratge d'Espanya en l'àmbit de les teràpies avançades, garantint la seva integració en el sistema sanitari i maximitzant el seu impacte en l'atenció als pacients.

---

### **Optimització de processos d'avaluació i finançament, amb enfocament en resultats i valor**

La implementació de processos robustos d'avaluació i revaluació és crucial per determinar el veritable valor aportat.

Enfocar els processos d'avaluació i finançament en els resultats i el valor generat representa una estratègia clau per garantir l'avenç i la sostenibilitat del sistema sanitari espanyol. És fonamental establir models de finançament dinàmic estretament vinculats als resultats clínics obtinguts, la qual cosa permetria una assignació més eficient dels recursos i una adaptació àgil a l'evolució de les teràpies innovadores. Aquest enfocament no sols optimitzaria la inversió, sinó que fomentaria la millora contínua i la innovació en el desenvolupament de teràpies avançades.

Per a això, és necessari adoptar metodologies d'avaluació que integrin, a més de l'impacte clínic, factors com la millora en la qualitat de vida dels pacients, la reducció de costos a llarg termini i l'efecte global en el sistema sanitari. En prioritzar models de finançament basats en el valor demostrat, es garanteix que els recursos s'assignin a aquelles teràpies que ofereixen els majors beneficis tant per als pacients com per al sistema de salut, contribuint així a la sostenibilitat del Sistema Nacional de Salut en l'àmbit de les teràpies avançades.

---

### **Col·laboració entre agents implicats**

La col·laboració entre els diferents agents implicats en l'àmbit de les teràpies avançades podria considerar-se un factor crític per l'èxit i l'acceleració del seu desenvolupament i implementació a Espanya.

La generació de noves aliances i el foment d'un diàleg obert i constructiu entre agents reguladors, institucions d'avaluació i finançament, investigadors, professionals sanitaris, representants de pacients i indústria farmacèutica és fonamental per crear un ecosistema dinàmic i eficient. Establir

sinergies multidisciplinàries no sols permet una comprensió més profunda de les necessitats i desafiaments existents, sinó que facilita la identificació de solucions innovadores i l'optimització dels processos pel desenvolupament, implementació i accés a aquestes teràpies.

La col·laboració primerenca amb la indústria, en particular, emergeix com una estratègia clau per agilitzar els processos des de les seves etapes inicials. Aquest enfocament permetria alinear les expectatives i requeriments reguladors amb les capacitats i plans de desenvolupament de la indústria, facilitant una planificació més efectiva dels recursos i una millor anticipació dels desafiaments potencials. A més, la interacció primerenca pot contribuir significativament a la definició de criteris d'avaluació més pertinents i a la creació de models de finançament innovadors que reflecteixin el valor real de les teràpies avançades..

---

## **Desenvolupament de capacitació específica i integració de tecnologia**

En un context d'avenços accelerats en el desenvolupament de teràpies avançades i de creixent necessitat d'adaptació del Sistema Nacional de Salut per respondre de manera eficient a aquesta nova realitat, resulta fonamental promoure la capacitació específica dels diferents professionals implicats en la seva implementació.

Així mateix, dins d'aquesta capacitació, és essencial el desenvolupament i integració de solucions tecnològiques que facilitin l'adopció de nous models d'abordatge, coordinació, avaluació i seguiment d'aquestes teràpies, optimitzant així la seva gestió i aplicació clínica.

Abordar els desafiaments actuals i desenvolupar iniciatives en les àrees esmentades no sols permetrà accelerar l'accés dels pacients a tractaments potencialment transformadors, sinó que contribuirà a enfortir la posició d'Espanya com a referent global en el camp de les teràpies avançades.

