



**РЕЗОЛЮЦИЯ**  
**Круглого стола**  
**«Перспективы применения генетической терапии в клинической практике»**  
***XI Всероссийский конгресс пациентов***  
***Россия, Москва, 27 ноября 2020 года***

Производство высокотехнологичных препаратов подобного типа имеет ряд существенных особенностей в сравнении с куда более распространенными низкомолекулярными и биологическими лекарственными препаратами.

Необходимо учитывать, что из-за применяемых технологий и орфанного статуса некоторых нозологий, при которых данные препараты применяются, отдельные генотерапевтические препараты производятся в крайне ограниченном объеме, в том числе и под нужды конкретного пациента.

Производственный процесс в таких случаях позволяет получить генотерапевтический препарат со средним размером серии, достаточным для лечения ограниченного количества пациентов (приблизительно от одного до нескольких десятков). При этом объем выпуска каждой серии может покрывать исключительно количество препарата, необходимое для лечения пациентов и проведения контроля качества производителями.

В настоящее время не разработаны отдельные критерии и сроки для ранней оценки генотерапевтических лекарственных препаратов в рамках системы российского здравоохранения. Это приводит к тому, что после регистрации генотерапевтические лекарственные препараты не будут сразу доступны нуждающимся пациентам. В это же время ранняя клинико-экономическая оценка таких препаратов позволит обеспечить доступ российских пациентов к жизнеспасующей терапии в кратчайшие сроки после регистрации.

Существующие каналы лекарственного обеспечения являются наиболее приспособленными для обеспечения пациентов лекарственной терапией в течение длительного времени. В это же время генная терапия подразумевает однократное введение препарата, также этот процесс является в гораздо большей степени персонализированным. Создание специализированных фондов и/или программ обеспечения генотерапевтическими препаратами с учетом всех их особенностей позволит увеличить эффективность оказываемой помощи благодаря более гибким подходам к планированию потребности в лекарственном препарате, оценке клинических эффектов от внедрения данных технологий, а также внедрению инновационных моделей лекарственного обеспечения.

В рамках программы государственных гарантий бесплатного оказания медицинской помощи существует возможность обеспечения клеточными технологиями в рамках программы ВМП. Финансовое обеспечение доступа к CAR-T технологиям в рамках программы ВМП обеспечит должный уровень контроля за соответствием учреждений, оказывающих соответствующую медицинскую помощь, необходимым требованиям, а также позволит планировать необходимые объемы оказываемой медицинской помощи.

В этой связи участники круглого стола предлагают следующее:

Правительству Российской Федерации, Министерству здравоохранения Российской Федерации:

1. Предложения по изменению законодательства в области регистрации.

