

АНАЛИЗ РЕГУЛИРОВАНИЯ ПЛАТФОРМЕННЫХ ТЕХНОЛОГИЙ В БИМЕДИЦИНЕ

Отраслевой аналитический обзор

2022

УДК 615.03+615.07

ББК Р11(О)

О-86

Редакционная коллегия:
М.Р. Галямова, О.В. Валиева

Авторы:

М.Р. Галямова, руководитель Центра национальной технологической инициативы по направлению «Хелснет»

О.В. Валиева, канд. экон. наук, старший научный сотрудник ИЭОПП СО РАН

В.В. Андрианов, директор по работе с партнерами АО «Р-Фарм», заместитель лидера рабочей группы «Хелснет» НТИ

А.Н. Осипенко, ассистент кафедры фармакологии ФГБОУ ВО СибГМУ
Минздрава России

Е.А. Александрович, эксперт Центра национальной технологической инициативы по направлению «Хелснет»

М.А. Попова, эксперт Центра национальной технологической инициативы по направлению «Хелснет»

Отраслевой аналитический обзор «Анализ регулирования платформенных технологий в биомедицине» // — Инфраструктурный центр НТИ «Хелснет», Научно-технологический парк Новосибирского Академгородка, Новосибирск, 2026

Отраслевой аналитический обзор «Анализ регулирования платформенных технологий в биомедицине» посвящен анализу регуляторного механизма присвоения статуса платформенной технологии и его практического значения для ускорения разработки и экспертизы лекарственных средств за счет обоснованного переиспользования данных. В обзоре рассмотрены правовая основа и критерии PTDD, логика подачи и одобрения заявок, а также разбор ключевых кейсов применения статуса и обобщение общественно-экспертных оценок программы; приведен официальный перевод исходного документа FDA.

Аналитическое исследование подготовлено Инфраструктурным центром Национальной технологической инициативы «Хелснет» при содействии Фонда поддержки проектов Национальной технологической инициативы и Министерства науки и высшего образования Российской Федерации.

Дизайн Е.А. Александрович, Д.Ю. Ульянова

© ИЦ НТИ «Хелснет», Научно-технологический парк
Новосибирского Академгородка, 2026

При перепечатке ссылка обязательна

Содержание

СПИСОК СОКРАЩЕНИЙ	4
ВСТУПИТЕЛЬНОЕ СЛОВО	8
ОТРАСЛЕВОЙ ВЗГЛЯД: ПОЗИЦИЯ ИНДУСТРИИ	10
ВВЕДЕНИЕ	12
ЧАСТЬ I. ОПЫТ FDA PTDD	13
1. Обзор программы	14
2. Кейсы	18
3. Обзор мнений	21
ЧАСТЬ II. РОССИЙСКАЯ ПЕРСПЕКТИВА	23
1. Потенциальные платформенные технологии в России	24
2. Нормативно-правовое регулирование технологий разработки лекарственных средств в Российской Федерации	26
3. Регулирование без платформенного статуса: какие механизмы в РФ и ЕАЭС позволяют использовать сходную логику	30
4. Последние изменения и тенденции (2024–2026 гг.)	31
5. Выводы	32
МНЕНИЯ ЭКСПЕРТОВ	34
1. Игорь Саматошенков, генеральный директор «Ангиолайф»	35
2. Ольга Федорова, доктор медицинских наук, профессор, проректор по научной работе и последипломной подготовке ФГБОУ ВО СибГМУ Минздрава России	37
3. Роман Иванов, PhD, директор Научного центра трансляционной медицины, председатель ученого совета Научно-технологического университета «Сириус»	39
4. Ирина Алексеенко, руководитель группы генной иммуноонкотерапии, Институт биоорганической химии имени М.М. Шемякина и Ю.А. Овчинникова Российской академии наук; заместитель генерального директора по науке, Московский центр инновационных технологий в здравоохранении	40
ЗАКЛЮЧЕНИЕ	43
СПИСОК ИСТОЧНИКОВ	44
ПРИЛОЖЕНИЕ	46

Список сокращений

- 2E/R4 (LGMD2E)** — конечностно-поясная мышечная дистрофия типа 2E/R4
- AATD** — Alpha-1 Antitrypsin Deficiency; дефицит альфа-1-антитрипсина
- AAV** — adeno-associated virus; аденоассоциированный вирус
- AI** — Artificial Intelligence; искусственный интеллект
- ANB-002-1 / SAFRAN** — название/код клинического исследования арвенакоген санпарвовекса; SAFRAN — рабочее имя исследования
- ANB-002-2 / MAGNOLIA** — название/код клинического исследования того же препарата; MAGNOLIA — рабочее имя исследования
- АОС-платформа** — Antibody-Oligonucleotide Conjugates; модульная система доставки лекарств, разработанная Avidity Biosciences
- ASO** — Antisense Oligonucleotide; антисмысловой олигонуклеотид
- BCD-272** — внутренний код кандидата BIOCAD для терапии бронхиальной астмы
- BCMA CAR-T** — B-cell Maturation Antigen CAR-T; CAR-T-терапия, нацеленная на антиген созревания В-клеток (BCMA)
- BLA** — Biologics License Application; заявление на лицензию биологического препарата для вывода на рынок
- BPM** — Business Process Management; управление бизнес-процессами
- BTX-301 / BTX-401 / BTX-501** — внутренние коды кандидатов платформы «Бетусфера»
- CAR-T** — Chimeric Antigen Receptor T-cells; Т-клетки с химерным антигенным рецептором (CAR-T-клеточная терапия)
- ITR** — Inverted Terminal Repeats; инвертированные концевые повторы AAV-векторной конструкции

- CD19 CAR-T** — CAR-T against CD19; CAR-T-терапия, нацеленная на антиген CD19
- CMC** — Chemistry, Manufacturing and Controls; химия, производство и контроль качества
- COL7A1** — ген, кодирующий альфа-1-цепь коллагена VII
- Combi 5V** — combined / combination 5-valent; комбинированная 5-валентная вакцина (ПАО «Артген биотех», кандидат «грипп + COVID-19»)
- CRISPR/Cas** — Clustered Regularly Interspaced Short Palindromic Repeats / CRISPR-associated proteins; система редактирования генома на основе кластеризованных регулярно расположенных коротких палиндромных повторов и ассоциированных с ними белков
- CTX112** — аллогенная (донорская) CAR-T-клеточная терапия, разрабатываемая компанией CRISPR Therapeutics
- CTX131** — экспериментальный аллогенный (донорский) препарат CAR-T-клеточной терапии, разрабатываемый компанией CRISPR Therapeutics
- DMD** — Duchenne Muscular Dystrophy; мышечная дистрофия Дюшенна
- EMA** — European Medicines Agency; Европейское агентство по лекарственным средствам
- FD&C Act** — Federal Food, Drug, and Cosmetic Act; Федеральный закон США «О пищевых продуктах, лекарственных препаратах и косметических средствах»
- FDA** — Food and Drug Administration; Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США
- GCP** — Good Clinical Practice; надлежащая клиническая практика
- GMP-производство** — Good Manufacturing Practice production; производство по стандартам надлежащей производственной практики
- GSD1a** — Glycogen Storage Disease type 1a; гликогеноз типа 1a

- GT DF 102** — внутренний код кандидата Генотаргет от ПАО «Артген биотех»
- HSV-1** — Herpes simplex virus type 1; вирус простого герпеса 1 типа
- HSV-платформа** — платформа генной терапии на основе модифицированного HSV-1-вектора
- IND** — Investigational New Drug; заявление на исследование нового лекарственного средства, разрешающее клинические испытания
- IoT** — Internet of Things; интернет вещей
- KB801** — код экспериментальной генной терапии от Krystal Biotech (топические глазные капли на HSV-1-векторе)
- LAD-1** — Leukocyte Adhesion Deficiency type 1; дефицит лейкоцитарной адгезии 1 типа
- LP-1** — Liver-Specific Promoter 1; печеночно-специфичный промотор 1
- MedDRA** — Medical Dictionary for Regulatory Activities; международный медицинский словарь для регуляторной деятельности
- MES** — Manufacturing Execution System; система оперативного управления производством
- MHC** — Major Histocompatibility Complex; главный комплекс гистосовместимости
- ML** — Machine Learning; машинное обучение
- NGF** — Nerve Growth Factor; фактор роста нервов, стимулирующий рост, поддержание и выживание нейронов
- PD-L1** — Programmed Death-Ligand 1; лиганд рецептора программируемой клеточной смерти-1, иммунный чек-пойнт
- PMO** — Phosphorodiamidate Morpholino Oligomer; фосфордиамидатный морфолиновый олигомер
- PTDD** — Platform Technology Designation Program; программа присвоения статуса платформенной технологии
- RP-L102** — экспериментальный препарат генной терапии, разрабатываемый компанией Rocket

Pharmaceuticals

- siRNA** — малая интерферирующая РНК, короткая двуцепочечная РНК (20–25 нуклеотидов), вызывающая РНК-интерференцию: связывается с миРНК-комплексом, деградирует комплементарную мРНК и подавляет экспрессию целевого гена
- SRP-9003 (bidridrogene ebopavovec)** — код препарата и его международное непатентованное наименование (INN), генной терапии от Sarepta Therapeutics
- TALEN** — Transcription Activator-Like Effector Nuclease; нуклеаза на основе эффектороподобных белков активаторов транскрипции
- ZFN** — Zinc Finger Nuclease; цинк-пальцевая нуклеаза
- БМКП** — биомедицинский клеточный продукт
- БТЛП** — биотехнологический лекарственный препарат
- ВТЛП** — высокотехнологичный лекарственный препарат
- ДКИ** — доклинические исследования
- ДМ1** — миотоническая дистрофия 1 типа
- ДНК** — дезоксирибонуклеиновая кислота
- ЕАЭС** — Евразийский экономический союз
- ЕГИСЗ** — Единая государственная информационная система в сфере здравоохранения
- ЕЭК** — Евразийская экономическая комиссия
- ЖНВЛП** — жизненно необходимые и важнейшие лекарственные препараты
- КИ** — клинические исследования
- КФС** — киберфизические системы
- ЛП** — лекарственный препарат
- мРНК** — матричная РНК, одноцепочечная рибонуклеиновая кислота, которая транскрибируется с ДНК и переносит генетическую информацию от ядра к рибосомам для синтеза белков в процессе трансляции
- ОХЛП** — общая характеристика лекарственного препарата
- ИБХ** — Институт биоорганической химии имени М.М. Шемякина и Ю.А. Овчинникова РАН

Вступительное слово

Современная биоэкономика развивается по экспоненте, и фармацевтический сектор занимает в ней уникальное положение. По оценкам, до 42% мирового дохода в структуре биоэкономики приходится на продукцию медицины и фармацевтики. Именно здесь пересекаются наиболее наукоемкие технологии, сложнейшие регуляторные режимы и наивысшая добавленная стоимость. Однако индустрия столкнулась с системным вызовом: стоимость вывода инновационного препарата на рынок превышает 2–3 млрд долларов, а сроки разработки достигают 10–15 лет. В этих условиях традиционная модель «одно соединение — один продукт» перестает быть экономически устойчивой, особенно в сферах генной терапии, редактирования генома и персонализированной медицины.

Ответом на этот вызов стал платформенный подход. Технологическая платформа — не просто набор методов, а воспроизводимая, стандартизированная и хорошо изученная система, которая может быть адаптирована для создания нескольких препаратов. Переход от штучной разработки к конвейерному режиму возможен только тогда, когда регуляторная система начинает доверять платформе: признает, что данные, полученные для одного продукта, могут быть частично переиспользованы для последующих, — разумеется, при безусловном сохранении безопасности пациентов.

Именно эту задачу решает американская Platform Technology Designation Program (PTDD) Управления по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA). В мае 2024 года FDA выпустило развернутое руководство, а к 2026-му накопила первые примеры присвоения и, что не менее важно, отзыва статуса платформенной технологии. Этот опыт уникален: он впервые в мировой практике формализует «зону наложения» — пространство, где технологическая зрелость платформы встречается регуляторное доверие. Именно в этой точке рождается максимальная экономическая эффективность, поскольку сокращение затрат на разработку второго и последующих продуктов может достигать 30–50%, а времени вывода — 20–40%.

Анализ программы PTDD важен для России не как академическое упражнение. В рамках национального проекта «Биоэкономика» перед страной поставлена цель технологического лидерства, включая создание собственных конкурентоспособных биофармацевтических продуктов. Уже сегодня в России сформирован пул компаний и научных центров, разрабатывающих препараты на основе мРНК, вирусных векторов, CAR-T-клеток, рекомбинантных белков и других платформенных решений. Эти разработки — реальный задел для формирования национальной системы квалификации платформенных технологий.

Вопрос стоит остро: готовы ли мы ставить перед собой задачу развития платформенного регулирования или останемся в роли наблюдателей, заимствующих чужие решения через 10–15 лет? Ответ очевиден — присутствие в новом мировом тренде платформизации фармразработки является императивом на ближайшую четверть века.

Однако реализация такого подхода невозможна в изоляции. Она требует согласованного развития смежных отраслей:

- новых материалов (липиды для наночастиц, полимеры для систем доставки);
- микроэлектроники (сенсоры, компоненты «орган-на-чипе»);
- информационных технологий и искусственного интеллекта, которые могут обучаться на стандартизированных данных платформ, прогнозируя профили безопасности и эффективности новых кандидатов.

Настоящий обзор ставит перед собой цель не только описать механику PTDD, но и предложить системный взгляд на то, как платформенный подход может быть интегрирован в российскую стратегию развития биофармацевтики. Мы рассматриваем два возможных пути: долгосрочную системную программу, обсуждение которой может занять годы, и пилотный проект, опирающийся на уже существующие технологические заделы. Именно пилот позволит в сжатые сроки — 1,5–2 года — отработать механизмы квалификации платформ и переиспользования данных, создав основу для последующего нормативного регулирования в рамках ЕАЭС.

Таким образом, исследование опыта FDA PTDD становится для отечественной фарминдустрии не просто академическим обзором, а примером реализуемой практики для формирования собственного подхода в области биофармацевтических инноваций. Нам важно быстро решить, как именно обеспечить и внутреннюю лекарственную безопасность (техсуверенитет), и конкурентоспособность технологий и продуктов на международных рынках, решая задачи технологического лидерства в фарминновациях.

Олег Лавров

Д. М. Н.,

АНО «ИИЦ» (экосистема компании «Иннопрактика»)



Отраслевой взгляд: позиция индустрии

Как представитель компании «Р-Фарм», последовательно развивающей собственные технологические платформы — от недавно запущенной в Пушино платформы для создания терапевтических антител до завершающей настройку мРНК-платформы, — и как заместитель лидера рабочей группы НТИ «Хелснет», я постоянно сталкиваюсь с вопросом: как нам перейти от штучных, пусть и успешных, разработок к системе, способной генерировать инновации серийно?

Ответ на этот вопрос напрямую связан с задачами, поставленными в Стратегии научно-технологического развития Российской Федерации и конкретизированными в Указе Президента № 896, утвердившем Стратегию развития здравоохранения до 2030 года. Документ прямо называет технологический суверенитет приоритетом, устанавливая амбициозные цели: 90% отечественных препаратов в Перечне ЖНВЛП и 80% — уровень технологической независимости отрасли. Эти ориентиры находят свое отражение и в запущенном с 2025 года национальном проекте «Новые технологии сбережения здоровья», нацеленном на достижение технологического лидерства в медицинских технологиях и производстве лекарств.