# Annex

## Acrònims

**AIReF:** Autoritat Independent de Responsabilitat Fiscal

**ANSM:** Agència Nacional de Seguretat del Medicament i dels Productes Sanitaris

**ARM:** Aliança per a la Medicina Regenerativa

**AseBio:** Associació Espanyola de Bioempreses

**BioCat:** Agent tractor de l'ecosistema d'innovació en salut a Catalunya

**ATMPs:** Advanced Therapy Medicinal Products

**CTA:** Comitè de Teràpies Avançades de la EMA (Committee Advanced Therapies)

**CA:** Comunitats Autònomes

**CSC:** Consorci de Salut i Social de Catalunya

**CERTERA:** Consorci Estatal en Xarxa per al desenvolupament de Medicaments de Teràpies Avançades

**DFG:** Fundació Alemanya de Recerca

**EFPIA:** Federació Europea de la Indústria Farmacèutica

**ELA:** Esclerosi Lateral Amiotròfica

**EMA:** Agència Europea del Medicament

**FJD-CIEMAT:** Unitat conjunta entre la Fundació Jiménez Díaz i el Centre de Recerques Energètiques, Mediambientals i Tecnològiques

**GCP:** Guia de Bones Pràctiques Clíniques

**GLP:** Guia de Bones Pràctiques en Laboratori

**GMP:** Guies específiques de Bones Pràctiques en la Fabricació

**I+D:** Recerca i desenvolupament

**IATA:** Iniciativa Andalus en Teràpies Avançades

**ISCIII:** Institut de Salut Carles III

**IRCCS:** Institut Científic de Recerca i Assistència Sanitària

**ISCT:** Societat Internacional de Teràpies Cel·lulars i Genètiques

**ITF:** Innovation Task Force

**JCA:** Avaluació Clínica Conjunta Europea (Joint Clinical Assessment)

**LLA-B:** Leucèmia linfoblàstica aguda de cèl·lules

**MTA:** Medicaments de teràpies avançades

**NHS:** Servei Nacional de Salut (Regne Unit)

**NICE:** Institut Nacional per a l'Excel·lència en la Salut i l'Atenció

**PERTE:** Projecte Estratègic per a la Recuperaçió i Transformació Econòmica

**PRIME:** Priority Medicines

**RIS3:** Estratègia de Recerca i Innovació per a l'Especialització Intel·ligent

**SERMAS:** Servei Madrileny de Salut

**SNS:** Sistema Nacional de Salut

**SIFCO:** Sistema d'Informació del Fons de Cohesió Sanitària

**TA:** Teràpies avançades

**TerAVal:** Sistema de Teràpies Avançades de Cantàbria

**TERAV:** Xarxa Espanyola de Teràpies Avançades

## Participants

**Álvaro Roca:** director de market access i public affairs de Pierre Fabre Espanya.

**Ana Rubio:** coordinadora de l'Àrea de Farmàcia del Servei de Salut de Castella-La Manxa.

**Antonio Pérez:** cap de Servei de Hemato-Oncologia Pediàtrica i Trasplantament Hematopoètic. Hospital Universitari La Paz. Investigador principal del Grup de Recerca Translacional en Càncer Infantil, Trasplantament Hematopoètic i Teràpia Cel·lular de l'Hospital Universitari La Paz de Madrid.

**Benigno Rosón:** subdirector de Sistemes i Tecnologies de la Informació en SERGAS, el Servei Galleg de Salut.

**Carla Alonso:** farmàcia hospitalària a l'Hospital Universitari Vall d'Hebron de Barcelona.

**Carlos Crespo:** cap de Servei de Farmàcia de l'Àrea Sanitària de Pontevedra i O Salnés.

**Elena Casaus:** cap de divisió de la Unitat de Teràpies Avançades. Divisió de la Unitat de Teràpies Avançades de la Conselleria de Sanitat de la Comunitat de Madrid.

**Flora Pérez:** cap de Servei de Gestió Farmacèutica del Servei Cantabre de Salut.

**Isabel Pinerós:** directora del Departament d'Accés de Farma-indústria.

**Josep M<sup>a</sup> Guiu:** director de l'Àrea de Farmàcia i del Medicament del Consorci de Salut i Social de Catalunya.

