

ВТЛП: медицина будущего уже сегодня

Заславская Кира Яковлевна
Директор по новым продуктам *ГК ПРОМОМЕД*

**X Всероссийская
GMP-конференция**

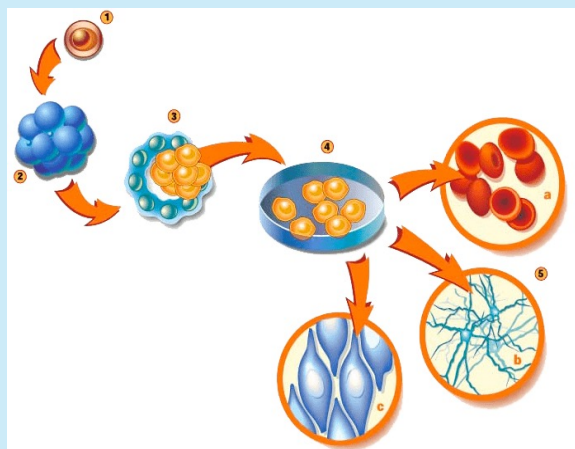
Высокотехнологичный ЛП: портрет

Соматические клеточные
терапевтические препараты

Генетически
модифицированные
клетки

Генная терапия

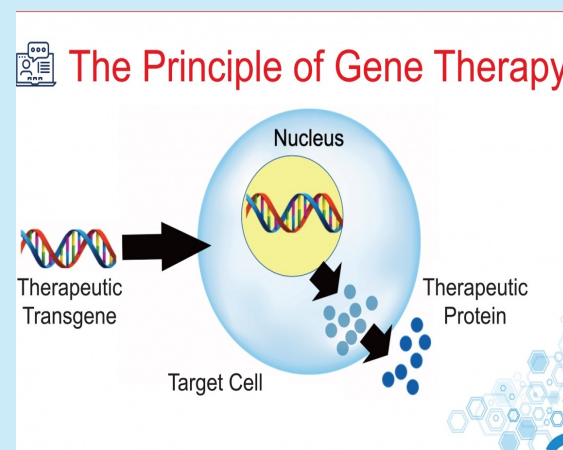
Тканеинженерные
препараты



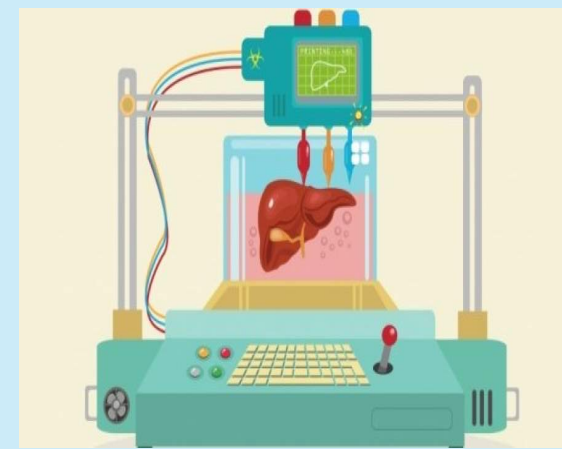
Продукты, основанные на
введении соматических
клеток, включая
стволовые клетки и
кроветворные клетки



Яркий представитель: CAR-T -
терапия онкологических
заболеваний генетически
измененными Т-лимфоцитами
человека