Но как достичь этих показателей, не просто копируя существующие решения, а создавая собственные? Мировой опыт, и в первую очередь анализируемая в данном обзоре программа FDA PTDD, подсказывает направление: необходимо легализовать и стимулировать платформенный подход. Речь идет о том, чтобы хорошо изученная, воспроизводимая технология (вектор, платформа антител, система доставки мРНК) получила регуляторное признание, позволяющее частично переиспользовать накопленные данные при создании новых препаратов на той же основе.

Для нас это не абстракция. Запущенная «Р-Фарм» платформа в Пушино — пример именно такого подхода: единая технологическая база, позволяющая ежегодно создавать до 200 генетических конструкций и выводить на пилотные доклинические исследования новые молекулы для терапии онкологических и аутоиммунных заболеваний. Но сегодня каждый следующий препарат на этой платформе мы вынуждены доказывать регулятору во многом заново. Опыт FDA показывает: можно иначе.

Конечно, мы не будем просто копировать американские механизмы. Но сам вектор — формирование «зоны наложения» технологической зрелости и регуляторного доверия — критически важен. Тем более что на горизонте — запуск с 2026 года национального проекта «Технологическое обеспечение биоэкономики», где фармацевтический сектор занимает до 42% мирового дохода в структуре биоэкономики. Участие в этом тренде — не вопрос выбора, а императив на ближайшие десятилетия.

Представленный обзор — попытка осмыслить американский опыт и предложить конкретные шаги для России. Мы видим как минимум два пути: длительная системная программа или пилотный проект с уже существующими заделами (а они у нас есть — от AAV-платформ до CAR-T и мРНК-вакцин). Именно пилот, став основой для последующего нормативного регулирования, позволит быстро отработать механизмы квалификации платформ и переиспользования данных.

Убежден: сегодня у нас есть все необходимое — и технологические заделы, и понимание мировых трендов, и стратегические ориентиры, — чтобы сделать платформенный подход реальным инструментом достижения технологического лидерства российской биофармацевтики.

Владимир Андрианов

директор по работе с партнерами АО «Р-Фарм»,
заместитель лидера рабочей группы «Хелснет» НТИ



Введение

В современных условиях платформенные биотехнологии приобретают высокую значимость в ускорении разработок фармпрепаратов. Они позволяют стандартизировать процессы от доклинических исследований до рыночной регистрации, минимизировать дублирование данных и обеспечить масштабируемость производства. Платформы представляют собой решение, актуальное как для разработчиков и регуляторов, так и для всей индустрии. Они обеспечивают технологический прорыв, который может перевести производство препаратов на «конвейерный» режим в биофармацевтической разработке.

FDA уже накопило значительный опыт в области платформенных технологий через программу PTDD, запустив выдачу сертификатов для проверенных платформ. На данный момент известно о двух ярких примерах одобрения статуса PTDD от FDA, которые рассмотрены во втором пункте этой части исследования.

Цель исследования — продемонстрировать возможности платформенного подхода в биотехнологической разработке фармпрепаратов, подкрепив это конкретными примерами и кейсами из практики FDA.

Задачи исследования:

1. Изучить правовую основу и критерии PTDD.
2. Проанализировать кейсы выдачи статуса платформенных технологий.
3. Оценить общественно-экспертное восприятие программы.
4. Проанализировать возможности адаптации логики PTDD в РФ и ЕАЭС.

ЧАСТЬ I ОПЫТ FDA PTDD



1. Обзор программы

Создание программы платформенных технологий для разработки лекарств и определение порядка присвоения статуса — не просто инициативная политика FDA, а законодательно закреплённая обязанность. FDA прямо позиционирует эту программу как инструмент снижения повторяемости работ и ускорения как разработки, так и регуляторной экспертизы при условии, что у заявителя есть достаточная доказательность переносимости технологии между продуктами. В основе механизма — регуляторная логика: если технология хорошо изучена, воспроизводима и уже доказала работоспособность в одобренном продукте, то часть данных (прежде всего по качеству и производству, а иногда и по доклинической безопасности) может быть корректно переиспользована при выводе следующего продукта на той же основе. То есть статус платформенной технологии даёт не ускоренное одобрение по умолчанию, а перевод платформенного подхода в формализованный режим доказательств и ссылок: какие элементы действительно общие, что именно можно переносить, и какие риски различий надо закрыть.

При этом важно разграничивать терапевтическую модальность и собственно платформенную технологию. В логике PTDD платформой считается не класс препаратов как таковой, а конкретная, хорошо изученная и воспроизводимая технология, существенная для структуры или функции продукта и пригодная для переноса более чем на один продукт при наличии общих структурных элементов и стандартизированного производственного процесса.

Юридически программа привязана к разделу 506K закона США о пищевых продуктах и лекарствах (FD&C Act)¹ и описана FDA как часть реализации положений PREVENT Pandemics Act (в составе крупного закона 2023 года). Программа задумывалась в том числе как способ ускоренного масштабирования разработки платформенных решений (например, для инфекционных угроз), но сам механизм шире — он применим к лекарствам и биопрепаратам с повторяющейся технологической архитектурой. Важно отметить, что это только проект руководства, который поясняет раздел 506K FD&C Act и содержит рекомендации, не имеющие обязательной юридической силы.

Раздел 506K задаёт определение платформенной технологии как «хорошо изученной и воспроизводимой» и перечисляет типовые формы (последовательность нуклеиновой кислоты, молекулярная структура, механизм действия, способ доставки, вектор и др.), а также 3 признака технологии, необходимые для присвоения статуса платформенной:

- встроена в препарат и существенна для его структуры или функции;
- применима более чем к одному продукту, имеющему общий структурный элемент (доказуемая технологическая общность);
- даёт возможность разрабатывать и производить несколько продуктов через стандартизированный процесс (если каждый продукт требует полностью уникального процесса, платформенность распадается).

Ключевой момент, по которому многие платформы могут не пройти: для статуса нужна не просто повторяемость, а разумная вероятность «значимых эффективностей», то есть реального сокращения объема дублирующихся работ и/или регуляторной нагрузки за счет переиспользования данных. Если технология давно стандартна и уже «учтена» обычной экспертизой, FDA прямо допускает, что статус может не дать добавочной эффективности и потому не будет присвоен.

В программе заложена двухэтапная логика. Сначала FDA смотрит, является ли заявляемое решение платформенной технологией по определению: хорошо понимаемая, воспроизводимая, существенная, переносимая и стандартизируемая. Затем — соответствует ли она условиям пригодности для присвоения статуса:

- технология уже использована в препарате, который одобрен/лицензирован FDA;
- есть предварительные доказательства, что ее можно применять более чем в одном продукте без ухудшения качества, производительности и безопасности;
- есть обоснование, что статус с высокой вероятностью даст существенные преимущества (эффективности) в разработке/производстве и в регуляторной экспертизе.

Предварительные доказательства — это набор данных завершенных тестов и исследований и сопоставлений между уже одобренным продуктом и продуктом(ами), который(ые) планируется развивать дальше на той же основе. FDA ожидает, что заявитель будет учитывать всю линейку своих продуктов на платформе независимо от стадии разработки и объяснит, почему совокупных данных достаточно, чтобы часть продукт-специфичных испытаний можно было не повторять в полном объеме.

Потенциальная ценность статуса. Во-первых, более ранние и содержательные взаимодействия с FDA именно про платформу: как она влияет на безопасность, чистоту, активность / биологическую активность и качество и какие элементы можно считать «устоявшимися» для последующих продуктов. При ограниченных ресурсах FDA допускает приоритизацию таких обсуждений там, где ожидается максимальная польза для общественного здравоохранения.

Во-вторых, переиспользование данных по качеству и производству: например, части результатов по производственным сериям, определенные данные стабильности, накопленные данные по разработке, упаковке и условиям использования, если заявитель доказал сопоставимость и релевантность к новому продукту. Это не означает, что «новый продукт можно не характеризовать», но подразумевает, что часть доказательств можно строить на уже принятой регулятором базе, а не с нуля.

И в-третьих, учет регулятором предшествующих инспекций и общей истории контроля производства при рассмотрении последующих заявок, связанных с продуктами на обозначенной платформе.

FDA делает акцент на том, что статус платформы не означает автоматический приоритетный обзор; статус платформы не является пропуском в программы ускоренной регистрации: он не меняет сам по себе право продукта на такие режимы (если продукт соответствует, он и так может претендовать).

Запрос на присвоение статуса — это структурированное научно-регуляторное обоснование, где заявитель должен продемонстрировать FDA пять аспектов:

1. Что такое платформа и где она уже доказана. Нужно указать, в каком одобренном/лицензированном продукте она уже используется, и дать прозрачные ссылки на материалы, подтверждающие ключевые свойства технологии.
2. В чем технологическая общность продуктов. FDA ожидает демонстрации «общего структурного элемента» между продуктами и объяснения, почему именно он делает переносимость данных обоснованной.
3. Что именно заявитель собирается переиспользовать: не в общем виде, а перечислить классы данных, испытаний и элементов производственного контроля, которые планируется использовать повторно, и почему это допустимо.
4. Как управляются риски различий. В запросе должна быть оценка рисков: какие различия между продуктами могут привести к «срыву переносимости», как эти сценарии закрываются имеющимися данными и что будет сделано для управления остаточным риском (дополнительные испытания, внутрипроцессный контроль, более узкие пределы критических параметров и т.д.).
5. Почему это дает значимую эффективность. FDA просит показать, что переиспользование реально приводит к ощутимому сокращению повторяющихся действий (и для разработчика, и для экспертизы).

Отдельная практическая деталь: для снижения риска незначительных отличий переносимость обычно проще доказывается, когда сохраняются сопоставимые производственные подходы; при смене площадки может потребоваться дополнительное обоснование сопоставимости.

Место статуса в жизненном цикле разработки. FDA рекомендует подавать заявление на присвоение статуса в фазе разработки до подачи маркетинговой заявки, когда уже есть достаточный массив данных, чтобы обсуждать переносимость между продуктами, — как правило, после того как одобрена заявка на клинические исследования. При этом рассмотрение запроса на статус идет отдельно от стандартной оценки безопасности в рамках заявки на клинические исследования.

Перед подачей FDA допускает рабочие встречи для обсуждения планируемого запроса — по сути, чтобы заранее согласовать, достаточно ли данных и как правильно упаковать аргументацию.

FDA оставляет за собой право отозвать статус в любой момент после при-

своения, если обнаружит, что технология больше не соответствует критериям программы; отзыв оформляется письменно с обоснованием.

Если платформа, уже встроенная в одобренные продукты, меняется, то изменения оформляются через стандартные послерегистрационные процедуры, а заявитель должен поддерживать логику: обновленная версия технологии все еще соответствует критериям программы, а связь данных и перекрестных ссылок остается корректной.

Какие технологии могут попасть в программу. FDA приводит иллюстративные примеры того, что потенциально может быть признано платформой: технологические решения, где повторяемая архитектура и стандартизированное производство действительно позволяют переносить доказательства между продуктами (например, платформы липидных наночастиц для мРНК, платформы моноклональных антител, подходы «наводящий фрагмент + siRNA» при доказанной переносимости качества и безопасности).

В качестве сомнительных претендентов на статус FDA называет решения, которые либо слишком общие и давно стандартны (и потому не дадут дополнительных эффективностей), либо слишком чувствительны к входным параметрам, чтобы реально быть стандартизированной платформой, либо относятся к зонам, где регуляторная логика уже устроена иначе (например, технологии доставки через устройства).

Статус платформенной технологии — это контракт доказательности между разработчиком и регулятором: разработчик показывает, что платформа стабильна, переносима и дает экономию регуляторного и научного труда; регулятор, в ответ, готов системно опираться на уже принятые данные о платформе при рассмотрении последующих продуктов.

В практическом плане потенциально платформизируемые решения удобно делить на два класса: технологии с типовым принципом действия и технологии с общей архитектурой доставки. К первым относятся, например, отдельные платформы на основе нуклеиновых кислот, антител, CRISPR/Cas или клеточных технологий; ко вторым — вирусные векторы, липидные наночастицы и иные системы адресной доставки. Такая рамка помогает отличать действительно платформенные решения от простого перечня биотехнологических модальностей.

С переводом исходного документа FDA можно ознакомиться в разделе «приложение».

Источники:

<https://www.fda.gov/media/178928/download>,

<https://pmc.ncbi.nlm.nih.gov/articles/PMC11279857/>,

<https://www.govinfo.gov/content/pkg/COMPS-973/pdf/COMPS-973.pdf>

2. Кейсы

На данный момент официально известно два случая выдачи FDA статуса платформенной технологии (PTDD). Один из которых закончился аннулированием выданного разрешения.

2.1. Sarepta Therapeutics. Триумф и падение: отзыв статуса PTDD

Sarepta Therapeutics вошла в историю как абсолютный пионер программы PTDD от FDA. В июне 2025 года был выдан этот статус по технологии rAAVrh74 — рекомбинантного аденоассоциированного вирусного вектора. Вектор использовался как система доставки генов в нескольких программах генной терапии Sarepta, включая одобренный FDA препарат Elevidys для лечения мышечной дистрофии Дюшенна и экспериментальный SRP-9003 (bidridrogene eboravovoc) для лечения бета-саркгликанопатии типа 2E/R4 (LGMD2E)². Новый статус позволял переносить данные по безопасности и производству на новые IND/BLA, давая, казалось бы, зеленый свет новым разработкам. Акции компании сразу прибавили 12 пунктов³.

Но буквально за один месяц происходят большие перемены. В испытаниях SRP-9003 (LGMD2E) и постмаркетинговом использовании Elevidys погибают три пациента от острой печеночной недостаточности.

В июле FDA выпускает пресс-релиз, принимает решение о лишении статуса PTDD компании Sarepta, так как из-за инцидентов была поставлена под сомнение надежность платформы⁴. Кроме того, был подписан официальный приказ FDA о приостановке клинических исследований по IND на испытания с rAAVrh74 и заморожены поставки препарата Elevidys⁵ (в итоге Elevidys остался одобренным, но с обновлениями по безопасности)⁶.

Хотя компания старалась доказать тот факт, что смерти не были связаны с самим вектором и Elevidys безопасен, решение FDA было окончательным⁷.

Таким образом, кейс Sarepta Therapeutics показал, как PTDD уязвим к новым данным о безопасности даже для ранее успешных платформ. Сейчас Sarepta фокусируется на других векторах, а FDA усилило мониторинг AAV-терапий (аденоассоциированных вирусов) после инцидентов с Sarepta, особенно обращая внимание на риски острой печеночной недостаточности.

2.2. Krystal Biotech. От мази для кожи к глазным каплям

Сначала Krystal успешно выпустила препарат Vyjuvek — гель с нереплицирующимся HSV-1-вектором, который доставляет рабочий ген COL7A1 прямо в клетки кожи для лечения дистрофического буллезного эпидермолиза⁸.