**Jose Luis Poveda:** gerent de l'Hospital Universitari i Politècnic de La Fe.

**Joan Vinent:** cap de la Unitat de Farmàcia Oncològica de l'Hospital Sant Joan de Déu.

**Juan Megías:** responsable de l'Oficina Autònoma de Medicina Predictiva, Personalitzada i Teràpies Avançades de la Comunitat Valenciana. Farmacèutic especialista en farmàcia hospitalària a l'Hospital Universitari i Politècnic La Fe.

**Nekane Murga:** directora de Planificació, Ordenació i Avaluació Sanitària del Departament de Salut del País Basc.

**Núria Gavaldà:** directora d'Estratègia i Innovació en el Banc de Sang i Teixits del Departament de Salut de Catalunya.

**Rubén Moreno:** ex secretari general de Sanitat i Consum del Sistema Nacional de Salut.

**Sandra Fontanals:** cap de Servei de Farmàcia del Institut Català de Oncologia (ICO).

**Vicente Arocas:** coordinació Regional de Teràpies Avançades en la Conselleria de Salut de la Regió de Múrcia.

**Vicente Escudero:** farmacèutic de la Unitat d'Onco-hematologia del Gregorio Marañón.

**Virginia Garcia:** coordinadora de l'Àrea de Farmàcia i del Medicament i Innovació del Consorci de Salut i Social de Catalunya.

Reptes i oportunitats  
en l'era de les teràpies  
avançades a Espanya

---

## Coordinació

**Josep M<sup>a</sup> Guiu:** director de l'Àrea de Farmàcia i del Medicament del Consorci de Salut i Social de Catalunya.



---

## Equip de suport metodològic i redactor



Pëtri- Laboratorio  
de Ideas S.L.

- Marcos Guerra Fernández  
Soci Director
- Rodrigo Gómez Ruiz  
Soci Director
- Inés Domínguez Fernández  
Consultora Sènior
- Elena Martínez Fernández  
Consultora Sènior

---

## Amb el suport de:



LABORATOIRES

**Pierre Fabre**

---

## Bibliografía

1. **Ministeri de Ciència i Innovació.** (2024, març). Societat mercantil teràpies avançades. Govern d' Espanya. <https://www.ciencia.gob.es/Noticias/2024/marzo/sociedad-mercantil-terapias-avanzadas.html>
2. **Ministeri de Sanitat, Consum i Benestar Social.** (2018). Pla d' abordatge de les teràpies avançades en el Sistema Nacional de Salut: Medicaments CAR. [https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/infoMedicamentos/terapiasAvanzadas/docs/Plan\\_Abordaje\\_Terapias\\_Avanzadas\\_SNS\\_15112018.pdf](https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/infoMedicamentos/terapiasAvanzadas/docs/Plan_Abordaje_Terapias_Avanzadas_SNS_15112018.pdf)
3. **Diari Farma.** (2024, 10 de juliol). Espanya, líder en fabricació de fàrmacs: El nou repte, produir en teràpies avançades. <https://diariofarma.com/2024/07/10/espana-lider-en-fabricacion-de-farmacos-el-nuevo-reto-producir-en-terapias-avanzadas>
4. **AseBio.** (2024, 14 de març). La societat mercantil de teràpies avançades, una oportunitat per aprofitar les capacitats de desenvolupament i producció espanyoles en un mercat global i altament competitiu. <https://www.asebio.com/actualidad/noticias/sociedad-mercantil-terapias-avanzadas-espana-capacidades-industria>
5. **Ministeri de Sanitat.** (2022, 15 de juliol). Informe de seguiment de la Direcció General de Cartera Comú de Serveis del Sistema Nacional de Salut (SNS) i Farmàcia sobre el Pla per l' abordatge de les teràpies avançades en el SNS. [https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/infoMedicamentos/terapiasAvanzadas/docs/20220715\\_infor\\_ms\\_seg\\_plan\\_terapias\\_avanzadas\\_sns.pdf](https://www.sanidad.gob.es/areas/farmacia/infoMedicamentos/terapiasAvanzadas/docs/20220715_infor_ms_seg_plan_terapias_avanzadas_sns.pdf)
6. **Punzano, D.** (2023, 8 de juny). Nou CCAA creen consells assessors per el desenvolupament de teràpies avançades. Redacció Mèdica. <https://www.redaccionmedica.com/secciones/hematologia-y-hemoterapia/nueve-ccaa-crean-consejos-asesores-para-el-desarrollo-de-terapias-avanzadas-8863>
7. **Leunda, J.** (2023, 31 de juliol). Les teràpies avançades en Espanya: una innovadora i creixent aposta sanitària de les CC.AA. ConSalud.es. [https://www.consalud.es/autonomias/terapias-avanzadas-en-espana-innovadora-creciente-apuesta-sanitaria-ccaa\\_132491\\_102.html](https://www.consalud.es/autonomias/terapias-avanzadas-en-espana-innovadora-creciente-apuesta-sanitaria-ccaa_132491_102.html)
8. **AseBio.** (2023, 23 de maig). AseBio presenta el 'Mapa de capacidades de terapias avanzadas de la industria bio- tecnológica' en España. <https://www.asebio.com/actualidad/noticias/asebio-presenta-el-mapa-de-capacidades-de-terapias-avanzadas-de-la-industria>
9. **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>
10. **Comunidad de Madrid.** (2022, 4 de febrero). La Comunidad de Madrid estrenará antes de verano un plan para impulsar la investigación i l' accessibilitat dels pacients als medicaments de teràpies avançades. <https://www.comunidad.madrid/noticias/2022/02/04/comunidad-madrid-estrenara-antes-verano-plan-impulsar-investigacion-accessibilidad-pacientes-medicamentos-terapias-avanzadas>