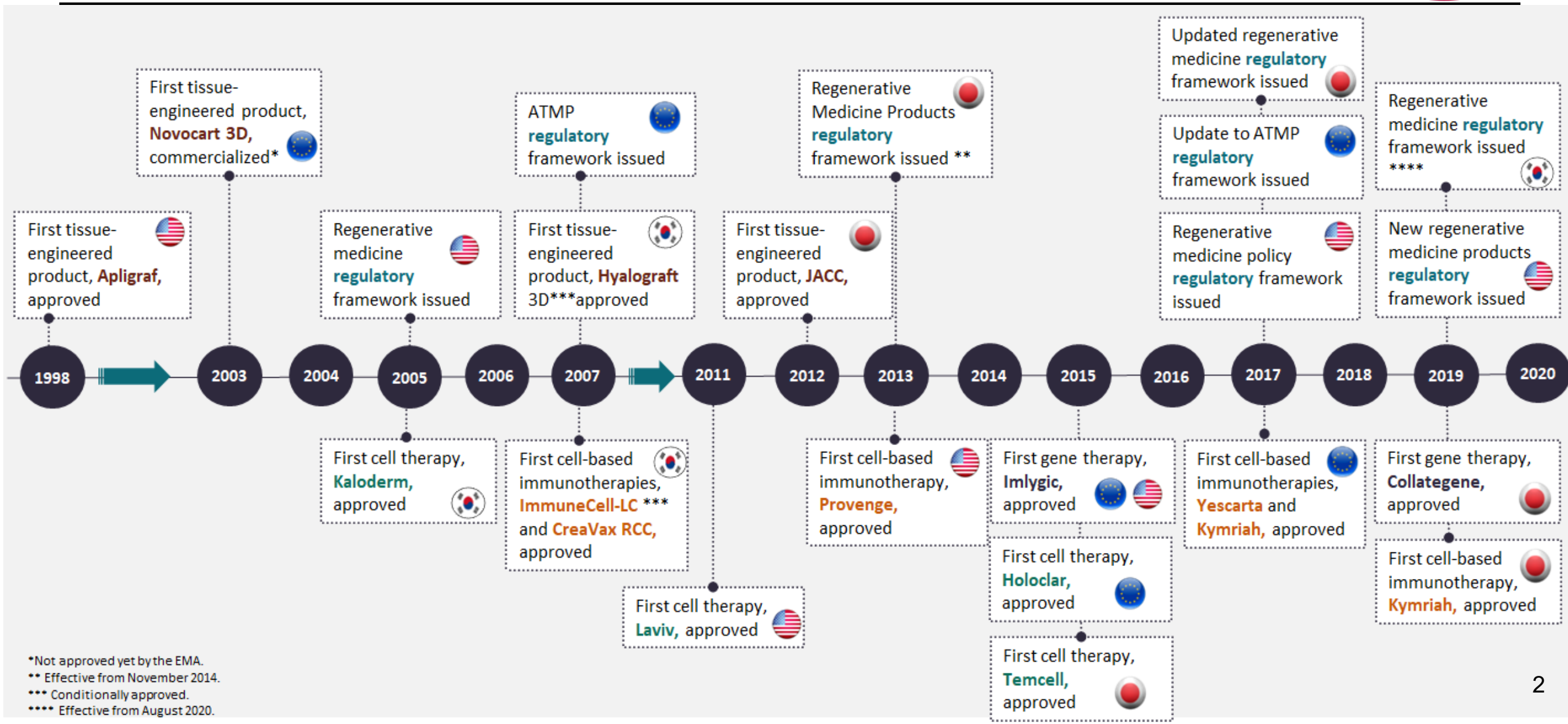


Введение в организм
пациента вектора,
изменяющего генетический
код целевых клеток