К 2025 году препарат стал коммерчески успешным и накопил большой массив данных по безопасности, что сделало HSV-платформу фактически готовой для FDA: повторяемой, масштабируемой и управляемой в промышленном масштабе. И в октябре 2025-го компания получила статус

платформенной технологии для генетически модифицированного, нереплицирующегося вирусного вектора на основе Herpes simplex virus (HSV-1)⁹.

Следующий шаг Krystal Biotech — перенос этой платформы в другую область. Таким образом, появились глазные капли KB801 для лечения нейротрофического кератита, где тот же HSV-1 доставляет ген NGF в эпителий роговицы^{10 11}.

С научной точки зрения это мощный аргумент: одна и та же платформа (вектор, базовая конструкция, производственный процесс) демонстрирует воспроизводимость в двух разных тканях, при этом остается локальной и редозируемой. Компания видит в PTDD возможность ускорить разработку конвейера генетических лекарств, начиная с KB801 для лечения нейротрофического кератита¹².

2.3. Потенциальные компании для программы PTDD

По данным BioSpace¹³, количество запросов на PTDD выросло на 300% после обновления руководства FDA в мае 2024 года. Невирусные платформы (AOC, Base Editing) и оптимизированные AAV получают преимущество на фоне уроков безопасности из кейса Sarepta. Получение статуса PTDD может стать ключевым фактором ускорения разработки и снижения затрат для компаний с модульными технологиями.

Согласно анализу BioSpace, опубликованному в статье «6 Biotechs With a Shot at the FDA's Platform Technology Designation»¹⁴, ряд биотехнологических компаний обладает значительными перспективами для получения статуса платформенной технологии. Ниже в таблице представлены возможные кандидаты на статус PTDD.

Таблица 1 — Перспективные компании на получение статуса PTDD, по мнению BioSpace

Компания	Технология, платформа	Описание
Avidity Biosciences	Платформа AOC, сочетающая антитела с олигонуклеотидами (siRNA/PMO)	AOC-платформа — это модульная система доставки лекарств, разработанная Avidity Biosciences (сейчас Novartis). 13 октября 2025 была проведена положительная pre-BLA-встреча с FDA по препарату del-zofa (препарат Avidity Biosciences для лечения мышечной дистрофии Дюшенна). Поэтому BioSpace ожидает подачу заявки на создание платформенной технологии.
Dyne Therapeutics	Платформа FORCE	Платформа предназначена для доставки PMO, ASO и белков в мышцы и печень. Клинические данные по программам DMD, DM1 и болезни Помпе демонстрируют устойчивые терапевтические эффекты. Универсальность системы делает ее подходящей для переноса данных на множественные индикации, что соответствует требованиям FDA к масштабируемости.
CRISPR Therapeutics	CRISPR/Cas9 ex vivo генное редактирование	FDA уже ранее одобрило Casgevy как лекарственный продукт компании для двух показаний: серповидно-клеточная анемия

Таблица 1 (окончание)

Компания	Технология, платформа	Описание
CRISPR Therapeutics	CRISPR/Cas9 ex vivo генное редактирование	(декабрь 2023-го) и трансфузионно-зависимая бета-талассемия (январь 2024-го). Разрабатываемые СТХ112 и СТХ131 ориентированы на онкогематологию и аутоиммунные заболевания. Наличие одобренного продукта с валидированной платформой позиционирует компанию как лидера среди претендентов на PTDD.
Beam Therapeutics	Технология Base Editing in vivo — это специализированная система генного редактирования, позволяющая изменять отдельные нуклеотиды ДНК непосредственно в организме пациента (in vivo)	Технология Base Editing позволяет изменять одну базу ДНК без двойных разрывов, снижая риск генотоксичности. Программы по AATD и GSD1a находятся на ранних клинических стадиях с инвестициями Pfizer в размере 1,35 млрд долларов. Высокая точность редактирования соответствует критериям PTDD well-understood and reproducible.
uniQure	Платформа AAV5 капсид с ITR и LP1-промотором для печеночной экспрессии трансгена	Компания — кандидат на PTDD, по мнению BioSpace, благодаря ранее одобренному FDA препарату Hemgenix для терапии гемофилии В. После отмены Sarepta аналитики видят uniQure как следующего лидера.
Rocket Pharmaceuticals	Лентивирусная генная терапия гемопоэтических стволовых клеток	Разработанный препарат Kresladi для LAD-1 демонстрирует 100-процентную выживаемость пациентов. RP-L102 для анемии Фанкони показывает стойкую генетическую коррекцию. Стабильность лентивирусных векторов по сравнению с AAV повышает шансы на признание платформы в области терапии гемопоэтических стволовых клеток.

Анализ BioSpace выявляет ряд ключевых сходств среди выделенных компаний, которые делают их сильными кандидатами на получение статуса платформенной технологии. Во-первых, фокус на генной и клеточной терапии для редких заболеваний. Во-вторых, наличие ранее одобренных FDA препаратов, наличие клинических данных. В-третьих, модульность и универсальность платформы. Эти общие черты соответствуют строгим критериям программы PTDD: well-understood, reproducible, scalable и multipurpose платформы.

3. Обзор мнений

После публикации проекта руководства FDA в мае 2024 года в профессиональной среде идею в целом оценивали как попытку «институционализировать платформенный подход», то есть заранее согласовывать с регулятором, какие элементы технологии и какие массивы данных могут переноситься между продуктами, чтобы сокращать повторяемость экспертиз и работ в разработке и производстве¹⁵. Юридические и регуляторные консультанты трактовали руководство как объяснение механизма переиспользования данных и делали акцент на предсказуемости при условии корректного обоснования переносимости и управления рисками различий между продуктами¹⁶. Скептицизм в отношении проекта заключается в двух пунктах:

1. Программа с самого начала выглядит узкой по входным условиям (нужно, чтобы технология уже была в одобренном или лицензированном продукте и были предварительные доказательства применимости для более чем одного продукта)¹⁷.
2. Отсутствует публичный реестр технологий и заявителей, получивших статус, из-за чего внешним наблюдателям сложно оценивать масштаб и устойчивость практики¹⁸.

Кейс с присвоением и отзывом статуса у Sarepta Therapeutics сместил тон общественного обсуждения в плоскость регуляторной осторожности и безопасности. В официальном сообщении FDA связало отзыв статуса с новой информацией по безопасности и прямо указало, что предварительные доказательства стали недостаточными для вывода о применимости платформы более чем в одном продукте без рисков¹⁹. В новостной повестке вокруг данной ситуации закрепились два конфликтующих мнения:

- позиция регулятора исходит из логики безопасности, согласно которой при обнаружении рисков платформа не может считаться переносимой на несколько продуктов, а значит, статус должен быть отозван, так как не выполняется ключевое условие программы — возможность использования технологии в нескольких продуктах без ущерба для безопасности;
- сообщество инвесторов и аналитиков трактуют действия FDA как регуляторную непредсказуемость; некоторые даже считают, что они могут быть восприняты как перестраховка из-за внешнего давления и репутационных факторов, а не только из-за качественно новой научной информации.

Параллельно отраслевые обзоры сделали вывод, что FDA этим шагом продемонстрировало: платформенная логика не отменяет необходимость продукт-специфичных данных, особенно в классах технологий, где риски могут проявляться неравномерно²⁰.

Второе публичное присвоение статуса (Krystal Biotech, нереплицирующий HSV-1-вектор) в октябре 2025-го профильные медиа и аналитики описали

как сигнал дальнейшего развития программы, но, вероятно, с еще более строгим вниманием к границам переносимости и к дизайну доказательств. Обсуждения вокруг этого кейса сводятся к возможности применения статуса в нетривиальных сценариях (повторное введение, локальные формы доставки) и к вопросу, какие риски можно считать общими для платформы, а какие остаются уникальными для конкретного препарата и его применения²¹.

Таким образом, по линии новостей, отраслевых разборов, юридических заметок и академического обсуждения 2024–2026 гг. можно сформулировать достаточно цельное общественно-экспертное восприятие программы:

1. Инструмент воспринимается как перспективный, но ранний и редкий. С 2024 года в публичном поле фигурируют единичные присвоения, а не массовая практика; это усиливает ожидание индивидуального рассмотрения каждого запроса и высокой планки доказательности.
2. Главная зона интереса — передовые терапии (прежде всего генная терапия и векторные технологии): именно там повторяемость технологий и производственных контуров потенциально дает максимальный эффект.
3. Безопасность — «рубильник», который может обнулить статус. Прецедент Sarepta Therapeutics закрепил мнение, что при появлении серьезной вероятности риска регулятор будет готов отозвать статус, даже если платформа уже широко используется.
4. Программа усиливает значение качества и производства как центра платформенной технологии. В дискуссии постоянно повторяется, что реальная экономия возникает там, где можно переносить обоснования по производственному процессу, контролю качества и стабильности, то есть платформенная технология должна быть прежде всего воспроизводимой и стандартизируемой.
5. Остаются вопросы к прозрачности и предсказуемости присвоения статуса. Внешнему рынку трудно оценить масштабы программы без публичного списка и без накопленной практики; из-за этого часть обсуждения уходит в прогнозы и гадания: кто следующий кандидат и какие технологии регулятор сочтет достаточно зрелыми.
6. Научно-экспертная (академическая) оценка осторожно позитивная: интервью-исследование по восприятию программы заинтересованными сторонами отмечает потенциал для редких и ультраредких заболеваний, но подчеркивает, что успех зависит от того, как будут решены практические вызовы (доказательность переносимости, границы применения, организационная реализация).

Программа статуса платформенной технологии FDA сейчас воспринимается как правильная по замыслу, но строго ограниченная по применимости и пока не масштабированная.

ЧАСТЬ II РОССИЙСКАЯ ПЕРСПЕКТИВА



1. Потенциальные платформенные технологии в России

В российском контуре «Хелснет» уже сформировался пул компаний и клинических центров, которые ведут разработку не единичных продуктов, а технологических линий, потенциально пригодных для платформенного регулирования в логике FDA PTDD: повторно используемое технологическое ядро, вокруг которого последовательно создаются разные препараты. Это не только ранние разработки, но и примеры с выходом на рынок (плазмидная ДНК-терапия), а также линейки, где одновременно присутствуют кандидаты на стадиях поиска, ДКИ, КИ (вакцинные белковые платформы, AAV-генотерапия, CAR-T), что уже сейчас делает вопрос переносимости части СМС и доказательной базы практически решенным.

Если использовать более строгую типологию, то российские платформенные заделы можно условно разделить на два класса: решения с типовым принципом действия и решения с общей системой доставки. В первом случае воспроизводится базовый механизм или конструкция продукта, во втором — архитектура переноса действующего начала в клетку или ткань-мишень. Такая рамка позволяет рассматривать российские примеры не как разрозненный перечень технологий, а как набор потенциальных платформ, сопоставимых с логикой PTDD.

В таблице ниже приведены ключевые российские примеры таких платформенных заделов: компании, суть технологического ядра и перечень препаратов и кандидатов с актуальным регуляторным статусом.

Таблица 2 — Потенциально платформенные технологии в РФ: текущие препараты и разработки

Компания	Технология, платформа	Описание
ПАО «Артген биотех» (artgen.ru) ²²	Бетусфера — платформа рекомбинантных белковых вакцин на основе корпускулярного адъюванта (бетулин)	«Бетувакс-КоВ-2» — КИ (первичная), ДКИ (бустерная); Combi 5V (грипп + COVID-19) — ДКИ; ВТХ-301 (аллергия на кошек) — ДКИ; ВТХ-401 (ВПЧ) — поиск кандидатов; ВТХ-501 (ротавирус) — поиск кандидатов
	Некстген — геннотерапевтическая платформа на основе рекомбинантной плазмидной ДНК (терапевтический ангиогенез/рост коллатералей)	«Неоваскулген» — рынок (ишемия нижних конечностей); КИ (синдром диабетической стопы); КИ (интерстициальный цистит); ранняя стадия/ДКИ (андрогенная алопеция); поиск (травмы периферических нервов)
	Генотаргет — генный трансфер с помощью AAV-векторов для орфанных нейромышечных заболеваний	GT DF 102 (дисферлинопатия; AAV-препарат) — ДКИ
	Протеомарин — платформа лекарств на основе вариабельных фрагментов «акульих антител» (нанотел)	Нанотела (ингибитор PD-L1) — поиск кандидатов

Таблица 2 (окончание)

Компания	Технология, платформа	Описание
АО «БИОКАД» (biocad.ru)	MabNEXT — платформа рекомбинантных антител/иммуноциткинов/fusion-белков (единые подходы к дизайну молекул и СМС)	Кандидат BCD-272 (бронхиальная астма) — ранняя разработка завершена в 2024-м, КИ стартовало в 2025-м ²³
	GeneNEXT — платформенная технология получения рекомбинантных AAV-векторов (rAAV) для in vivo/ex vivo генной терапии	Арвенакоген санпарвовек (генотерапия гемофилии В) — подано досье на регистрацию; данные I-II (ANB-002-1/SAFRAN), план набора в III фазу (ANB-002-2/MAGNOLIA) ²⁴
АО «ГЕНЕРИУМ» (generium.ru)	AAV-платформа генной терапии (in vivo доставка терапевтического гена)	Генная терапия миодистрофии Дюшенна — старт КИ (по сообщению компании)
ФГБУ «НМИЦ гематологии» Минздрава России (blood.ru)	Госпитально-производственная платформа CAR-T (клеточные генотерапевтические ЛП: производство + контроль качества + клиническое применение)	«Утжефра» (гемагенлеклейцел) — получено разрешение Минздрава РФ и стартовало КИ (I-II фаза) ²⁵
ФГБУ «НМИЦ радиологии» Минздрава России (new.nmicr.ru) + партнеры (НИЦЭМ им. Н.Ф. Гамалеи; НМИЦ онкологии им. Н.Н. Блохина)	Платформа персонализированных неоантиген-специфических мРНК-вакцин (сквозной контур: секвенирование → выбор неоантигенов → синтез мРНК → выпуск индивидуальной серии)	«НЕООНКОВАК» — разрешение на клиническое применение (НМИЦ радиологии); «Неовак-РОНЦ»/«Неоонковак» (меланома) — отдельное разрешение для НМИЦ онкологии им. Н.Н. Блохина ²⁶

Данные таблицы показывают, что в России уже есть претенденты на режим, близкий к PTDD: им приходится многократно проходить схожие контуры подтверждения качества и воспроизводимости процесса при переходе от одного кандидата к следующему, хотя часть рисков и атрибутов качества определяется именно платформой и могла бы оцениваться более модульно. Введение российской программы, функционально аналогичной FDA PTDD (с формализованной квалификацией платформы, требованиями к сопоставимости и контролю изменений и возможностью регуляторного переиспользования для последующих продуктов на той же основе), потенциально снизило бы регуляторную неопределенность и объем дублирующей экспертизы для разработчиков вакцинных платформ, AAV/ДНК-генотерапии и клеточных продуктов, ускоряя вывод новых кандидатов в ДКИ/КИ при сохранении приоритета безопасности и управляемости рисков.

2. Нормативно-правовое регулирование технологий разработки лекарственных средств в Российской Федерации

2.1. Уровни регулирования (ЕАЭС и РФ)

1.1. *Право Евразийского экономического союза (ЕАЭС):* решения Совета и Коллегии Евразийской экономической комиссии (ЕЭК) имеют прямое действие на территории всех государств-членов.