11. **Xarxa de Teràpia Cel·lular (TerCel).** (2019). Llibre Blanc de la Teràpia Cel·lular en Espanya. Institut de Salut Carles III.
12. **Ministeri de Ciència i Innovació.** (2021). Pla Estatal d' Investigació Científica, Tècnica i d' Innovació (PEICTI). Govern d' Espanya. <https://www.ciencia.gob.es/Estrategias-y-Planes/Planes-y-programas/PEICTI.html>
13. **Haro, J.** (2023, 14 de desembre). Tendències globals en teràpies avançades. Institut d'Investigació i Innovació Parc Taulí. <https://www.tauli.cat/es/institut/actualitat/vigilancia-tecnologica/2023/12/tendencias-globales-en-terapias-digitales/>
14. **NewsRare.** (2021, 16 de novembre). Teràpies avançades i malalties rares: Elements essencials per la promoció d' un accés més àgil i equitatiu al mercat. <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/>
15. **Poveda Andrés, J. L., & Valero García, S.** (2021). Fabricació de medicaments de teràpies avançades en els Serveis de Farmàcia Hospitalària: comencem? Revista de la OFIL, 31(1), 9-10.
16. **Urbano, A.** (2024, 26 d' abril). El model CAR-T acadèmic espanyol marcarà l' equitat en teràpies avançades. Redacció Mèdica. <https://www.redaccionmedica.com/opinion/alvaro-urbano-8481/el-modelo-car-t-academico-espanol-marcara-la-equidad-en-terapias-avanzadas-8424>
17. **Farma-indústria.** (2024, 27 de juny). Radiografia de la arribada de medicaments innovadors a Espanya: el 62% dels autoritzats en Europa esta disponible, però s'acumulen 22 mesos de retras.
18. **Ministeri de Ciència, Innovació i Universitats.** (2023, 13 de desembre). Coneix el Consorci CERTERA per el desenvolupament de medicaments i teràpies avançades en el PERTE de Salut. Pla de Recuperació. <https://planderrecuperacion.gob.es/noticias/conoce-consorcio-CERTERA-desarrollo-medicamentos-terapias-avanzadas-per-te-salud-prtr>
19. **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-pa-cientes-denuncian-falta-voluntad-politica-para-facilitar-acceso-terapias-avanzadas-espana/3926050>
20. **Fundació Institut Roche.** (2020). Anticipant 2020: Teràpies avançades: teràpia cel·lular i teràpia gènica. [https://www.institutoroche.es/static/archivos/Informes\\_anticipando\\_2020\\_TERAPIAS\\_AVANZADAS\\_RGB.pdf](https://www.institutoroche.es/static/archivos/Informes_anticipando_2020_TERAPIAS_AVANZADAS_RGB.pdf)
21. **Instituto de Salud Carlos III.** (2023, 4 de desembre). El ISCIII finança amb 45 milions el desenvolupament de CERTERA, una infraestructura científica en xarxa per impulsar en Espanya les teràpies avançades. <https://bnsc.isciii.es/web/guest/w/el-isciii-financia-con-45-millones-el-desarrollo-de-certera-una-infraestructura-cientifica-en-red-para-impulsar-en-espana-las-terapias-avanzadas-1>
22. **RedTerav.** (n.d.). Grups d' investigació. <https://www.redterav.es/redterav/grupos.jsf?ca=17>