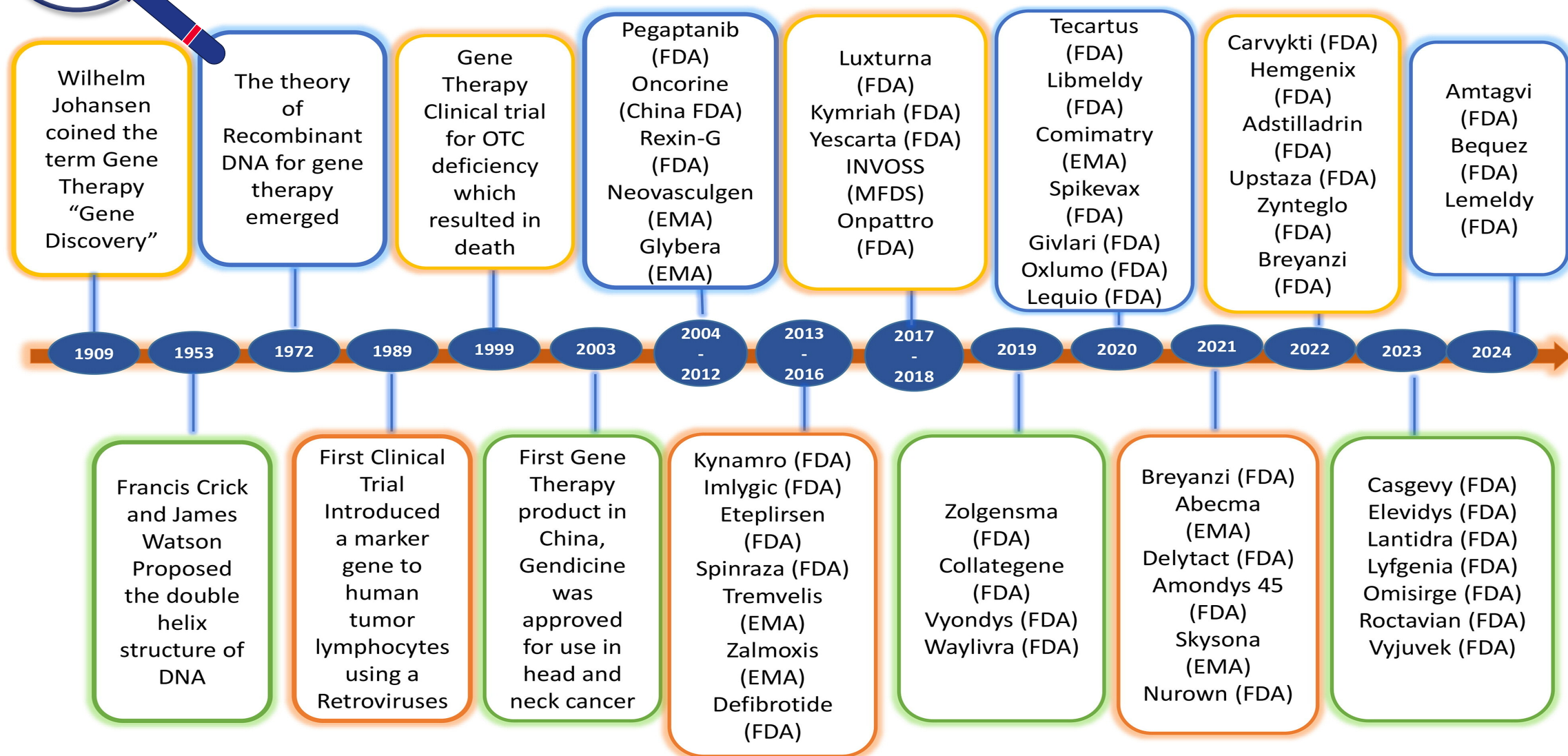
Технологии биопринтинга
отдельных тканей и органов