Государства-члены ЕАЭС в целях формирования общего рынка лекарственных средств в рамках ЕАЭС заключили Соглашение о единых принципах и правилах обращения лекарственных средств в рамках ЕАЭС.

С 2014 года (с ратификацией в 2016-м) Российская Федерация является участницей данного Соглашения. Правила ЕАЭС имеют приоритет над национальным, в том числе российским, законодательством.

1.2. *Национальное законодательство (РФ):*

- Федеральный закон от 12.04.2010 № 61-ФЗ «Об обращении лекарственных средств» (далее — Закон № 61-ФЗ), который применяется в части, не противоречащей праву Союза, и регулирует вопросы, переданные на национальный уровень;
- Федеральный закон от 23.06.2016 № 180-ФЗ «О биомедицинских клеточных продуктах» (далее — Закон № 180-ФЗ) регулирует продукты, содержащие живые клетки.

БМКП по Закону 180-ФЗ — это клеточные линии (культуры клеток, способные к воспроизводству), которые могут использоваться для восстановления тканей, но не являются лекарственными средствами в смысле Закона № 61-ФЗ.

Под Законом № 180-ФЗ остались продукты, которые соответствуют определению БМКП и не подпадают под определение лекарственного средства (например, аллогенные клеточные линии для регенеративной медицины без терапевтического гена).

Биомедицинские клеточные продукты, изготавливаемые для индивидуального применения в медицинской организации («госпитальное исключение»), могут не подлежать регистрации, но их оборот строго ограничен рамками индивидуального назначения и территорией одной клиники.

В настоящее время все новые лекарственные средства должны выводиться в оборот по правилам ЕАЭС, а ранее зарегистрированные необходимо привести в соответствие с правом ЕАЭС.

2.2. Технологии разработки лекарств в праве ЕАЭС

Технологии (AAV, HSV, CRISPR, АОС и др.) классифицированы и подчиняются правилам регистрации и экспертизы как «биологические лекарственные препараты» (БЛП). Базовые требования к ним закреплены в Решении Совета ЕЭК от 03.11.2016 № 89 «Об утверждении Правил проведения исследований биологических лекарственных средств Евразийского экономического союза» (далее — Решение № 89 и Правила № 89 соответственно).

Согласно Решению № 89 к БЛП относятся иммунологические (иммунобиологические) лекарственные препараты, биотехнологические лекарственные препараты, лекарственные препараты, полученные из плазмы человека, препараты пробиотиков (эубиотиков), препараты бактериофагов, высокотехнологические лекарственные препараты, а также лекарственные препараты, содержащие активные фармацевтические субстанции нерекombинантного происхождения, произведенные или выделенные из биологических источников (описаны в п. 2.2.1–2.2.3). Основной целью Правил является поддержание высокого уровня проведения фармацевтических и биологических испытаний, ДКИ и КИ, их единообразия.

2.2.1. Технологии на основе вирусных векторов

Генотерапевтические препараты (включая AAV, HSV, лентивирусные векторы)

В законодательстве ЕАЭС и РФ препараты на основе вирусных векторов (rAAVrh74, HSV-1, лентивирусы), упомянутые в кейсах Sarepta, Krystal Biotech, uniQure, Rocket Pharmaceuticals, квалифицируются как высокотехнологичные лекарственные препараты (ВТЛП), а именно — генотерапевтические лекарственные препараты.

Решение Совета ЕЭК от 03.11.2016 № 78 «Об утверждении Правил регистрации и экспертизы лекарственных средств для медицинского применения» (далее — Решение № 78 и Правила № 78 соответственно) вводит понятие «высокотехнологичный лекарственный препарат», к которому относятся генотерапевтические препараты.

Генотерапевтический лекарственный препарат определяется как препарат, содержащий рекомбинантную нуклеиновую кислоту (ДНК или РНК), которая вводится в организм человека для регулирования, исправления, замещения, добавления или удаления генетической последовательности.

Вирусные векторы (AAV, HSV, лентивирусы) рассматриваются как биологические активные субстанции, требующие особой оценки качества, безопасности и эффективности.

Для таких препаратов установлены специальные требования к доклиническим и клиническим исследованиям, включая оценку рисков интеграции в геном, иммуногенности, онкогенности и репликации вируса.

В случае препаратов Elevidys, Vyjuvek, KB801 требуется доказательство таргетной доставки и экспрессии трансгена в конкретных тканях.

Это требование вытекает из необходимости доказать фармакодинамику (эффективность) и безопасность препарата, что является основой для любого регистрационного досье, и конкретизировано в требованиях к доклиническим и клиническим исследованиям для генотерапевтических препаратов.

Правила № 78 требуют предоставления результатов клинических исследований, подтверждающих эффективность и безопасность препарата для заявленного показания. Для Vyjuvek это означает заживление ран, для Elevidys — улучшение двигательных функций, что является косвенным доказательством того, что трансген достиг цели и сработал.

Препараты ex vivo (Casgevvy, Kresladi) регулируются с учетом манипуляций с клетками пациента вне организма.

Препараты, разработанные с использованием целевой генетической последовательности для терапевтического действия, в отношении которых Правила № 89 указывают на использование вирусных (AAV, ретровирусы, лентивирусы, герпесвирусы) векторов, относятся к группе «генетически модифицированные клетки».

Для векторов на основе AAV и HSV-1 (Sarepta и Krystal) критически важны требования к оценке рисков. Для интегрирующихся векторов (лентивирусы) требуется оценка риска инсерционного мутагенеза.

2.2.2. Технологии редактирования генома (CRISPR/Cas, Base Editing)

Право ЕАЭС указывает, что новые техники редактирования генома, такие как CRISPR/Cas, цинковые пальцевые нуклеазы (ZFN) или TALEN, подпадают под действие правил для генетически модифицированных клеток.

Положения Главы 32 Решения № 89 применяются к продуктам, полученным этими методами, если это не противоречит их свойствам. Так, продукты Beam Therapeutics или CRISPR Therapeutics подпадают под требования к качеству, ДКИ и КИ по этим правилам.

Препараты на основе CRISPR/Cas9 (Casgevy) и Base Editing подпадают под определение генотерапевтических препаратов, но с учетом специфики редактирования генома.

Требуется особая оценка рисков внецелевого редактирования (off-target effects) и генотоксичности. Это требование проистекает из общих принципов оценки безопасности биологических лекарственных средств, установленных Решением № 89, в совокупности со специальными требованиями к генотерапевтическим препаратам.

В научной литературе, анализирующей требования ЕАЭС, указывается, что в область доклинической оценки входят исследования генотоксичности наряду с острой токсичностью, иммунотоксичностью и другими параметрами.

Для *in vivo* редакторов (Base Editing) применяются требования, аналогичные другим генотерапевтическим препаратам.

Специфика генотерапевтических препаратов (включая редактирование генома):

- В Главе 32 Правил № 89 сказано, что для генотерапевтических лекарственных средств, получаемых с использованием интегрирующихся векторов (ретровирусы, лентивирусы и др.), а также других методов, способных вызывать интеграцию (например, CRISPR/Cas9, транспозоны), необходимо проведение оценки риска инсерционного мутагенеза и онкогенеза. Это указание на необходимость оценки рисков, что является ключевым компонентом безопасности для CRISPR и Base Editing.
- *In vivo* (Base Editing): подпадает под действие Главы 32 как генотерапевтический препарат для введения в организм. Требуется оценка биораспределения, иммуногенности вектора доставки (если он вирусный), рисков инсерционного мутагенеза и эффектов непосредственно в тканях пациента.

- *Ex vivo* (CRISPR): к этапу редактирования клеток применяются требования Главы 32 (оценка рисков интеграции, off-target в клетках до введения пациенту).

2.2.3. Конъюгаты (АОС и FORCE). Препараты на основе олигонуклеотидов и конъюгатов (АОС, siRNA, РМО)

Технологии типа АОС компании Avidity Biosciences или платформы FORCE Dyne Therapeutics в праве ЕАЭС могут квалифицироваться:

1. как биотехнологические лекарственные препараты (БТЛП), если производство использует биотехнологические процессы (рекомбинантные белки, конъюгация с антителами);
2. как химические лекарственные препараты нового типа, если основной действующей частью является синтетический олигонуклеотид.

Закон № 61-ФЗ определяет БТЛП как препараты, производимые с использованием биотехнологических методов.

Решение № 78 предусматривает отдельные главы для биоаналогичных (биоподобных) и гибридных препаратов, что актуально для конъюгатов, сочетающих биологическую и химическую части.

Препараты, сочетающие антитело и олигонуклеотид, могут подпадать под общие правила для биологических препаратов, установленные в Решении № 89, с особым вниманием к характеристикам как антительной части (иммуногенность), так и олигонуклеотидной (токсичность, мишеневая доставка).

Резюме Пункта 2.2

Для всех упомянутых технологий действуют правила, закрепленные в Правилах проведения исследований биологических лекарственных средств ЕАЭС (Решение № 89).

Производство генотерапевтических препаратов регулируется Правилами надлежащей производственной практики ЕАЭС, утвержденными Решением Совета ЕЭК № 77.

Для вирусных векторов требуются отдельные производственные зоны для предотвращения перекрестной контаминации.

Особое внимание уделяется контролю качества векторов (титр, чистота, отсутствие репликационно-способных вирусов).

Право ЕАЭС уделяет пристальное внимание безопасности векторных платформ.

В Решении № 89 закреплены параметры оценки:

- гепатотоксичность: является обязательной частью ДКИ и КИ для AAV-препаратов;
- онкогенез (инсерционный мутагенез) — для интегрирующихся векторов (лентивирусы, гамма-ретровирусы).

3. Регулирование без платформенного статуса: какие механизмы в РФ и ЕАЭС позволяют использовать сходную логику

В РФ и ЕАЭС отсутствует специальный статус «платформенная технология», который автоматически позволял бы переносить данные между разными препаратами, однако существуют механизмы, частично реализующие эту логику:

- Решение Совета ЕЭК от 21.02.2025 № 18 «О внесении изменений в требования к инструкции по медицинскому применению лекарственного препарата и общей характеристике лекарственного препарата для медицинского применения» уточняет требования к общей характеристике лекарственного препарата (ОХЛП), позволяя создавать единые ОХЛП для разных дозировок и лекарственных форм одной платформы, если режим дозирования и профиль безопасности сопоставимы. Это снижает объем повторяющейся документации.

- **Ускоренные процедуры регистрации.**

Для препаратов, предназначенных для лечения редких (орфанных) заболеваний (мышечная дистрофия Дюшенна, буллезный эпидермолиз), доступны:

- условная регистрация на основе ограниченных данных (например, только результаты II фазы) с обязательством провести постмаркетинговые исследования;
- приоритетная экспертиза для инновационных препаратов, не имеющих аналогов.

Эти механизмы позволяют сократить время выхода на рынок.

- **Использование зарубежных данных.**

Законодательство ЕАЭС допускает использование результатов клинических исследований, проведенных за пределами Союза, при условии их соответствия стандартам GCP (Надлежащей клинической практики) и предоставления обоснования экстраполяции данных на страны ЕАЭС.

Это важно для компаний, уже получивших одобрение FDA или EMA, так как дает возможность не дублировать все исследования.

- Право ЕАЭС позволяет использовать концепцию «монография на продукт». Фармакопеи государств-членов и основные фармакопеи, в соответствии с Концепцией гармонизации фармакопей государств-членов ЕАЭС, утвержденной Решением Коллегии ЕЭК от 22 сентября 2015 года № 119, содержат в фармакопейных статьях (монографиях) важные требования в отношении определенных аналитических методик и критериев приемлемости, которые, если они применимы, являются частью процесса оценки фармацевтической субстанции либо лекарственного препарата. Такие фармакопейные статьи (монографии), применимые к биотехнологическим и биологическим препаратам, включают в том числе испытания на стерильность, эндотоксичность, микробиологическую чистоту, объем продукта в контейнере, однородность дозирования и механические включения. С точки зрения использования фармакопейных методов и критериев приемлемости требования связаны с обеспечением определенной степени гармонизации аналитических методик между фармакопеями. Фармакопеи предназначены для разработки идентичных или методологически эквивалентных аналитических методик и критериев приемлемости.

4. Последние изменения и тенденции (2024–2026 гг.)

1. Ужесточение контроля безопасности: в РФ и ЕАЭС усилен мониторинг нежелательных явлений. Введены новые требования к отчетности по тяжелым побочным эффектам, особенно печеночной токсичности и иммунным реакциям.
2. Защита генетических данных: в феврале 2026 года принят Федеральный закон № 43-ФЗ «О внесении изменений в Федеральный закон «О государственном регулировании в области генно-инженерной деятельности» и статью 2 Федерального закона «О внесении изменений в Федеральный закон «О государственном регулировании в области генно-инженерной деятельности», ужесточающий правила передачи генетических данных россиян за рубеж, что влияет на международные клинические исследования и передачу образцов для анализа.
3. Гармонизация с международными стандартами: ЕЭК обновляет правила ЕАЭС, сближая их с требованиями FDA и EMA, включая использование словаря MedDRA для кодирования побочных эффектов и унификацию требований к инструкции по применению.
4. Развитие «госпитального исключения»: формируются правила для производства инновационных препаратов непосредственно в клиниках, что актуально для персонализированной терапии.

5. ВЫВОДЫ

5.1. Ключевые наблюдения

Анализ программы FDA PTDD в сопоставлении с российской нормативной базой и текущими технологическими заделами показывает: в РФ и ЕАЭС отсутствует формальный аналог статуса «платформенная технология», но это не означает отсутствия работающих или потенциальных механизмов, позволяющих реализовать платформенную логику переиспользования данных. Ниже, на основе разобранных кейсов (Sarepta, Krystal Biotech, госпитальное исключение CAR-T в РФ), выделены конкретные сценарии, которые уже сегодня могут быть применены или адаптированы для ускорения вывода отечественных платформенных продуктов.

5.2. Возможности применения платформенного подхода в РФ: разбор по кейсам

Пример 1. Госпитальное исключение как действующая платформенная модель (на основе CAR-T)

В России уже разрешено индивидуальное применение клеточных продуктов, включая CAR-T, в рамках одной клиники (производство и применение без полной регистрации). Этот механизм фактически работает как платформенный: одна технологическая платформа (лентивирусный вектор, трансдукция Т-клеток) позволяет создавать продукты под разные мишени (CD19, BCMA) для разных показаний (онкология, аутоиммунные заболевания).

Потенциал распространения: аналогичную логику можно применить к мРНК-платформам (персонализированные неоантигенные вакцины, как «Неоонко-вак») и AAV-платформам с фиксированным вектором, меняющейся терапевтической вставкой. Достаточно расширить «госпитальное исключение» в подзаконных актах, не меняя рамочного законодательства.

Пример 2. Условная регистрация + пострегистрационный мониторинг платформенных рисков (урок Sarepta)

Кейс Sarepta (отзыв статуса PTDD из-за гепатотоксичности AAV у трех пациентов) показывает, что платформенный статус — это не «льгота навсегда», а механизм с обратной связью по безопасности. В ЕАЭС уже существует процедура условной регистрации для орфанных препаратов с обязательством постмаркетинговых исследований.