23. **Biocat.** (2023, 18 de juny). Oportunitat i reptes del futur hub de teràpies avançades en Catalunya. <https://www.biocat.cat/es/actualidad/insights-articulos/oportunidad-y-retos-del-futuro-hub-de-terapias-avanzadas-en-cataluna>
24. **Asebio.** (2024, 20 de febrer). LivingCells, la primera bioincubadora en Espanya especialitzada en teràpies avançades. <https://www.asebio.com/actualidad/noticias/livingcells-la-primera-bioincubadora-en-espana-especializada-en-terapias>
25. **Asebio.** (2024, 3 de juny). Biotecnologia i teràpies avançades: noves tecnologies en el mercat espanyol. <https://asebio.com/actualidad/noticias/biotecnologia-terapias-avanzadas-nuevas-tecnologias-mercado-espanol>
26. **Conselleria de Salut.** (2018). I+i Estratègia d' investigació i innovació en salut Andalusia. [https://www.juntadeandalucia.es/export/drupaljda/Estrategial+i\\_v5.pdf](https://www.juntadeandalucia.es/export/drupaljda/Estrategial+i_v5.pdf)
27. **Conselleria de Salut i Famílies.** (2023). Pla de medicina personalitzada i precisió 2023-2027. <https://www.juntadeandalucia.es/sites/default/files/2023-10/3.1.2.%20Plan%20medicina%20personalizada%20y%20precisi%C3%B3n%202023-2027.pdf>
28. **Conselleria de Salut i Famílies.** (2018). Estratègia i Pla Comitè Rector. <https://www.sspa.juntadeandalucia.es/terapiasavanzadas/images/Estrategia%20y%20Plan%20Comit%C3%A9%20Rector.pdf>
29. **Conselleria de Sanitat.** (2023). Pla Integral de malalties Rares de Castilla y León (PIERCyL) 2023-2027. [https://www.saludcastillayleon.es/enfermedadesraras/es/plan-integral-castilla-leon/objetivos-plan-ficheros/2885626-2510285-PLAN%20INTEGRAL%20ENFERMEDADES%20RARAS%20DE%20CASTILLA%20Y%20LE%C3%93N%20\(PIERCyL\)%20%202023-2027](https://www.saludcastillayleon.es/enfermedadesraras/es/plan-integral-castilla-leon/objetivos-plan-ficheros/2885626-2510285-PLAN%20INTEGRAL%20ENFERMEDADES%20RARAS%20DE%20CASTILLA%20Y%20LE%C3%93N%20(PIERCyL)%20%202023-2027)
30. **Conselleria de Sanitat.** (2024, 17 d' agost). Grup d' investigació en teràpia regenerativa osteoarticular. <https://www.saludcastillayleon.es/HRHortega/en/actualidad/grupo-investigacion-terapia-regenerativa-osteoa-rticular-cas-ficheros/2817806-2027-08-17%20Terapia%20Re-generativa%20DIARIO%20DE%20LE%C3%93N.pdf>
31. **Asebio.** (2022). Dossier sobre teràpies avançades. [https://www.asebio.com/sites/default/files/2022-10/DOSSIER\\_TERAPIA\\_VF\\_0.pdf](https://www.asebio.com/sites/default/files/2022-10/DOSSIER_TERAPIA_VF_0.pdf)
32. **Agencia Española de Medicamentos y Productos Sani- tarios.** (n.d.). Terapias avanzadas. <https://aemhu.es/terapias-avanzadas/>
33. **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>
34. **Parque Científico de Barcelona.** (2024, 11 de julio). Arran- ca PRECISEU, un macroproyecto para impulsar la medi- cina personalizada y las terapias avanzadas en Europa. <https://www.pcb.ub.edu/es/arranca-preciseu-un-macro-proyecto-para-impulsar-la-medicina-personalizada-y-las-terapias-avanzadas-a-europa/>