ВТЛП: молодые и перспективные





Zoom на генной терапии. Экспансивный рост

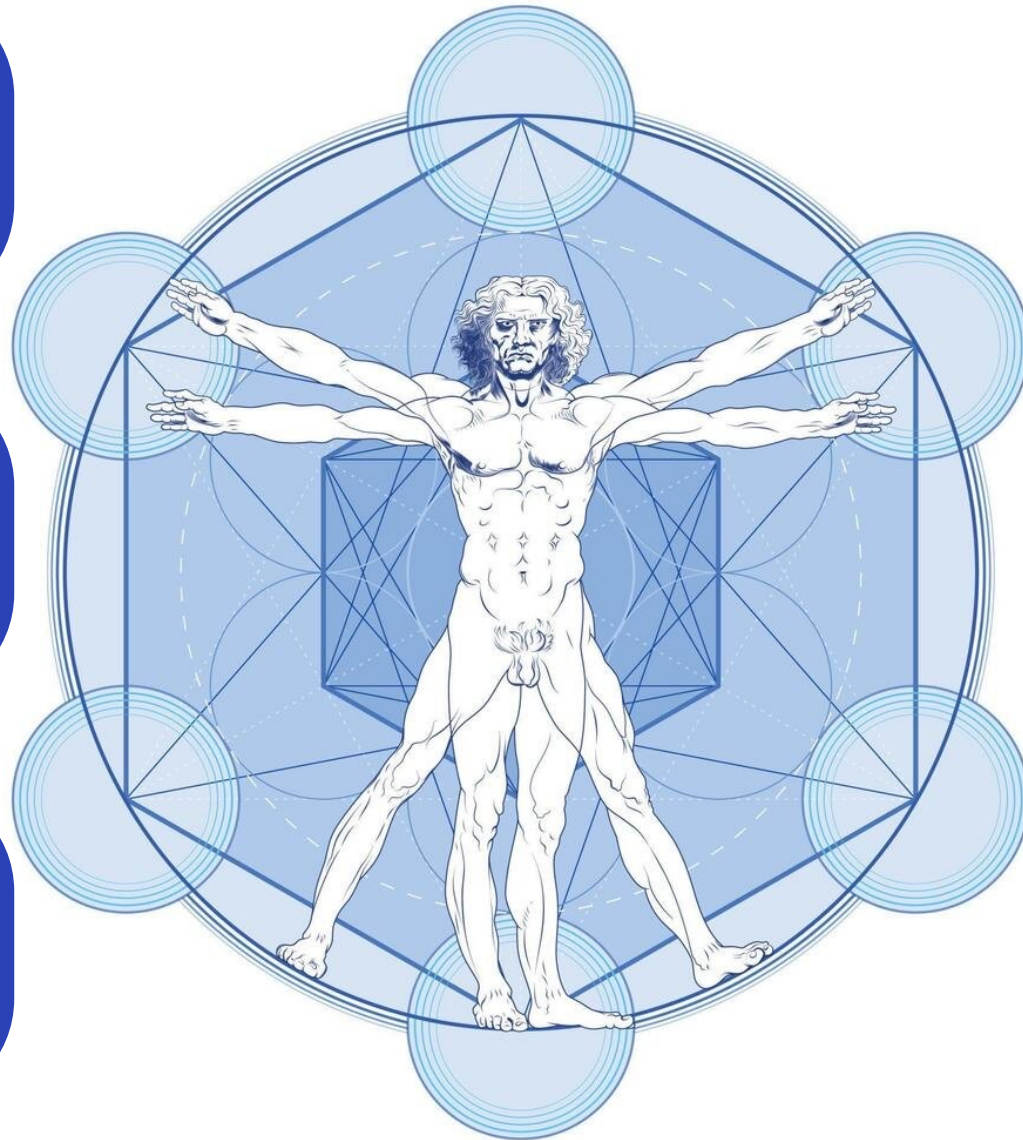


То, что ещё вчера казалось невозможным...

CAR-T терапия уже активно применяется для лечения: острого лимфобластного лейкоза, лимфом, миеломной болезни и etc

Биопринтинг уже активно используется для лечения ожоговых и раневых дефектов кожи, для восстановления костных дефектов, в стоматологии и офтальмологии

