



MINISTERIO
DE SANIDAD, CONSUMO
Y BIENESTAR SOCIAL



agencia española de
medicamentos y
productos sanitarios

Tribunal del proceso selectivo para ingreso, por el sistema general de acceso libre, en la Escala Técnica de Gestión de OOAA, especialidad Sanidad y Consumo, Resolución de 28 de marzo de 2019, de la Subsecretaría.

ESCALA TÉCNICA DE GESTIÓN DE OO.AA. ESP. SANIDAD Y CONSUMO, ACCESO LIBRE

ÁREA DE EVALUACIÓN CLÍNICA Y PRECLÍNICA DE MEDICAMENTOS

CUARTO EJERCICIO

16 diciembre 2019

CORREO ELECTRÓNICO

sgaem@aemps.es

Página 1 de 3

C/ CAMPEZO, 1 – EDIFICIO 8
28022 MADRID
TEL: 91 822 50 36
FAX: 91 822 50 23

Una compañía farmacéutica quiere presentar para registro un nuevo medicamento destinado al tratamiento de la forma juvenil de la gangliosidosis GM2 (enfermedad de Tay-Sachs), una enfermedad metabólica caracterizada por el acúmulo de gangliósidos G2 debida a una deficiencia en hexosaminidasa A. Su prevalencia es de 1 de cada 200.000 nacidos vivos. Se han descrito tres variantes (infantil, juvenil y adulta) en función de la edad de inicio de la enfermedad.

En la forma juvenil (tipo 2), el inicio de la enfermedad se da entre los 2 y 6 años, con trastornos del comportamiento, una pérdida progresiva de las funciones motoras adquiridas hasta ese momento, pérdida de la visión y convulsiones, produciéndose un deterioro neurológico progresivo y muerte alrededor de los 15 años de edad. El diagnóstico se realiza con el cuadro clínico, confirmándose con la medida de la actividad enzimática en sangre y el diagnóstico genético. El tratamiento disponible es sintomático (control de las crisis epilépticas, soporte nutricional, terapia física), no disponiendo de tratamiento específico para el defecto enzimático.

PREGUNTAS

- 1) En relación a la solicitud, ¿Se podría solicitar indistintamente un procedimiento de registro por vía centralizada, descentralizada o nacional? Justifique su respuesta.
- 2) Describa la batería de estudios preclínicos que serían necesarios para la autorización del producto.
- 3) Los estudios preclínicos muestran potencial genotóxico y carcinogénico. ¿Sería autorizable el producto? En caso afirmativo, ¿en qué apartados de la ficha técnica incluiría la información preclínica correspondiente a dichos hallazgos?
- 4) ¿Es necesario presentar una evaluación del riesgo medioambiental en el expediente de registro teniendo en cuenta la indicación solicitada? ¿En qué parte del documento común se encontraría?
- 5) Indique el tipo de ensayo principal (diseño, variables de estudio, comparador, duración) que se solicitaría para sustentar la indicación solicitada.
- 6) ¿Considera que este producto, con los datos disponibles, sería un buen candidato a autorización condicional? Razone su respuesta e indique qué medidas post-autorización serían aconsejables.
- 7) Durante el período de evaluación y previo a la autorización, el médico responsable de la Unidad de Enfermedades Metabólicas del Hospital San Juan de Dios atiende a un niño candidato al tratamiento, ¿podría el paciente recibir este medicamento? Razone la



respuesta y, en su caso, los requisitos que precisaría para cumplir con la normativa vigente.

- 8) El medicamento ya se ha autorizado y usted como evaluador clínico le encargan redactar un primer borrador de informe de posicionamiento terapéutico. ¿Qué aspectos claves incluiría en dicho borrador?
- 9) Una vez autorizado este producto, se presenta a registro otro medicamento para la misma enfermedad. ¿Qué consideraciones específicas deberían tenerse en cuenta para la segunda solicitud?
- 10) Una vez autorizado, la compañía farmacéutica comunica el descubrimiento de una impureza en la fabricación no identificada previamente. Indique cuál sería su aproximación a este hallazgo y las posibles medidas a llevar a cabo.