- 1.1. Предложения касательно требований экспертизы качества при регистрации генотерапевтических препаратов:
  - 1.1.1. Предусмотреть исключение в отношении проведения экспертизы качества образцов генотерапевтических препаратов в лабораториях на территории Российской Федерации в рамках процесса государственной регистрации, а также при внесении пострегистрационных изменений. Разработать механизм для определения оптимального объема образцов для тестирования совместно с экспертными организациями.
  - 1.1.2. Осуществлять документальную экспертизу качества вышеуказанного типа препаратов на основании документации в регистрационном досье, а также с учетом результатов инспектирования производственных площадок в соответствии с Постановлением Правительства РФ от 03 декабря 2015 г. № 1314 «Об определении соответствия производителей лекарственных средств требованиям Правил надлежащей производственной практики». Учитывая технологическую специфику данного типа препаратов, необходимо предусмотреть исключение в отношении соблюдения требований действующей в России фармакопеи и необходимости проведения дополнительных тестов (например, аномальная токсичность).
  - 1.1.3. Внести соответствующие изменения в Федеральный закон от 12.04.2010 № 61-ФЗ (ред. от 03.04.2020) «Об обращении лекарственных средств», а также в Решение №78 Евразийской экономической комиссии «О Правилах регистрации и экспертизы лекарственных средств для медицинского применения» для генотерапевтических препаратов, которые планируются к обращению на территории Российской Федерации.
  - 1.1.4. Дополнить статью 4 Федерального закона «Об обращении лекарственных средств» понятием «лекарственный препарат на основе соматических клеток» с учетом определения, содержащегося в п. 17.2.2 Правил регистрации и экспертизы лекарственных средств для медицинского применения. Предусмотреть исключение в отношении экспертизы качества образцов «лекарственный препарат на основе соматических клеток» в лабораториях на территории Российской Федерации в рамках процесса государственной регистрации, а также при внесении пострегистрационных изменений.
- 1.2. Предложения о маркировке первичной упаковки
  - 1.2.1. Предусмотреть исключение для генотерапевтических препаратов в отношении процесса государственной регистрации и введения в гражданский оборот единой универсальной этикетки на первичной упаковке на английском языке и соблюдении обязательства о нанесении необходимой информации на русском языке на вторичную упаковку.
- 1.3. Выпуск препарата в гражданский оборот
  - 1.3.1. В нормативном документе для генотерапевтических препаратов и «препаратов на основе соматических клеток», поставляемых на территорию Российской Федерации и изготовленных для нужд конкретных пациентов, указывать, что тесты данных препаратов не проводят на территории Российской Федерации.

- 1.3.2. Внести изменения в постановление Правительства РФ от 26.11.2019 № 1510 «О порядке ввода в гражданский оборот лекарственных препаратов для медицинского применения», предусмотрев для «лекарственных препаратов на основе соматических клеток» и генотерапевтических лекарственных препаратов возможность подтверждения соответствия выпускаемого лекарственного препарата нормативной документации и показателям качества с помощью выездной инспекции на производственную площадку и последующего контроля условий транспортировки.
2. Предложения по обеспечению пациентов
  - 2.1. Создать специальный алгоритм проведения ранней комплексной оценки медицинских технологий в отношении генотерапевтических препаратов с целью ускорения доступа к ним пациентов. Такая оценка является частой практикой.
  - 2.2. Разработать и внедрить в постановление Правительства № 871 специальные требования к генотерапевтическим препаратам в части требований к дизайну клинико-экономических исследований и анализа влияния на бюджет, а также шкалу оценки дополнительных данных о лекарственном препарате, которые в большей мере учитывали бы особенностей генной терапии.
  - 2.3. Создать специальный алгоритм для проведения процедуры подачи предложения о включении генотерапевтических препаратов в перечень ЖНВЛП и процедуры рассмотрения таких предложений с учетом специфических особенностей генотерапевтических препаратов, таких как производственные циклы и существующие и планируемые каналы финансирования.
3. Создание отдельных каналов лекарственного обеспечения
  - 3.1. С целью повышения обоснованности и прозрачности процедуры формирования перечня видов ВМП необходимо совершенствовать порядок формирования перечней видов ВМП, в том числе:
    - 3.1.1. Разработать требования к подаваемым клиническим и экономическим аспектам;
    - 3.1.2. Разработать систему оценки подаваемых клинических и экономических аспектов, которая бы позволяла бы наиболее точно отразить клинико-экономические характеристики клеточных технологий (потенциально излечивающая технология, одномоментные затраты на использование клеточной технологии, но предотвращение затрат по множеству других статей в будущем, специфика производства и т.д.);
    - 3.1.3. Предусмотреть, в случае недостаточности имеющихся клинических и экономических аргументов, возможность включения в перечень видов ВМП при заключении инновационных методов оплаты (соглашение о разделении рисков, соглашение об объемах и т.д.).
  - 3.2. Создать отдельный канал финансирования для генотерапевтических технологий, в том числе с возможностью применения инновационных схем оплаты (в том числе оплата за результат, разделение рисков и другие).