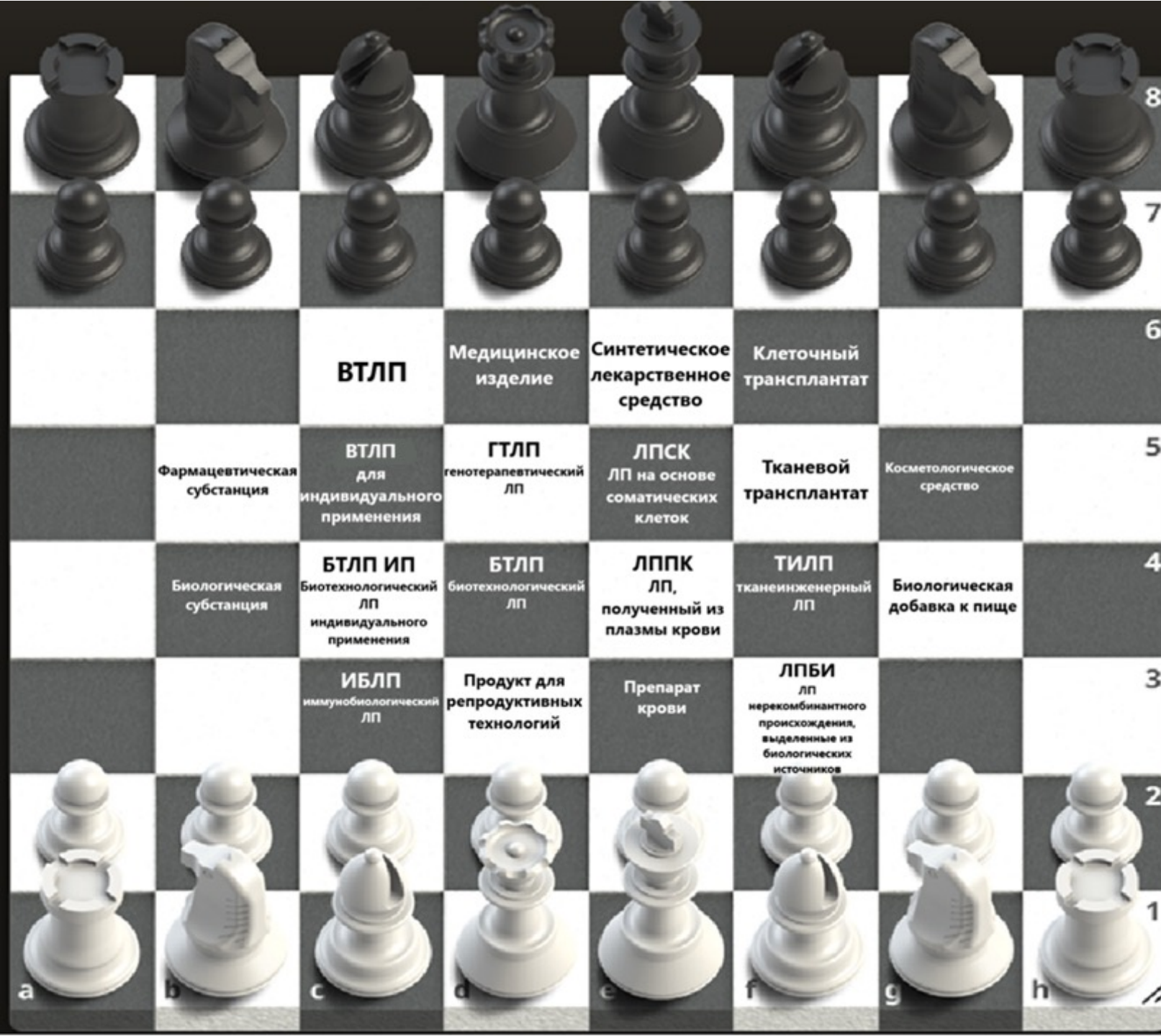
В мире уже зарегистрированы такие CAR-T ВТЛК как: Kymriah, Yescarta, Tecartus, Abecma, Carvykty и etc



Генная терапия Люкстурна (Luxturna)- препарат для лечения RPE-65 ассоциированной формы пигментного ретинита

