



DIRECTRICES DE LA AGENCIA ESPAÑOLA DE MEDICAMENTOS Y PRODUCTOS SANITARIOS SOBRE LA NOMENCLATURA DE LAS SUSTANCIAS ACTIVAS DE LOS MEDICAMENTOS EN INVESTIGACIÓN DE TERAPIA AVANZADA QUE CONTENGAN CÉLULAS

Versión 2

Fecha de publicación: 4 de septiembre de 2013

[English version](#)

La identificación de todo medicamento en investigación requiere indicar al menos un nombre para el medicamento y al menos un nombre para la sustancia activa. Dichos nombres deben utilizarse de forma coherente en todos los documentos del ensayo clínico, así como en toda la documentación relacionada con un uso compasivo. Por tanto, también en las posibles notificaciones de reacciones adversas y en las solicitudes de inspección de las instalaciones fabricantes se identificarán de manera inequívoca el medicamento y la sustancia activa. Además, dichos nombres deben utilizarse de forma coherente en todos los ensayos clínicos que se refieran a un mismo medicamento.

La supervisión tanto de la seguridad como de la eficacia de los medicamentos de terapia celular en los ensayos clínicos es esencial. Con el fin de poder evaluar la experiencia disponible con este tipo de medicamentos es necesaria una estandarización de los nombres de las sustancias activas en este tipo de medicamentos.

El objetivo de esta propuesta es fijar un estándar lo más sencillo y flexible posible para la denominación de los principios activos antes de disponer de una denominación oficial, de forma que en los ensayos clínicos referentes a productos de terapia celular con el mismo tipo de principio activo éste se identifique con el mismo nombre de forma que no haya confusión.

En el estándar propuesto se considera que cada nombre debe incluir una identificación genérica compuesta por siete atributos, para cada uno de los cuales hay una lista cerrada de términos que podrá actualizarse en el futuro en función de las necesidades. Además, se añade un atributo adicional en el que como texto libre podrían mencionarse subtipos celulares u otras especificidades del principio activo que el promotor considere de interés. Finalmente, otro atributo se reserva para describir la modificación genética de los productos de terapia génica que contengan células. Los términos propuestos se han seleccionado teniendo en cuenta la información solicitada en el apartado D del formulario de solicitud de autorización de un ensayo clínico vigente en la Unión Europea. Se dan ejemplos de posibles nombres de sustancias activas según esta propuesta.



Este esquema modular permitirá generar denominaciones transparentes y clarificadoras de los principios activos utilizados antes de disponer de una denominación oficial de la sustancia activa y facilitará las búsquedas en la base de datos de ensayos clínicos.

El nombre de las sustancias activas de medicamentos de terapia celular se formará mediante el encadenamiento de términos correspondientes a los nueve atributos que se indican a continuación, siendo los dos últimos utilizables cuando corresponda:

1. Clase de producto: células, islotes, láminas.
2. Tipo de células: cardioblastos, condrocitos, dendríticas, endoteliales, epiteliales, eritrocitos¹, fibroblastos, hematopoyéticas, hepatocitos, limbares, linfocitos B, linfocitos T, macrófagos, melanocitos, mesenquimales, mioblastos, miocitos, mononucleares, neurales, NK, osteoblastos, pancreáticas, placentarias, queratinocitos, queratocitos.
3. Estado de diferenciación: diferenciadas, troncales².
4. Procedencia: adultas, embrionarias, fetales, iPS³.
5. Relación con el paciente: alogénicas, autólogas o xenogénicas.
6. Origen anatómico: cartílago, conjuntiva, cordón umbilical, córnea, limbo esclerocorneal, líquido amniótico, líquido sinovial, médula ósea, membrana amniótica, mucosa, músculo, páncreas, periostio, piel, placenta, pulpa dental, sangre de cordón umbilical, sangre periférica, tejido adiposo.
7. Manipulación: expandidas, no expandidas.
8. Datos específicos: información en texto libre considerada de interés por el promotor: subtipo celular (ej. CD133, CD34), derivadas de células..., estimuladas con..., incubadas con..., seleccionadas por..., combinadas con (en el caso de un producto sanitario), etc.
9. Modificación genética: Infectadas con..., transfectadas con...

La categoría 1 sólo se usará cuando no esté incluida ya de por sí en el término de la categoría 2. Sin embargo, se usarán las categorías 1 y 2 juntas cuando sea necesario, p. ej., “célula mesenquimal”.

La categoría 3 se dejará en blanco si se trata de un conjunto de células en diversos estados de diferenciación (típicamente mezclas de células troncales y diferenciadas)⁴.

Las categorías 8 y 9 sólo se usarán cuando corresponda.

¹ Este término se considerará sinónimo de “glóbulos rojos” o “hematíes”.

² Este término se considerará sinónimo de células “madre”, “progenitores”, etc.

³ Este término se considerará sinónimo de células pluripotenciales inducidas.

⁴ Nueva recomendación en la versión 2 de estas directrices



Las sugerencias en relación con estas listas de términos se enviarán mediante un mensaje a aecaem@aemps.es y dbiologicos@aemps.es indicando en el asunto "Nomenclatura de terapia celular".

Ejemplos de nombres usando este esquema

Células dendríticas diferenciadas adultas autólogas de sangre periférica expandidas pulsadas con...

Células mesenquimales troncales adultas autólogas de tejido adiposo expandidas combinadas con matriz...

Células hematopoyéticas troncales fetales alogénicas de sangre de cordón umbilical expandidas CD34+.

Condrocitos diferenciados adultos autólogos de cartílago expandidos.

Células limbares troncales alogénicas de limbo esclerocorneal expandidas sobre membrana amniótica.

Células NK diferenciadas adultas autólogas de sangre periférica expandidas estimuladas con...

Fibroblastos diferenciados adultos alogénicos de piel expandidos en matriz...

Mioblastos troncales adultos autólogos de músculo esquelético expandidos.

Anexo

Durante el periodo de consultas del borrador de este documento surgieron dos temas de especial interés:

1. En ciertos productos no se tiene un tipo celular muy claramente definido, por lo que efectivamente se puede considerar que se trata de una población mixta, lo que podría dejar sin sentido la categoría 2. Nuestro criterio es que hay que definir un tipo celular como responsable del mecanismo de acción del medicamento (por muy hipotético que éste sea) y el resto de componentes celulares se deberían considerar como impurezas. No obstante, se podrían considerar dos o más tipos celulares como parte de producto, en cuyo caso, cada uno debería ser identificado individualmente siguiendo esta nomenclatura.
2. En algunos casos ciertos atributos pueden parecer redundantes, sin embargo, preferimos mantenerlos para facilitar su localización a la hora de realizar búsquedas. Por ejemplo, aunque en algún caso el origen anatómico sea obvio, se debe mantener esta categoría: en "hepatocitos de hígado" el origen anatómico "hígado" está implícito en "hepatocitos". Sin embargo, mantenerlo permitirá recuperar un listado de medicamentos con células de "hígado", sean hepatocitos u otros tipos celulares.