Возможность: при регистрации второго и последующих продуктов на одной платформе (например, AAV-препараты БИОКАД или Генериума) условием ускоренного рассмотрения может стать единый протокол мониторинга безопасности для всей платформы, с правом регулятора приостановить действие «платформенной льготы» при появлении серьезных сигналов. Это не требует нового закона — достаточно рекомендательных документов ЕЭК.

Пример 3. Переиспользование данных по СМС и доклинике на основе деловых соглашений (аналогия с механизмом cross-reference в FDA)

FDA позволяет использовать данные предыдущего одобренного продукта для последующего, если заявитель имеет полное право ссылки. В законодательстве ЕАЭС такая возможность формально не запрещена, но отсутствует типовой сценарий.

Российский задел: у компаний с несколькими кандидатами на одной платформе (например, платформа «Бетусфера» Артгена — вакцины COVID-19, грипп, ВПЧ; платформа MabNEXT БИОКАД — разные антитела) уже есть накопленные данные по воспроизводимости вектора/адъюванта/процесса.

Возможность: пилотный проект с участием Минздрава и ЕЭК, в рамках которого разработчик подает обоснование переиспользования результатов стабильности, аналитических методик и части токсикологических исследований для второго продукта. Решение принимается индивидуально, но создает прецедент и методическую основу.

Пример 4. Оценка платформы как единого объекта при приоритетной экспертизе (на основе критериев FDA well-understood and reproducible)

В FDA ключевым условием для PTDD является демонстрация того, что технология «хорошо изучена и воспроизводима». В российской практике приоритетная экспертиза (например, для препаратов из Перечня ЖНВЛП) пока применяется к продукту, а не к платформе.

Возможность: при подаче второго продукта на той же платформе (например, AAV-препарат для другой миодистрофии) заявитель может ходатайствовать о приоритетном рассмотрении, приложив к заявке реферативный обзор с доказательствами неизменности критических параметров качества и производства по сравнению с уже одобренным продуктом.

Регулятор вправе принять такое обоснование как основание для сокращения сроков экспертизы без изменения формальных правил.

Итоговая рекомендация

Вместо создания полного аналога FDA PTDD (что потребовало бы изменений в Соглашении ЕАЭС и национальных законах) предлагается сфокусироваться на пилотном проекте по двум-трем наиболее зрелым российским платформам (мРНК, AAV, CAR-T) с использованием уже существующих инструментов: госпитальное исключение, условная регистрация, перекрестные ссылки через деловые соглашения. Такой пилот позволит в срок 1,5–2 года выработать национальные и наднациональные рекомендации, которые впоследствии могут быть инкорпорированы в право ЕАЭС в виде отдельного раздела Решения № 78.

МНЕНИЯ ЭКСПЕРТОВ

В рамках обзора были проведены интервью с представителями индустрии, научно-образовательного и трансляционного контуров, в ходе которых экспертам были заданы два ключевых вопроса: какие технологии сегодня могут претендовать на статус платформенных и какие из них уже формируются или реализуются в России.

Ответы экспертов отражают профессиональное видение границ применимости платформенного подхода, приоритетных технологических направлений и условий, при которых возможна его практическая реализация в отечественной биофармацевтике.

Игорь Саматошенков

к. м. н., врач сердечно-сосудистый хирург,
соучредитель компании «Ангиолайф»



1. Какие технологии вы видите главными кандидатами для получения статуса платформенных?

Платформенные технологии — это технологии-фундаменты, на базе которых создаются и масштабируются целые экосистемы продуктов, сервисов и отраслей. Они выступают базой для быстрых инноваций и создания новых рынков, сокращают time-to-market и обеспечивают интеграцию смежных решений.

На мой взгляд (исходя из актуальной для меня тематики), именно генные технологии могут и должны стать платформенными. Не меняя структуру самого вектора (плазмида, вирус), возможно лишь менять клонированный туда ген под определенное заболевание. Это существенно ускоряло бы вывод препарата на рынок, минуя повторные изучения токсичности или иммуногенности. Да, в определенной степени такой подход имеет некоторый риск, однако основные усилия и финансы лучше потратить на изучение биологических свойств непосредственно терапевтических генов, которые и обладают основной активностью. Разумеется, вирусные векторы имеют свои особенности и разумным было бы внимательнее к ним относиться с точки зрения безопасности, чем, например, к плазмидам, однако платформенный подход был бы возможен и здесь.

Что касается клеточных технологий, то платформенные решения, на мой взгляд, применить сложнее, так как каждый пул полученных или модифицированных стволовых клеток может сильно различаться с биологической точки зрения и с точки зрения эффективности.

Ниже — немного о прочих возможных платформенных решениях:

- **Искусственный интеллект (AI, или ИИ) и машинное обучение (ML).**

ИИ уже становится основой для автоматизации, обработки данных, предиктивной аналитики, генеративных систем и адаптивных сервисов. Эти технологии позволяют создавать целые экосистемы приложений для бизнеса, науки, госуслуг и медицины.

- **Цифровые платформы управления и автоматизации (low code/no code, BPM).**

Они позволяют компаниям быстро создавать приложения и процессы под свои задачи без глубокого программирования. Это фундамент для ускоренной цифровизации бизнеса.

- **Платформы интернета вещей (IoT) + киберфизические системы (КФС).**

Соединение реального и цифрового мира через сенсоры и сети дает основу для «умных» индустрий: умные фабрики, города, транспортные системы и энергетика.

2. Какие наиболее перспективные платформенные технологии и продукты на их основе развиваются в России?

Россия сейчас активно продвигает несколько важных направлений, которые уже формируют свои технологические экосистемы:

- Платформы искусственного интеллекта: корпоративные и облачные платформы ИИ (по пути крупных мировых облаков) развивают в первую очередь Сбер и Яндекс, которые выстраивают конвейер внедрения ИИ в бизнес-процессы и создают единые ИИ-платформы для внутренних и внешних заказчиков.
- Цифровые экосистемы: Сбер, Яндекс, VK, МТС и Т-Банк остаются ядром крупнейших экосистем и фактически являются мультисервисными платформами (финансы, e-commerce, логистика, развлечения, образование, путешествия и др.).

Отраслевые и промышленные платформы

Промышленные цифровые платформы: компании переходят от замены отдельных систем к построению единой цифровой среды (объединяет эксплуатационный, сервисный и производственный контуры предприятия), на базе которой разворачиваются прикладные продукты (MES, мониторинг, техобслуживание, управление качеством и т.п.).

Платформы в экосистемах: крупные экосистемы (Сбер, Яндекс, VK, МТС, Т-Банк, а также развивающиеся игроки вроде Ozon, X5, Wildberries) строят собственные B2B — и B2C-платформы для торговли, логистики, финтеха, страховок, образования и развлекательных сервисов.

В медицине в России формируется несколько ключевых платформенных направлений: государственные цифровые платформы здравоохранения (ЕГИСЗ, Единая государственная информационная система в здравоохранении, и новая платформа «Здоровье»), региональные/клинические медицинские информационные системы и платформы ИИ-сервисов для диагностики и управления лечением.

Государственные цифровые платформы

ЕГИСЗ эволюционировала в полноценную цифровую экосистему, объединяющую данные о медорганизациях, сотрудниках, оборудовании и пациентах.

Национальная платформа «Здоровье»

Стратегия развития здравоохранения до 2030 года предусматривает создание единой национальной цифровой платформы «Здоровье», основанной на цифровых профилях граждан, с полной историей заболеваний, анализов и обращений. Платформа должна стать общим слоем для приложений и сервисов: телемедицина, дистанционные заключения специалистов федеральных центров, поддержка ИИ-сервисов для персонализированного подбора тактики лечения и профилактики осложнений. Фактически это шаг от разрозненных регистров к единой платформе управления здоровьем человека, где пациенты и врачи работают в одном цифровом контуре.

Ольга Федорова

доктор медицинских наук, профессор, проректор по научной работе и последипломной подготовке ФГБОУ ВО СибГМУ Минздрава России



1. Какие технологии вы видите главными кандидатами для получения статуса платформенных?

В XXI веке скорость разработки и внедрения инноваций — это критический фактор, определяющий технологическое превосходство и технологическую безопасность на мировой арене. В связи с этим платформенный подход в разработке лекарственных препаратов представляет собой стратегический шаг, который кардинально изменяет парадигму фармацевтической отрасли, позволяя ускорить период от идеи до внедрения в реальную клиническую практику и повысить конкурентоспособность государства.

Передовая международная практика связана с опытом реализации программы FDA по присвоению статуса платформенной технологии. Ключевым условием для потенциального кандидата является повторяемость «платформенной матрицы» и стандартизированное производство, что позволяет переносить доказательства между продуктами.

К настоящему времени в рамках программы FDA официально статус платформенной технологии был зарегистрирован для двух продуктов, однако число кандидатов растет. Среди них — биофармацевтические платформенные технологии с типовым принципом действия — на основе моноклональных антител, систем CRISPR/Cas, CAR-T-платформы, онколитические вирусы, РНК-вакцины и терапевтические средства.

Сегодня открыта новая эра в разработке лекарственных препаратов на основе регуляторных РНК, прежде всего для задач онкологии. При этом особую перспективу представляет платформенный подход в олигонуклеотидной фармразработке — использование заранее валидированного технологического «каркаса», встроенного в структуру и механизм действия препарата на основе регуляторных РНК. Платформенный подход базируется на том, что «каркас» остается тем же, а отличие между продуктами заключается только в последовательности олигонуклеотидов, задающих новую биологическую мишень. Для всех таких конструкций неизменной остается панель критических атрибутов качества. Благодаря тому, что эта «каркасная» часть уже валидирована, при создании нового препарата накопленные данные переносятся без повторных исследований, существенно сокращая время, стоимость и регуляторные риски разработки.

2. Какие наиболее перспективные платформенные технологии и продукты на их основе развиваются в России?

Разработка отечественных биотехнологических, высокотехнологичных лекарственных препаратов и платформ нового поколения — стратегическая задача, закрепленная в перечне критических технологий Указом Президента Российской Федерации от 18 июня 2024 г. № 529 «Об утверждении приори-

тетных направлений научно-технологического развития и перечня важнейших наукоемких технологий». Указ относит к критическим технологиям, среди прочего, «технологии разработки лекарственных средств и платформ нового поколения (биотехнологических, высокотехнологичных и радиофармацевтических лекарственных препаратов)», что напрямую определяет вектор развития для отечественной биофармацевтики.

К настоящему времени российские фармразработчики достигли уверенных результатов в создании технологий, потенциально претендующих на получение статуса платформенных, включая AAV-платформы генной терапии, платформы CAR-T, вакцинные белковые платформы, мРНК-вакцины.

В ряде российских научных организаций ведется создание продуктов на основе терапевтических олигонуклеотидов. Так, СибГМУ совместно с индустриальным партнером АО «Р-Фарм» ведет разработку противометастатического препарата на основе микроРНК. Для выполнения проекта университет развивает новые компетенции, в том числе инфраструктурные, которые позволили нам сформировать портфель по разработке препаратов на основе олигонуклеотидов. Новые молекулы открывают перспективы создания платформенного решения на базе технологий регуляторных РНК, и университет совместно с компанией «Р-Фарм» уже работает над концепцией такой терапевтической платформы.

Внедрение статуса платформенной технологии в России — это не просто перенос зарубежного опыта, а инвестиция в будущее, которая откроет доступ нашим пациентам к инновационным лекарствам и усилит позиции российских фармразработчиков и фармпроизводителей на глобальном рынке биотехнологий. Вместе с тем подход потребует перестройки всех этапов жизненного цикла разработки лекарственного препарата, а во многом — и системы лекарственного обеспечения, запустит новые виды деятельности, потребует адаптации регуляторных подходов.

Роман Иванов

PhD, директор Научного центра трансляционной медицины, председатель ученого совета Научно-технологического университета «Сириус»



1. Какие технологии вы видите главными кандидатами для получения статуса платформенных?

2. Какие наиболее перспективные платформенные технологии и продукты на их основе развиваются в России?

Наибольшее значение формализация платформенных подходов имеет для индивидуальных биотехнологических препаратов, которые изготавливаются в интересах конкретного пациента с учетом его генетических особенностей. Речь о персонализированных неоантигенных вакцинах для иммунотерапии онкологических заболеваний, препаратах для генной терапии наследственных заболеваний — на основе инструментов редактирования генома, конструируемых с учетом конкретных мутаций, генозаместительной терапии ультраредких заболеваний. Также для лечения наследственных заболеваний могут индивидуально изготавливаться препараты на основе синтетических олигонуклеотидов и их аналогов, специфически подавляющих экспрессию гена.

В тех случаях, когда препарат изготавливается с учетом конкретной мутации или число пациентов, у которых он может быть применен, исчисляется единицами, традиционные подходы к разработке лекарственных препаратов, требующие проведения полного цикла фармацевтических, доклинических и клинических исследований для каждого препарата с определенной структурой действующего вещества, являются невозможными или экономически неоправданными. Единственным способом обеспечить пациентов индивидуально изготавливаемыми для них лекарственными препаратами является утверждение требований к валидации платформенной технологии. В рамках валидации технологии доказываются постоянство критических параметров процесса и критических показателей качества при изготовлении с использованием платформенной технологии препаратов, имеющих отличия действующего вещества (например, различия последовательности нуклеотидов или аминокислот). При наличии данных о безопасности и эффективности применения данных продуктов это позволяет обосновать возможность сокращения объема исследований, необходимых для применения новых индивидуально изготовленных препаратов, в том числе сокращение объема испытаний в рамках выпускающего контроля качества.

Другой областью применения платформенного подхода является стандартизация сложных аналитических методов, применяемых для контроля качества и характеристики биотехнологических лекарственных препаратов (например, профиль гликозилирования моноклональных антител). Доказательство применимости универсальных методик к отличающимся по структуре (последовательности аминокислот или нуклеотидов) препаратам позволит существенно упростить разработку и контроль качества.

Ирина Алексеенко

*руководитель группы генной иммуноонкотерапии,
Институт биоорганической химии имени
М.М. Шемякина и Ю.А. Овчинникова Российской
академии наук; заместитель генерального директора
по науке, Московский центр инновационных
технологий в здравоохранении*



1. Какие технологии вы видите главными кандидатами для получения статуса платформенных?

С моей точки зрения, набор наиболее перспективных платформ уже достаточно хорошо очерчен. Я смотрю на этот вопрос сразу из двух позиций: как разработчик и руководитель лаборатории, прошедший значительную часть пути в создании генотерапевтических противоопухолевых препаратов вплоть до второй фазы клинических исследований, и как представитель контура внедрения медицинских технологий, который видит широкий спектр российских разработок и реальные барьеры их вывода в клинику.

В первую очередь статус платформенных следует присваивать тем технологиям, которые уже достаточно развиты в России и на базе которых отечественные исследователи и компании способны создавать широкий спектр продуктов. Таких платформ, на мой взгляд, немного, но именно они сегодня имеют наибольший практический смысл. Проблема в том, что многие платформенные препараты не доходят до регистрации не из-за слабости самой технологии, а из-за дефицита ресурсов на проведение клинических исследований.

Я бы выделила четыре ключевых направления.