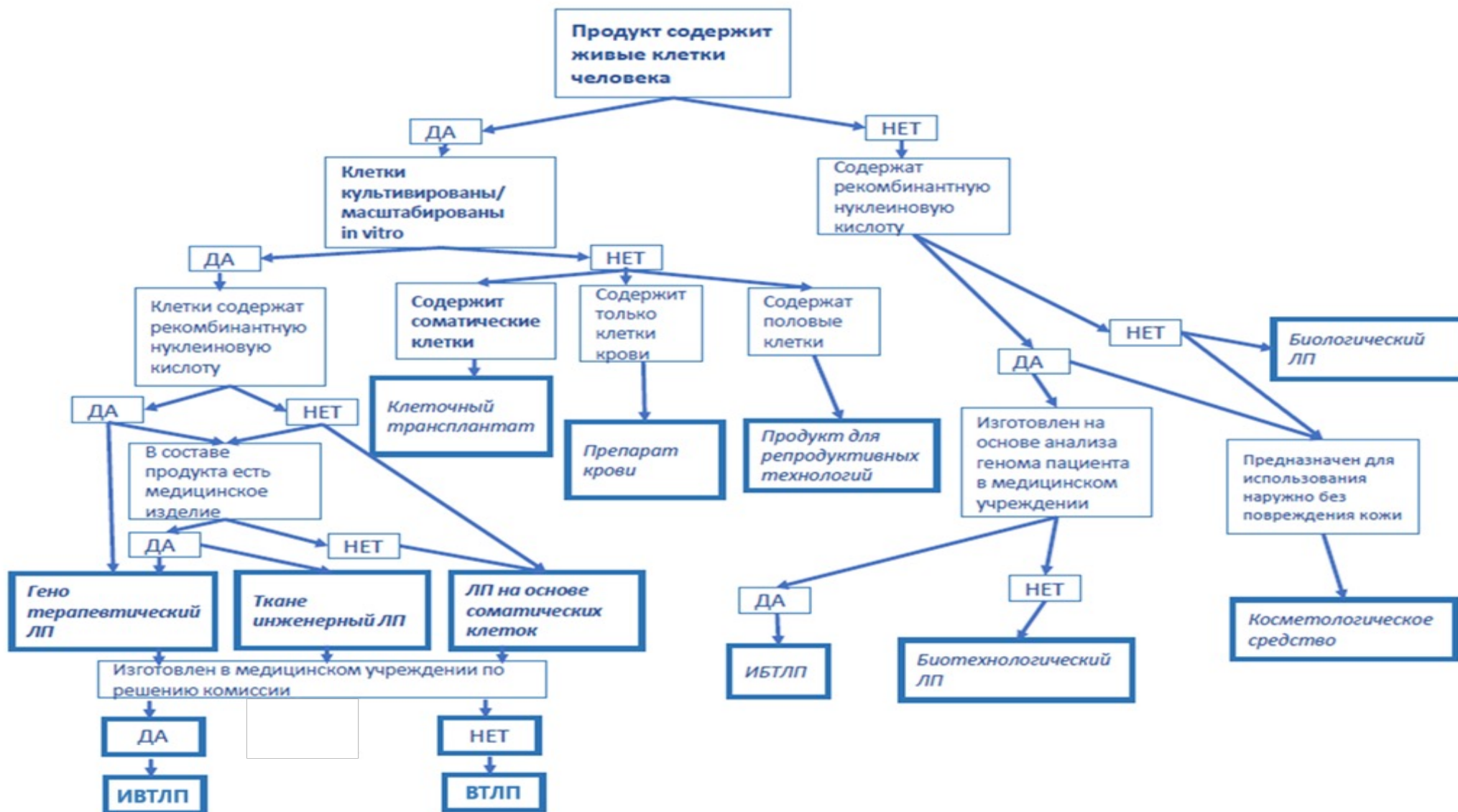
Генная терапия Элевидис (Elevidis)- препарат для лечения миодистрофии Дюшена у детей

Генная терапия Золгенсма (Zolgensma)- препарат для лечения спинальной мышечной атрофии(СМА) с биаллельной мутацией SNN1 у детей



Правовое поле лекарственного препарата в РФ

Разработка продуктов клеточной и генной терапии: алгоритм определения вида продуктов



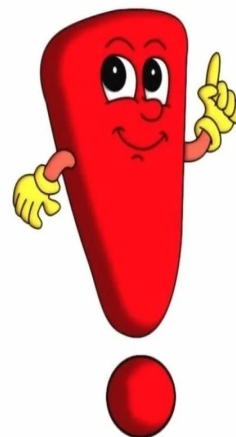
Выводы. Преимущества регуляции ВТЛП перед БМКП несомненны



- Режим БМКП – режим «комнатного производства», он не способен обеспечить масштабирование современных биотехнологий для реализации задач обеспечения всех нуждающихся пациентов
- Режим БМКП вынесен за пределы общемировых принципов регулирования безопасности и эффективности ЛП. Отсутствие стандартизации подхода не может обеспечить уверенность в надлежащем качестве. Таким образом, каждый случай применения – это настоящий **черный ящик** для пациента
- Режим БМКП отсекает наиболее мощных игроков фарминдустрии – фармпроизводителей, что автоматически тормозит развитие отрасли
- В данном режиме крайне ограничено взаимодействие и кооперация с зарубежными игроками, потому что только фармацевтические компании могут обеспечить данную коммуникацию в достаточной мере.



