

Госпитальные исключения: разработка и регистрация академических инновационных продуктов

¹ АО «Р-Фарм», Москва, Россия

² НИИ детской онкологии, гематологии и трансплантологии им Р.М. Горбачевой, ФГБОУ ВО «Первый СПбГМУ им. акад. И.П. Павлова», Санкт-Петербург, Россия

В последнее десятилетие клеточная и генная терапия активно развиваются, чему немало способствовала пандемия COVID-19. Период пандемии был ознаменован беспрецедентными технологическими достижениями в сочетании с изменениями в регулировании разработки и регистрации высокотехнологичных лекарственных препаратов [1].

Цель работы – проанализировать сочетание регулирования разработки и регистрации высокотехнологичных лекарственных препаратов и передовых технологических решений в клинической практике, позволяющее максимально приблизить разработку к практическому применению.

Очевидно, что потребность пациентов и врачей в «прорывных» методах лечения меняет в лучшую сторону процессы разработки и применения генной и клеточной терапии. В докладе рассматривается Т-клеточная терапия химерным рецептором антигена (CAR-T) – новая форма лечения рака. Значительные успехи в этом направлении и развитие прикладных технологий (применение автономных персональных биореакторов, четко выстроенных технологических процессов и пр.), появление ряда зарегистрированных клеточных препаратов – все это позволило совершить значительный рывок в создании успешных академических терапевтических решений и внедрить в регуляторную практику принцип госпитальных исключений [2].

Для чего врачам и пациентам необходимо производство с госпитальным исключением? Рассмотрим преимущества данного процесса:

1) расширение доступа к передовым методам лечения для пациентов:

- для показаний, еще не одобренных для коммерческих CART и других лекарственных препаратов передовой терапии (ЛППТ, АТМР);
- в ситуациях, когда лечение разрабатывается для одного больного (N-of-1), для орфанных заболеваний;
- для лечения заболеваний, на которые фармацевтические компании не ориентируются (health justice);

2) более короткое время производства препаратов;

3) ниже стоимость (для генной терапии «Стримвелис» она составляет около 600 тыс. €);

4) расширение возможностей и трансформация академических центров, которые становятся инициаторами разработки, применения и регулирования передовой генной и клеточной терапии, а также занимаются вопросами оплаты, компенсации, финансирования разработок и их применения.

Китайская Народная Республика – один из лидеров применения госпитальных исключений в терапии CAR-T, где благодаря государственной поддержке и внутригоспитальному производству такая терапия переживает настоящий подъем. Примеры успешного применения академических CAR-T есть и в России. В настоящее время у нас в стране обсуждаются предложения по регулированию госпитальных исключений. Правительство Российской Федерации устанавливает порядок выдачи разрешений на производство и порядок обращения таких продуктов.

Список источников

1. Самсонов М.Ю., Ломоносов А.М. Наши уроки внедрения CAR-T клеток: разработка, законодательная и клиническая практика. *Клеточная терапия и трансплантация*. 2021;10(2):26–36. <https://doi.org/10.18620/ctt-1866-8836-2021-10-2-26-36>
2. Sanchez-Guijo F., Avendano-Sola C., Badimon L., Bueren J.A., Canals J.M., Delgadillo J., et al. Role of Hospital Exemption in Europe: position paper from the Spanish Advanced Therapy Network (TERAV). *Bone Marrow Transplant*. 2023. <https://doi.org/10.1038/s41409-023-01962-0>