Первое — мРНК-платформы. В России для них уже есть и производственная база GMP в Центре имени Н.Ф. Гамалеи, и сильные научные заделы: в Центре имени Н.Ф. Гамалеи, в ИБХ РАН, в Университете «Сириус», в Новосибирске. На этой платформе потенциально могут развиваться как минимум три класса продуктов: вакцины, препараты для лечения онкологических заболеваний, включая мРНК-иммуноадъюванты, и решения для лечения редких заболеваний. Уже сейчас несколько разработчиков пытаются двигаться в сторону *in vivo* CAR-T на базе мРНК; до практического внедрения еще есть дистанция, но в ближайшие два-три года ситуация, вероятно, существенно изменится. Среди примеров я могу назвать мРНК-иммуноадъюванты, кодирующие интерлейкины и цитокины для усиления противоопухолевого иммунного ответа, персонализированные вакцины, а также конструкции, направленные на усиление презентации МНС и, по сути, на профилактику прогрессии опухоли после завершения лечения.

Второе направление — платформа аденоассоциированных вирусов (AAV). В России этим занимаются уже около десяти научных центров. Для AAV-подходов в первую очередь характерна ориентация на наследственные заболевания, где клинические исследования чрезвычайно дороги из-за малого

числа пациентов, а стоимость терапии может достигать миллиона долларов на пациента и выше. Именно здесь платформенный подход особенно оправдан: базовая безопасность AAV достаточно хорошо изучена, тогда как от продукта к продукту меняется прежде всего генетическая вставка. У нас уже есть заделы по спинальной мышечной атрофии, дистрофии сетчатки, гемофилии, мышечной дистрофии Дюшенна. Если такие технологии будут формализованы как платформенные, это позволит существенно сократить затраты и для государства, и для разработчиков.

Третье направление — клеточные технологии, прежде всего CAR-T. Сейчас многие группы создают CAR-T-продукты под разные мишени, однако одна и та же мишень нередко может использоваться сразу при нескольких заболеваниях (например, CD-19 — при онкологических и при аутоиммунных). Тем не менее разработчики вынуждены каждый раз проходить практически весь путь заново: выполнять доклинические исследования *de novo*, а затем повторять клинический трек, хотя вектор уже известен, а профиль безопасности во многом понятен. При переходе, например, от онкологических показаний к аутоиммунным заболеваниям принципиально новых рисков для пациента может и не возникать, но время и деньги все равно тратятся заново. В такой ситуации платформенный режим мог бы дать очень существенный выигрыш.

Четвертое направление — генная терапия на основе плазмидной ДНК. Здесь также меняется прежде всего ген, тогда как сама технологическая основа остается прежней, а профиль безопасности в целом благоприятный. Поэтому и эту технологию, на мой взгляд, можно рассматривать как сильного кандидата на платформенный статус.

Именно эти четыре платформы сегодня выглядят наиболее перспективными. По всем этим направлениям к нам приходят разработчики, научные центры и компании, которые работают, по сути, с близкой технологической логикой и сталкиваются со схожими барьерами.

2. Какие наиболее перспективные платформенные технологии и продукты на их основе развиваются в России?

Если говорить о наиболее перспективных направлениях в России, я бы вновь выделила те же четыре платформы, но с разной степенью зрелости и разным потенциалом быстрого роста.

Наиболее показательный пример уже существующего регуляторного послабления — клеточные технологии. Регулятор разрешил индивидуальное применение клеточных продуктов, включая CAR-T, когда препарат изготавливается и применяется в рамках одной и той же клиники. Это решение дало очень мощный импульс развитию направления. Без него целый ряд проектов, вероятно, просто не состоялся бы: разработчики получили возможность доказать безопасность на доклиническом этапе и затем быстрее переходить к лечению пациентов без прохождения стандартного дорогостоящего клинического пути, где каждая фаза требует огромных затрат. В результате в России уже есть CD19 CAR-T, разрабатывается BCMA CAR-T, появляются CAR-T-подходы для аутоиммунных заболеваний. По этому направлению мы начали

сокращать отставание от мирового уровня.

Если аналогичная логика будет применена и к платформенным технологиям, это может дать разработчикам сопоставимый по масштабу эффект. В первую очередь такой импульс нужен направлениям мРНК и AAV, где у России уже есть и спектр заболеваний, и компетенции, и заметное число команд.

Генная терапия в более узком смысле, вероятно, пока может немного подождать: в этой области в России меньше зрелых и одновременно масштабируемых разработок, чем в мРНК и AAV. Там работает ограниченное число групп, и в ближайшей перспективе количество продуктов, которые можно было бы быстро развернуть на одной платформе, ниже.

Что касается плазмидной ДНК, это не новая технология, но в России она развита слабее, чем первые три направления. Ею занимаются давно, однако число сильных групп пока ограничено. Поэтому потенциал у нее есть, но по масштабу и скорости эффекта она пока уступает мРНК, AAV и клеточным технологиям.

Если суммировать, то наибольший практический смысл для России сегодня имеют платформенные подходы в клеточных технологиях, мРНК и AAV. Именно здесь регуляторные послабления и формализация платформенного статуса могли бы дать наиболее быстрый и ощутимый результат.

Заключение

Мы начали этот обзор с вопроса: можно ли превратить штучную разработку инновационных препаратов в конвейер? Опыт FDA PTDD и российские технологические заделы показывают, что можно — но не через копирование чужих программ, а через осознанную адаптацию платформенной логики к собственной регуляторной среде.

Назначение этого обзора — не дать окончательный ответ, а предложить рабочую рамку для дискуссии. Мы показали, что в России уже есть технологические платформы (мРНК, AAV, CAR-T, плазмидные ДНК), которые могли бы претендовать на регуляторное доверие. Мы разобрали, какие механизмы (госпитальное исключение, условная регистрация, перекрестные ссылки) уже работают как «платформенные» — пусть и без специального статуса. И мы обозначили пилотные шаги, которые позволили бы перейти от слов к делу за 1,5–2 года.

Но главный вывод, пожалуй, в другом. Платформенный подход — это не только про СМС и данные. Это про смену установки: регулятор перестает видеть в каждом новом продукте «чистый лист» и начинает доверять повторяющейся технологической основе. Этот переход требует времени, пилотов и — да — неизбежных ошибок (как в кейсе Sarepta). Без них не бывает работающих систем.

Так что воспринимайте этот обзор как первую серию. Мы планируем следить за развитием платформенного регулирования в России и мире, разбирать новые кейсы, возвращаться к российским примерам по мере их продвижения в клинику и на рынок.

Будет продолжение. До новых встреч.

СПИСОК ИСТОЧНИКОВ

- ¹ <https://www.govinfo.gov/content/pkg/COMPS-973/pdf/COMPS-973.pdf>
- ² <https://www.aabb.org/news-resources/news/article/2025/06/12/fda-grants-first-platform-technology-designation-to-sarepta-s-viral-vector>
- ³ <https://ru.investing.com/news/company-news/article-93CH-2786908>
- ⁴ https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-requests-sarepta-therapeutics-suspend-distribution-elevidys-and-places-clinical-trials-hold?_bhlid=e1767a72cb950f79cf9b92b21c3b8b37025bfd4c
- ⁵ https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-requests-sarepta-therapeutics-suspend-distribution-elevidys-and-places-clinical-trials-hold?_bhlid=e1767a72cb950f79cf9b92b21c3b8b37025bfd4c
- ⁶ <https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/tissue-tissue-products/elevidys>
- ⁷ <https://www.reuters.com/business/healthcare-pharmaceuticals/us-fda-adds-strongest-warning-sarepta-gene-therapy-after-fatal-liver-injuries-2025-11-14/>
- ⁸ <https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/vyjuvek>
- ⁹ <https://www.globenewswire.com/news-release/2025/10/14/3166102/0/en/Krystal-Biotech-Receives-FDA-Platform-Technology-Designation-for-HSV-1-Viral-Vector-Used-in-KB801-for-the-Treatment-of-Neurotrophic-Keratitis.html>
- ¹⁰ <https://app.researchpool.com/index.php/company/krys-us5011471027-krystal-biotech-inc-MN1jVe8TMn/press/krystal-biotech-inc-krys-krystal-biotech-receives-fda-platform-technology-designation-for-hsv-1-VYJL4wpun3>
- ¹¹ <https://www.fda.gov/media/168356/download>
- ¹² <https://www.globenewswire.com/news-release/2025/10/14/3166102/0/en/Krystal-Biotech-Receives-FDA-Platform-Technology-Designation-for-HSV-1-Viral-Vector-Used-in-KB801-for-the-Treatment-of-Neurotrophic-Keratitis.html>
- ¹³ <https://www.biospace.com/fda/6-biotechs-with-a-shot-at-the-fdas-platform-technology-designation>
- ¹⁴ <https://www.biospace.com/fda/6-biotechs-with-a-shot-at-the-fdas-platform-technology-designation>
- ¹⁵ <https://www.fiercebiotech.com/biotech/fda-rolls-out-platform-technology-guidance-smooth-future-regulatory-encounters>
- ¹⁶ <https://www.dlapiper.com/en/insights/publications/2024/06/fda-issues-platform-technology-designation-program-for-drug-development-draft-guidance>, <https://www.regulatoryrapporteur.org/regulatory-procedures/navigating-the-fdas-platform-technology-designation-key-insights-and-best-practices-for-drug-manufacturers/884.article>
- ¹⁷ <https://www.reuters.com/business/healthcare-pharmaceuticals/sarepta-says-it-wont-comply-with-fda-request-stop-shipping-gene-therapy-elevidys-2025-07-18/>

- ¹⁸ <https://www.investors.com/news/technology/sarepta-stock-elevidys-gene-therapy-fda-request/>
- ¹⁹ <https://www.biopharmadive.com/news/sarepta-platform-technology-designation-gene-therapy-rare-disease/749845/>
- ²⁰ <https://www.pharmexec.com/view/recapping-the-sarepta-saga-and-implications-for-industry>, <https://www.cgtlive.com/view/fda-revokes-sarepta-platform-technology-designation-muscular-dystrophy-gene-therapy-vector-following-patient-deaths>
- ²¹ <https://www.biospace.com/fda/krystal-biotechs-fda-platform-designation-pushes-limits-of-the-award>
- ²² <https://artgen.ru/development/preparaty/>
- ²³ <https://biocad.ru/science>
- ²⁴ <https://biocad.ru/news/kompaniya-biocad-podala-dokumenty-dlya-registracii-genoterapevticheskogo-preparata-protiv-gemofilii-v>
- ²⁵ <https://pcr.news/stati/pervuyu-v-rossii-litsenziyu-na-proizvodstvo-car-t-preparatov-poluchil-nmits-gematologii/>
- ²⁶ <https://new.nmicr.ru/news/vpervye-v-mire-polucheno-razreshenie-na-primenenie-personalizirovannoj-mrnk-vakciny/>

ПРИЛОЖЕНИЕ



Программа присвоения статуса платформенной технологии для разработки лекарственных препаратов Руководство для отрасли

ПРОЕКТ РУКОВОДСТВА

Настоящий документ распространяется исключительно в целях получения комментариев.

Замечания и предложения по настоящему проекту документа должны быть представлены в течение 60 дней с даты публикации в *Федеральном реестре* уведомления об опубликовании проекта руководства. Электронные комментарии направляйте по адресу <https://www.regulations.gov>. Письменные комментарии направляйте в Отдел делопроизводства (HFA-305), Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов, 5630 Фишерс Лейн, комната 1061, Роквилл, Мэриленд 20852 (5630 Fishers Lane, Rm. 1061, Rockville, MD 20852). Все комментарии должны содержать регистрационный номер досье, указанный в уведомлении о доступности, опубликованном в *Федеральном реестре*.

По вопросам, касающимся настоящего проекта документа, обращайтесь (CDER) к Мелиссе Фернесс по телефону 240-402-8912 или (CBER) к Джеймсу Майерсу по телефону 240-402-7911.

Министерство здравоохранения и социальных служб США Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов (FDA) Центр оценки и исследований лекарственных средств (CDER) Центр оценки и исследований биологических препаратов (CBER)

**Министерство здравоохранения и
социальных служб США
Управление по санитарному надзору за
качеством пищевых продуктов и
медикаментов
Центр оценки и исследований лекарственных
средств (CDER)
Центр оценки и исследований биологических
препаратов (CBER)**

Май 2024

Программа присвоения статуса платформенной технологии для разработки лекарственных препаратов Руководство для отрасли

*Дополнительные копии можно получить:
в Отделе по связям с общественностью,
Отдел информации о лекарственных препаратах,
Центр оценки и исследований лекарственных
препаратов,*

*Управление по санитарному надзору за качеством
пищевых продуктов и медикаментов
по адресу: 10001 New Hampshire Ave., Hillandale
Bldg., 4th Floor Silver Spring, MD 20993-0002
Телефон: 855-543-3784 или 301-796-3400; Факс: 301-431-6353
Электронная почта: druginfo@fda.hhs.gov*

*<https://www.fda.gov/drugs/guidance-compliance-regulatory-information/guidances-drugs>
и/или*

*Отделе по коммуникациям, взаимодействию и
развитию,
Центр оценки и исследований биологических
препаратов,*

*Управление по санитарному надзору за качеством
пищевых продуктов и медикаментов
по адресу: 10903 New Hampshire Ave., Bldg. 71,
Room 3128 Silver Spring, MD 20993-0002
Телефон: 800-835-4709 или 240-402-8010
Электронная почта: ocod@fda.hhs.gov*

<https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/guidance-compliance-regulatory-information-biologics/biologics-guidances>

**Министерство здравоохранения и
социальных служб США
Управление по санитарному надзору за
качеством пищевых продуктов и
медикаментов
Центр оценки и исследований лекарственных
препаратов (CDER)
Центр оценки и исследований биологических
препаратов (CBER)**

Май 2024

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения.

СОДЕРЖАНИЕ

I.	ВВЕДЕНИЕ	1
II.	ЗАПРОС НА ПРИСВОЕНИЕ СТАТУСА ПЛАТФОРМЕННОЙ ТЕХНОЛОГИИ	2
	A. Условия участия в программе присвоения статуса платформенной технологии	4
	B. Потенциальные преимущества присвоения статуса платформенной технологии	6
	C. Рекомендуемое содержание запроса на присвоение статуса	7
	D. Встречи для обсуждения планируемого запроса на присвоение статуса	8
	E. Подача запроса на присвоение статуса	9
	F. Сроки подачи заявителем запроса на присвоение статуса и график рассмотрения запросов Управлением по контролю за продуктами и медикаментами	10
III.	АНУЛИРОВАНИЕ СТАТУСА ПЛАТФОРМЕННОЙ ТЕХНОЛОГИИ	10
IV.	ВНЕСЕНИЕ ИЗМЕНЕНИЙ В ПЛАТФОРМЕННУЮ ТЕХНОЛОГИЮ ПОСЛЕ УТВЕРЖДЕНИЯ	10
V.	ОБЩИЕ КРИТЕРИИ ДОПУСТИМОСТИ.....	11
VI.	ГЛОССАРИЙ.....	14

1 **Руководство для отрасли: Программа присвоения** 2 **статуса платформенной технологии для разработки лекарственных** 3 **препаратов¹**

4 Настоящий проект руководства, после его окончательного утверждения, будет отражать текущую
5 позицию FDA (далее — Агентство) по данному вопросу. Он не устанавливает каких-либо прав
6 для каких-либо лиц и не является обязательным ни для FDA, ни для общественности.
7 Допускается использование иного подхода, если он соответствует требованиям применимых
8 законодательных и нормативных актов. Для обсуждения альтернативного подхода следует
9 обратиться к сотрудникам FDA, ответственным за настоящее руководство, указанным на
10 титульной странице.