35. **Parque Científico de Barcelona.** (2024, 11 de junio). Pisto- letazo 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/>
36. **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/CANDIDADO\\_A\\_CAR\\_T\\_2019.pdf](https://www.hematologiamadrid.org/images/stories/recursos/noticias/CANDIDADO_A_CAR_T_2019.pdf)
37. **Comunidad de Madrid.** (2022, 4 de febrero). La Comuni- dad de Madrid estrenará antes de verano un plan para im- pulsar la investigación y la accesibilidad de los pacientes a los medicamentos de terapias avanzadas. <https://www.comunidad.madrid/noticias/2022/02/04/comunidad-ma-drid-estrenara-antes-verano-plan-impulsar-investigacion-accesibilidad-pacientes-medicamentos->
38. **Gobierno Vasco.** (n.d.). RIS3 Euskadi. <https://www.bioef.eus/es/ris3-euskadi/>
39. **Eleconomista.** (2022, 25 de mayo). Ser referente en terapias avanzadas, objetivo de Basque Advanced Therapies. <https://www.eleconomista.es/salud/noti-cias/11778000/05/22/Ser-referente-en-terapias-avanza-das-objetivo-de-Basque-Advanced-Therapies.html>
40. **GANTT.** (n.d.). Gipuzkoa Advanced New Therapies Territory. <https://www.gantt.eus/es/>
41. **El Global Farma.** (2023, 23 de mayo). España lidera el de- sarrollo 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-ano/>
42. **Ministerio de Sanidad.** (2014). El Gobierno regula la auto- rización de medicamentos de terapia avanzada de fabri- cación no industrial. <https://www.sanidad.gob.es/gabinete/notasPrensa.do?id=3324>
43. **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-mundo-en-ensayos>
44. **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>
45. **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](https://health.ec.europa.eu/latest-updates/guidelines-good-clinical-practice-gcp-specific-advanced-therapy-medicinal-products-atmp-2019-10-16_en)
46. **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](https://health.ec.europa.eu/document/download/ad33d9dd-03f0-4bef-af53-21308ce2187d_en)

47. *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](https://www.ema.europa.eu/en/documents/other/good-laboratory-practice-glp-principles-relation-advanced-therapy-medicinal-products-atmps_en.pdf)
48. *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>
49. *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>
50. *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>
51. *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](https://alliancerm.org/wp-content/uploads/2019/10/Trends-in-Clinical-Trials-2019-Final_Digital.pdf)
52. *Alliance for Regenerative Medicine*. (2024). Sector snapshot. <https://alliancerm.org/sector-snapshot-august-2024/>
53. *Alliance for Regenerative Medicine*. (2024). Trials Final Q2 24. [https://alliancerm.org/wp-content/uploads/2024/08/Trials\\_Final\\_Q2\\_24.pdf](https://alliancerm.org/wp-content/uploads/2024/08/Trials_Final_Q2_24.pdf)



Consorci de Salut i  
Social de Catalunya

[www.consorci.org](http://www.consorci.org)