Российское и евразийское законодательство (ФЗ №61, Решение №77) определяет АФС как компонент, обладающий фармакологической активностью, используемый для производства ЛП. Для ВТЛП «исходными материалами» могут быть любые субстанции биологического происхождения (ткани, клетки, культуры), но только выделяемая из них активная часть считается АФС. Собственно клетки, ткани, векторы, используемые как терапевтическое средство — это и есть АФС



Спорным вопросом остаётся определение АФС в комбинированных или сложно организованных ВТЛП, где терапевтический эффект произведен не только от клеток, но и от их производных (секретируемых факторов, биомолекул). Здесь мнения разделяются в зависимости от специфики продукта и позиции регулятора, но юридически АФС — то, что задекларировано как действующее вещество препарата в регистрационном досье

Особенности трансфера технологий ВТЛП от разработчика на производство



1. **Донорство: необходимость официального оформления биоматериала «для производства»**
2. **Донорство: необходимость однозначного обеспечения биобезопасности, в том числе предприятия**
3. **Избыточность показателей качества продукта у разработчика либо невозпроизводимость в промышленных условиях**
4. **Отличия в составе и технологии производства образцов в ДКИ и планируемых для КИ**
5. **Несопоставимость процессов в лаборатории и на производстве**
6. **Различия в оборудовании лабораторий и производства**
7. **Неприменимость или недоступность «лабораторных» реактивов на производстве**
8. **Неадекватная себестоимость продукта**
9. **Отсутствие представления у разработчиков об адекватной упаковке и способе хранения продукта**
10. **Отсутствие представлений о стабильности продукта**

и т.д

**По факту, часто трансфер превращается в НИР
полностью или частично**

и

Продукт меняется до неузнаваемости

Вывод:

**Разработчику
следует начинать
работать в
будущем
производителем
как можно раньше**

**...так же, как и с
СРО**

Масштабы применения CAR-T overseas. Технология на потоке



В реестре EBMT по состоянию на сентябрь 2025 зарегистрировано 799,042 пациента, получивших различные виды трансплантаций и клеточных терапий- HST, CAR-T, IST, GT

15,199 пациентов в Европе пролечены с помощью CAR-T на сентябрь 2025



К 2025 году в США суммарно клеточную терапию получили до 350 000 пациентов в разных областях

Число получивших CAR-T к 2025 году достигло 25 000



Оценивается, что десятки тысяч пациентов ежегодно получают клеточную терапию, в основном в рамках клинических исследований

627 активных КИ с использованием CAR-T, число пролеченных пациентов растёт по мере коммерциализации – в отдельных центрах число пациентов может достигать нескольких тысяч.



На конец 2024 года в РФ было проведено немногим более 190 применений CAR-T терапии у чуть более чем 150 пациентов

Львиная доля применений CAR-T пришла на НМИЦ ДГОИ им. Димы Рогачева

В 2023 году было проведено около 2.7 тысяч трансплантаций костного мозга и гемопоэтических стволовых клеток.

Во взрослой практике дефицит трансплантаций достигает 70% от потребности, в детской – 30%



- По данным аналитики FDA, темпы одобрения новых методов клеточной и генной терапии к 2025 году – 10-20 препаратов в год; при сохранении этой динамики к 2040 году число зарегистрированных генных лекарственных средств превысит **500-700**, а с учетом ускорения благодаря искусственному интеллекту и платформенным решениям – возможно до **1000**
- В ближайшие 10-15 лет CAR-T могут занять весомую долю в лечении **30-45%** гематологических и до **20-25%** солидных опухолей.
- К 2040 ожидается появление первых полностью биопринтированных органов для пересадки (начиная с простых тканей, переходя к сложным – почка, печень). В течение 10-15 лет созданные конструкции могут стать решением проблемы нехватки донорских органов, уменьшить число осложнений и случаев отторжения, после 2040 массовая коммерциализация и рост рынка биопринтинга до **300 млрд \$**



Спасибо за внимание!