11 **I. ВВЕДЕНИЕ**

12 Настоящее руководство содержит подробные разъяснения в отношении реализации программы
13 присвоения статуса платформенной технологии, учрежденной разделом 506К Федерального
14 закона о пищевых продуктах, лекарственных средствах и косметических средствах (FD&C Act)².

15 В руководстве изложены критерии допустимости для получения данного статуса, потенциальные
16 преимущества получения, порядок использования данных, полученных на основе платформенных
17 технологий, порядок обсуждения планируемого запроса о присвоении статуса в рамках этапного
18 совещания, рекомендуемое содержание запроса, а также сроки регуляторной экспертизы такого
 запроса. Программа направлена на повышение эффективности процессов разработки
 лекарственных средств, их производства и экспертизы заявок на лекарственные препараты, в
 которых используются платформенные технологии, имеющие присвоенный статус.

19 FDA признает, что термин «платформенная технология» используется как в промышленности, так
20 и

21 самим FDA для описания технологий, однако он может не соответствовать определениям
22 «платформенная технология»⁴ и «признанная платформенная технология», изложенным в
23 законодательстве и настоящем руководстве. Некоторые технологии, исторически
24 рассматриваемые

25 промышленностью и FDA как платформенные, могут не отвечать законодательному определению
26 и

¹ Настоящее руководство подготовлено Центром оценки и исследований лекарственных препаратов (CDER) и Центром оценки и исследований биологических препаратов (CBER) Управления по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов (FDA) при участии Управления комбинированных продуктов (OCP).

² Раздел 506К Федерального закона США «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах» (FD&C Act) (Кодекс США, 21 U.S.C. 356k) был дополнен Законом «О предотвращении пандемий», который был принят в рамках Закона «О консолидированных ассигнованиях» 2023 года (Закон № 117-328).

³ В целях настоящего руководства термины «лекарственное средство», «лекарственный препарат» и «продукт» относятся к лекарственному средству в соответствии с разделом 201(g)(1) ФЗ США «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах» (Кодекс США, 21 U.S.C. 321(g)(1)). Сюда входят биологические препараты в соответствии с разделом 351(i) Закона «Об общественном здравоохранении» (PHS Act) (Кодекс США, 42 U.S.C. 262(i)). Термин «лекарственное средство» также применяется к составляющим частям лекарственных средств или биологических препаратов, входящих в состав комбинированных продуктов, разрабатываемых для экспертизы в соответствии с разделом 505 Закона FD&C или разделом 351 Закона PHS.

⁴ Термины, выделенные полужирным шрифтом, определены в разделе [Глоссарий](#) настоящего руководства.

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

30 установленным критериям допустимости и, как следствие, не подпадать под действие программы
31 присвоения статуса. Невозможность получения официального статуса не лишает заявителя⁵ права
32 использовать ранее **накопленные знания** при подаче новых заявок⁶. FDA разрешает заявителям
33 использовать информацию из ранее поданных заявок при одобрении или разрешении
34 лекарственных

35 препаратов в рамках новой заявки, поданной тем же заявителем.

36 Для целей программы присвоения статуса платформенной технологии раздел 506K FD&C Act
37 устанавливает критерии, определяющие, кто имеет право подавать запросы о присвоении такого
38 статуса и кто, после присвоения статуса конкретной платформенной технологии, может
39 использовать данные по этой технологии. В настоящем руководстве описываются указанные
40 категории и приводятся рекомендации по типам платформенных технологий, которые могут
41 рассматриваться как потенциально соответствующие критериям для присвоения статуса. В
42 руководстве также даются рекомендации относительно содержания подач с запросом о
43 присвоении статуса платформенной технологии, порядка внесения изменений в платформенную
44 технологию, которой уже присвоен статус, и при необходимости — порядка отмены такого
45 статуса.

36 Как правило, руководства FDA не устанавливают юридически обязательных требований. Они
37 отражают текущую позицию по рассматриваемому вопросу и должны восприниматься
38 исключительно

38 как рекомендации, если в них не приведены конкретные нормативные или законодательные
39 предписания. Использование в руководствах формулировки «*должно*» означает предложение или
40 рекомендацию, а не обязательное требование.

41

II. ЗАПРОС НА ПРИСВОЕНИЕ СТАТУСА ПЛАТФОРМЕННОЙ ТЕХНОЛОГИИ

43

44 Если FDA утвердило Сокращенную заявку на новое лекарственное средство (ANDA), Заявку на

новое лекарственное средство (NDA) или Заявку на лицензию биологического препарата (BLA) для лекарственного средства, которое включает или использует платформенную технологию, как она определена в разделе 506K(h)(1) ФЗ США «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах», заявитель, подающий последующую Заявку на проведение клинического исследования (IND), Заявку на новое лекарственное средство (NDA) или Заявку на лицензию биологического препарата (BLA) согласно разделу 351(a), может запросить присвоение данной технологии статуса платформенной, что позволит использовать накопленные знания о технологии в новых или будущих заявках⁷. FDA рекомендует подавать запрос на присвоение статуса на стадии IND при разработке лекарственного препарата для планируемой последующей NDA или BLA согласно разделу 351(a), поскольку на данной стадии заявитель располагает достаточными знаниями, чтобы изложить для FDA,

⁵ В целях настоящего руководства, если не указано иное, термин «*заявитель*» относится к одной и той же коммерческой организации и/или заявителю на протяжении всего процесса запроса на присвоение статуса и подачи заявки.

⁶ Использование ранее полученных данных, при условии их научной обоснованности и правомерности, возможно и вне рамок программы присвоения статуса платформенной технологии. Например, заявитель уже может использовать собственные данные, представленные ранее в рамках IND, NDA или BLA. Другие заявители могут использовать определенную информацию из утвержденных NDA или BLA (например, на основании письма-разрешения от держателя заявки) или ссылаться на ранее сделанные Агентством выводы о безопасности и/или эффективности в составе заявки, поданной в соответствии с разделами 505(b)(2) или 505(j) ФЗ США «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах». См. также проект руководства для индустрии «*Бриджинг для комбинированных продуктов (лекарственный препарат – медицинское изделие) и (биологический препарат – медицинское изделие)*» (декабрь 2019 года). После окончательного утверждения это руководство будет отражать текущую позицию FDA по данному вопросу. Руководства периодически обновляются. Для получения самой последней версии посетите сайт руководств FDA <https://www.fda.gov/regulatory-information/search-fda-guidance-documents>.

⁷ См. раздел 506K(f) ФЗ США «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах». Хотя данные из сокращенной заявки на новое лекарственное средство (ANDA) или заявки на биосимиляр (BLA, подаваемой в соответствии с разделом 351(k) Закона PHS) могут использоваться в качестве части обоснования соответствия критериям для запроса на присвоение статуса платформенной технологии в соответствии с разделом 506K(b)(1) Закона FD&C, преимущества присвоения статуса, описанные в разделах 506K(d)(2), (e), (f) и (g), не распространяются на ANDA и BLA, подаваемые по разделу 351(k).

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

45 каким образом предлагаемая платформенная технология соответствует критериям участия,
46 указанным в разделе 506К(b) ФЗ США «О продуктах питания, лекарственных препаратах и
47 косметических средствах» (FD&C Act). Это способствует подготовке более полного запроса
и
48 его своевременному рассмотрению со стороны FDA.
49
50 Присвоение платформенной технологии официального статуса не предоставляет третьим сторонам
51 дополнительных прав на использование информации из утвержденной заявки на продукт,
содержащей
52 эту технологию, если они не являются ее владельцами или не имеют полных прав ссылки на нее.
53 Кроме того, обычно ожидается, что владелец BLA будет обладать знаниями и контролировать
процесс
54 производства биологического продукта, на который у него есть лицензия⁸. Любое использование
55 данных или информации в заявке, основанное на обозначении платформенной технологии, должно
56 соответствовать этому общему принципу. Любая соответствующая информация, касающаяся
57 соглашения о полных правах на упоминание, должна быть представлена вместе с
административными
58 документами, включенными в Модуль 1 электронных общих технических документов (eCTD)⁹.
59
60 FDA рассмотрит запрос на присвоение статуса, чтобы определить, соответствует ли технология
61 установленным критериям, и вынесет решение не позднее 90 дней с момента его получения¹⁰.
62 Агентство проверит, соответствует ли платформенная технология (как она определена в разделе
63 506К(h)(1)) критериям, указанным в разделе 506К(b) ФЗ США «О продуктах питания,
лекарственных
64 препаратах и косметических средствах» (FD&C Act), включая вопрос о том, способно ли
65 использование данной технологии с высокой вероятностью привести к значительному повышению
66 эффективности процесса рассмотрения заявки. Заявитель должен представить подробное
обоснование
67 по этому вопросу для рассмотрения FDA. FDA определит, соответствует ли запрос на присвоение
68 статуса платформенной технологии критериям раздела 506К(b), и направит заявителю письменное
69 объяснение принятого решения. В отношении признанных платформенных технологий FDA, при
70 наличии оснований, может принять меры по ускорению разработки и рассмотрения любой
71 последующей заявки, поданной в соответствии с разделом 505(b) ФЗ США «О продуктах питания,
72 лекарственных препаратах и косметических средствах» или разделом 351(a) Закона «Об
73 общественном здравоохранении», на лекарственный препарат, который использует или включает
74 данную технологию, в соответствии с разделом 506К(e), по мере необходимости¹¹.
75
76 После того как заявитель получил статус платформенной технологии, информация, ранее
77 представленная в обоснование такого статуса, может быть использована в последующих NDA,
BLA
78 согласно разделу 351(a) или запросах на разрешение чрезвычайного использования (EUA)¹²,
79 поданных тем же заявителем¹³. Заявители, подающие NDA, могут использовать информацию о
80 платформенной технологии из других заявок, поданных тем же

⁸ См. окончательное правило «Заявки на лицензирование биологических препаратов и мастер-файлы» (89 FR 9743, от 12 февраля 2024 года).

⁹ См. руководство для промышленности «Предоставление нормативных документов в электронном формате — отдельные заявки на регистрацию лекарственных препаратов для человека и соответствующие материалы с использованием спецификаций eCTD» (февраль 2020 года) и «Спецификация базовых файлов eCTD для Модуля 1» на сайте: <https://www.fda.gov/drugs/electronic-regulatory-submission-and-review/ectd-submission-standards-ectd-v322-and-regional-ml>.

¹⁰ См. раздел 506К(d)(1) Закона «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах» (FD&C Act).

¹¹ В контексте данного руководства термин «ускоренное рассмотрение» не означает ускоренный срок рассмотрения заявления в рамках EUA.

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

¹² См. Раздел 564 Закона «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах» для получения информации о разрешении на использование в чрезвычайных ситуациях (EUA).

¹³ Раздел 506К(f)(1) Закона «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах».

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

81 заявителем, с помощью механизма перекрестной ссылки¹⁴. Однако заявители, подающие BLA и
82 желающие использовать данные и информацию о платформенной технологии из предыдущей
заявки,
83 должны включить полную информацию в свою последующую заявку. Применимость
использования сведений о платформенной технологии в другой заявке в конечном счете будет
зависеть от конкретного запроса и того обоснования, которое представит заявитель, демонстрируя,
что такое использование позволит соответствующей заявке удовлетворить применимому
стандарту одобрения.

84 Другой заявитель также может получить возможность использовать данные платформенной
85 технологии, если он получит полное право ссылки на эти данные в рамках делового соглашения с
86 создателем платформенной технологии¹⁵.

87

А. Условия участия в программе присвоения статуса платформенной технологии

88

89 Для определения соответствия критериям присвоения статуса признанной платформенной
90 технологии

91 FDA вначале установит, квалифицируется ли данная технология как платформенная.

92 В соответствии с разделом 506K(h)(1) Закона «О продуктах питания, лекарственных препаратах и
косметических средствах», платформенная технология — это хорошо изученная и
воспроизводимая технология, которая может включать нуклеиновую последовательность,
молекулярную структуру, механизм действия, способ доставки, вектор или их комбинацию при
условии, что FDA считает такую комбинацию допустимой. При этом заявитель должен
продемонстрировать, что данная технология (1) инкорпорирована в лекарственный или
биологический препарат или используется им и является существенной для структуры или
функции такого препарата; (2) может быть адаптирована,

93 инкорпорирована или использована более чем одним лекарственным или биологическим
препаратом,

94 имеющим общие структурные элементы; и (3) облегчает производство или разработку более чем
95 одного лекарственного или биологического препарата посредством стандартизированного
процесса

96 или процессов производства.

97

98 В соответствии с разделом 506K(b) ФЗ США «О продуктах питания, лекарственных препаратах и
99 косметических средствах», платформенная технология, инкорпорированная в лекарственный или
100 биологический препарат или используемая им, может быть признана FDA в качестве указанной
101 платформенной технологии, если (1) она включена в утвержденный препарат или
102 используется им (т. е. FDA провело экспертизу и утвердило заявку на продукт, содержащий или
103 использующий данную технологию); (2) предварительные данные¹⁶ свидетельствуют о том, что
104 платформенная технология может быть включена или использована более чем одним
105 препаратом без негативного влияния на качество, производство или безопасность; и (3) данные
или

106 информация, представленные соответствующим лицом, свидетельствуют о том, что включение
или

107 использование платформенной технологии с высокой вероятностью приведет к значительному
108 повышению эффективности процессов разработки или производства лекарственного средства и
109 процесса его экспертизы.

¹⁴ См. подраздел 1.4 «Связь с другими документами» в руководстве по техническому соответствию Электронной общей технической документации (eCTD), версия 4.0, на сайте <https://www.fda.gov/media/135573/download>.

¹⁵ См. раздел 506K(f)(2) Закона «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах» (FD&C Act).

¹⁶ Предварительные данные подаются заявителем одобренного или лицензированного лекарственного средства либо заявителем, которому предоставлено право ссылки на данные, поданные в заявке на такое средство.

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

110 В целях настоящего руководства предварительные данные, упомянутые в разделе 506К(b)(2),
111 означают информацию, полученную в результате завершенных испытаний или исследований,
112 сравнивающих платформенную технологию, используемую в одобренном или лицензированном
113 лекарственном препарате (препаратах), с предлагаемым применением этой технологии в
исследуемом
114 препарате (препаратах), описанном в запросе на присвоение статуса.
115 Для обоснования присвоения статуса данная информация должна достаточно убедительно
116 продемонстрировать возможность включения или использования платформенной технологии
117 в исследуемом препарате (препаратах) без неблагоприятного воздействия на качество,
производство
118 или безопасность¹⁷. Например, если заявитель намерен использовать результаты испытаний на
119 стабильность, предварительные данные должны демонстрировать сходство молекулы и
120 производственного процесса¹⁸, чтобы такое использование данных было обоснованным. Должны
121 существовать минимальные различия между одобренным/лицензированным препаратом
122 (препаратами), использующим данную технологию, и исследуемым препаратом (препаратами) в
123 рамках заявки на проведение клинических исследований (IND), предлагающей использовать ту же
124 платформенную технологию. Такая информация может включать, например, установление
125 минимальных различий в аспектах структуры, механизма действия, биологического эффекта или
126 производственных процессов, которые могут повлиять на качество или безопасность. При
127 формировании предварительных данных также следует учитывать ту конкретную информацию,
128 использование которой предлагает заявитель. Помимо перечисленного, предварительные данные
129 могут включать, информацию:
130
131 • структурно сходные действующие вещества лекарственных средств, такие как
132 последовательности нуклеиновых кислот аналогичного размера с сопоставимой химической
133 структурой остова, модификациями субъединиц и нацеливающими фрагментами;
134
135 • минимальные различия в составе лекарственного препарата, как качественные, так и
136 количественные и/или
137
138 • практически идентичные производственные процессы для производства и очистки
139 лекарственного вещества и/или лекарственного препарата.
140
141 В рамках формирования предварительных данных заявитель должен включить в свою оценку все
свои
142 продукты, использующие или включающие платформенную технологию, независимо от их
текущего
143 статуса разработки или выхода на рынок. Запрос на присвоение статуса должен содержать сводные
144 данные, полученные в результате оценки всех таких продуктов. Заявитель должен предоставить
145 достаточное обоснование, объясняющее, почему представленные сводные данные достаточны для
146 демонстрации возможности использования определенных тестов, анализов или исследований,
147 специфичных для конкретного продукта.

¹⁷ Раздел 506К(b)(2) Закона «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах».

¹⁸ Кроме того, помимо идентичного производственного процесса — для обеспечения воспроизводимости и минимизации непреднамеренных незначительных отклонений, которые могут привести к различиям в эксплуатационных характеристиках и профиле безопасности продукта, — производство лекарственного препарата в целом также должно осуществляться на одном и том же предприятии. В случае планируемого изменения производственной площадки FDA может запросить дополнительные данные о качестве, например данные о стабильности, для подтверждения сопоставимости продукции, выпускаемой на разных площадках.

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

148 В целях программы присвоения статуса платформенной технологии **значительное повышение**
149 **эффективности** процессов разработки или производства лекарственных средств, а также процесса
их
150 экспертизы означает, что ранее проведенные испытания, исследования или производственный
151 процесс, связанные с утвержденным или лицензированным препаратом, описанным в разделе
152 506К(b)(1) Закона «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах»,
153 могут быть использованы в последующей заявке таким образом, чтобы последующая заявка,
154 включающая такую информацию, разрабатывалась и рассматривалась оптимизированным
155 способом¹⁹. Необходимо представить сводные данные завершенных исследований для
демонстрации
156 вероятности существования значительного повышения эффективности.

157

В. Потенциальные преимущества присвоения статуса платформенной технологии

159

160 Информация о признанной платформенной технологии может быть использована в последующей
161 заявке при условии предоставления достаточных предварительных данных. Такая заявка должна
162 исходить от заявителя, которому изначально был присвоен статус платформенной технологии. В
163 качестве альтернативы она может быть подана заявителем, имеющим полное право ссылаться на
164 данную информацию²⁰. Потенциальные преимущества для заявителя, получившего статус
165 платформенной технологии, при подаче последующей заявки могут, по усмотрению FDA,
включать

166 одно или несколько из следующих:

167

- 168 • Установление контакта с FDA на ранних этапах для обсуждения использования
платформенной
169 технологии, включая информацию, имеющую отношение к обеспечению в соответствующих
170 случаях безопасности, чистоты, эффективности или качества.
- 171
- 172 • Своевременное получение консультаций от FDA и дальнейшее взаимодействие с ним в ходе
173 программы разработки, например, дополнительные консультации и/или встречи по
174 использованию платформенной технологии. В зависимости от ресурсов, FDA может
отдавать
175 приоритет взаимодействиям или дополнительным обсуждениям, касающимся выбранной
176 платформенной технологии, для тех продуктов, в отношении которых определило наличие
177 наиболее значительной пользы или воздействия на общественное здравоохранение.
- 178
- 179 • Использование данных, полученных в ходе разработки предыдущего продукта с
применением
180 признанной платформенной технологии, например, использование данных о сериях и
181 стабильности аналогичного продукта в качестве накопленных знаний, которые могут
дополнить
182 исследования по разработке продукта (например, исследования стабильности в процессе
183 использования для определения условий применения и/или исследования воздействия света
для
184 разработки конструкции системы укупорки контейнера) или поддержать экстраполяцию и
185 определение срока годности для структурно схожих продуктов.
- 186
- 187 • Использование определенных доклинических данных по безопасности предыдущих
продуктов, в
188 которых применялась признанная платформенная технология, может привести к тому, что
оценка определенных конечных точек для конкретного продукта может не
требоваться.
- 189 • Учет предыдущих заключений FDA по последующим заявкам на регистрацию лекарственных
190 препаратов, в состав которых входит или в которых используется признанная технология.

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

¹⁹ Данная интерпретация определения значительного повышения эффективности не повлияет на целевую дату выполнения обязательств в рамках Пользовательского соглашения (UFA), поскольку целевые даты определяются конкретными обязательствами UFA.

²⁰ См. раздел 506K(f)(2) Закона «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах» (FD&C Act).

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

191 После присвоения технологии статуса платформенной разработка или оценка последующих заявок
на лекарственные препараты, которые используют или включают такую технологию, не получает
автоматически приоритетный порядок рассмотрения только на основании факта ее использования.
Критерии предоставления приоритетного рассмотрения устанавливаются отдельно от данной
программы.

192

193 С. Рекомендуемое содержание запроса на присвоение статуса

194

195 Запрос на присвоение FDA статуса платформенной технологии должен включать следующее:

196

197 • Описание платформенной технологии и обоснование соответствия законодательным
критериям,

198 изложенным в [разделе II.A](#) выше. В частности, в запросе должно быть разъяснено, как
технология

199 соответствует определению, данному в разделе 506K(h)(1), и критериям соответствия
согласно

200 разделу 506K(b).

201

202 • Указание на утвержденную заявку (NDA, BLA или ANDA), в которой была использована
данная

203 технология, с соответствующими перекрестными ссылками на другие заявки или
документы,

204 права на которые принадлежат заявителю или в отношении которых у него имеется
полное право

205 ссылки в рамках делового соглашения, а также корректная ссылка eCTD на необходимую
и

206 идентифицированную информацию (в рамках IND, NDA, BLA или ANDA).

207

208 • Выявление общего структурного элемента между лекарственными препаратами и
объяснение

209 того, как этот общий элемент обеспечивает возможность использования платформенной
технологии. Такое обоснование общего элемента может быть основано на логическом

210 утверждении, подкрепленном соответствующими накопленными знаниями и/или
211 экспериментальными исследованиями.

212

213 • Обоснование и научное подтверждение использования платформенной технологии в
214 нескольких

215 лекарственных препаратах, включая доказательство того, что применение технологии в
216 планируемых к разработке продуктах не повлияет на безопасность, качество или
производство.

217 Обоснование должно включать информацию, демонстрирующую, например, возможность
218 внедрения технологии в другие препараты без существенных (или с минимальными)

изменений в

219 соответствующих частях производственного процесса, в функционировании технологии, а
также в

220 ключевых аспектах профиля безопасности и качества.

221

222 • Оценка рисков для определения того, как различия между предыдущим продуктом и
223 продуктом, предлагаемым к разработке²¹, могут повлиять на использование

платформенной

224 технологии и релевантность ранее полученной информации, а следовательно, и на то,
какой объем

225 ранее полученных данных уместен для использования в поддержку продукта,

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

предлагаемого
226 к разработке.

²¹ В целях настоящего руководства под *продуктом, предлагаемым к разработке*, понимается предлагаемый лекарственный препарат, являющийся предметом заявки на регистрацию, и/или препарат-кандидат, являющийся предметом заявки на получение разрешения на проведение IND.

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

- 227 • Информация, которая обосновывает, почему использование платформенной технологии
приведет к
- 228 значительному повышению эффективности процессов разработки или производства
229 лекарственного препарата, а также процесса рассмотрения заявки (например, позволит
сократить
- 230 объем тестирования или валидации, проводимых в рамках разработки одного из
продуктов, для
- 231 других продуктов и, таким образом, повысить эффективность). Возможность сокращения
232 определенных испытаний и валидации производственных и/или аналитических методов
будет
- 233 зависеть от класса препарата. Вопрос о том, является ли сокращение объема тестирования
или
- 234 валидации значительным повышением эффективности, будет частично зависеть от
характера
- 235 испытаний или валидации.
- 236
- 237 Вышеизложенная информация должна быть описана с достаточной степенью детализации, чтобы
238 позволить провести оценку рисков, связанных с использованием информации о платформенной
239 технологии. Заявитель должен четко разъяснить, какие именно данные или информацию о признанной
240 платформенной технологии он предлагает использовать. При указании данных, исследований или иной
241 информации о признанной платформенной технологии, которая будет использоваться в продукте,
предлагаемом к разработке, заявитель должен предоставить адекватное обоснование, объясняющее,
почему
- 242 это может быть использовано, если в противном случае пришлось бы проводить специфические
испытания
- 243 для нового продукта.
- 244
- 245 Оценка рисков должна включать идентификацию видов отказа²², связанных с различиями продуктов,
246 предоставление данных о ходе разработки или ранее накопленных знаний, устраняющих
потенциальные
- 247 виды отказа, а также рассмотрение предложений по управлению остаточным риском на момент
248 первоначальной подачи заявки (например, дополнительные испытания в соответствии со
спецификацией,
- 249 контроль в процессе производства, увеличенное количество параметров контроля в процессе или более
250 узкие диапазоны для критических параметров процесса).
- 251
- 252 Никакие другие структурные элементы в новом продукте не должны препятствовать
253 возможности использования информации, полученной в ходе разработки предыдущего продукта, для
254 обоснования продукта, предлагаемого к разработке. Другими словами, заявитель должен
255 продемонстрировать, как платформенная технология может использоваться в новом
256 продукте тем же способом и с тем же эффектом, без вмешательства внешних факторов. Также не
должно
- 257 быть различий в параметрах производственного процесса, которые могли бы создать неопределенность
при
- 258 использовании производственных возможностей для нового продукта.
- 259
- 260 Хотя между продуктами могут существовать незначительные различия в конструкции, условиях
261 эксплуатации и/или контексте использования, опыт применения платформенной технологии в одном
или
- 262 нескольких других продуктах может позволить использовать подходы к установлению границ составов
263 и стабильности для охвата различий в условиях эксплуатации или контекстах. В отсутствие опыта
264 применения технологии в разных продуктах, исследования на соответствующих моделях могут быть
265 использованы для расширения диапазона условий эксплуатации или контекста, к которому может быть

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

266 применена платформенная технология. В соответствующих случаях должно быть предоставлено
сравнение

267 источников сырья для продуктов, произведенных на основе одной платформы.

268

269 **D. Встречи для обсуждения планируемого запроса на присвоение статуса**

²² См. руководство ИСН для промышленности Q9(R1) «Управление рисками качества» (май 2023 года) и проект руководства для промышленности «Учет соотношения «польза – риск» при оценке качества продукции» (май 2022 года). После утверждения руководство будет отражать текущую позицию FDA по данному вопросу.

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

270 Любые запросы на проведение встреч с FDA, включающие обсуждение планируемого запроса на
271 присвоение статуса платформенной технологии, должны подаваться в соответствии с правилами
272 представления документов в электронном виде²³ и руководством по проведению встреч в рамках
Закона
273 «О сборах с пользователей за рецептурные лекарственные препараты» (PDUFA)²⁴. Такой запрос
должен
274 быть представлен в виде поправки к IND на соответствующий лекарственный препарат. Поправка
275 должна быть четко обозначена как «**ЗАПРОС НА ВСТРЕЧУ ТИПА XX** (например, В, С и т. д.)»
и
276 «**ЗАПРОС НА ОБСУЖДЕНИЕ ПРИСВОЕНИЯ СТАТУСА ПЛАТФОРМЕННОЙ**
277 **ТЕХНОЛОГИИ**» жирным шрифтом и заглавными буквами.
278
279 На любой встрече перед подачей заявки заявители могут провести предварительное обсуждение с
280 Агентством относительно планируемого запроса на присвоение статуса платформенной
технологии. В
281 информационный пакет для подготовки к встрече заявитель должен включить краткое изложение
282 данных, подтверждающих запрос на присвоение статуса, как это описано в [разделе II.C](#) настоящего
283 руководства. На встрече заявитель и экспертный отдел FDA должны обсудить (1) данные, которые
284 будут использованы для обоснования запроса, и (2) планы дальнейшего развития и
285 коммерциализации.

Е. Подача запроса на присвоение статуса

286
287
288 Заявители могут запросить присвоение статуса платформенной технологии в любое время:
289 одновременно с подачей заявки IND или после нее. Любой запрос на присвоение статуса должен
290 подаваться в соответствии с правилами представления документов в электронном виде²⁵. Хотя
291 заявитель может запросить присвоение статуса одновременно с подачей заявки на IND, при
292 выборе
293 времени запроса следует учитывать наличие необходимого количества данных, специфичных для
конкретного
294 продукта. FDA рекомендует подавать запрос на достаточно позднем этапе цикла разработки,
чтобы
295 можно было определить пригодность технологии для присвоения статуса (например, определить,
296 обладает ли технология потенциалом для инкорпорирования или использования в более чем одном
297 препарате без неблагоприятного воздействия на качество, производство или безопасность)²⁶. В
298 административных документах, Модуль 1, заявка заявителя должна четко указывать, что это
запрос на
299 присвоение статуса платформенной технологии. Заявка также должна содержать следующую
300 информацию согласно Модулю 1:

- 301
302 • Если запрос на присвоение статуса платформенной технологии подается в качестве поправки к
IND
303 заявителя, он должен быть идентифицирован как «**ЗАПРОС НА ПРИСВОЕНИЕ СТАТУСА**
304 **ПЛАТФОРМЕННОЙ ТЕХНОЛОГИИ**», написан заглавными буквами и выделен жирным
шрифтом.
305
306 • Если запрос подается вместе с оригиналом IND, необходимо указать, что он подается как
307 «**ПЕРВОНАЧАЛЬНАЯ ЗАЯВКА НА ПРОВЕДЕНИЕ КЛИНИЧЕСКИХ**

ИССЛЕДОВАНИЙ» и «**ЗАПРОС НА ПРИСВОЕНИЕ СТАТУСА ПЛАТФОРМЕННОЙ
ТЕХНОЛОГИИ**» (жирным шрифтом и заглавными буквами).

²³ См. «Подача документов с использованием eCTD» на сайте: <https://www.fda.gov/drugs/electronic-regulatory-submission-and-review/submit-using-ectd>.

²⁴ См. проект руководства для промышленности «Официальные встречи между FDA и заявителями продуктов,

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

регулируемых PDUFA» (сентябрь 2023 года). После окончательного утверждения руководство будет отражать текущую позицию FDA по данному вопросу.

²⁵ См. «Поддача документов с использованием eCTD» на сайте: <https://www.fda.gov/drugs/electronic-regulatory-submission-and-review/submit-using-ectd>.

²⁶ В большинстве случаев это, скорее всего, произойдет после того, как для IND будет принято решение о безопасном продолжении работы.

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

308 • Имя контактного лица заявителя, а также его адрес, адрес электронной почты, номер
309 телефона и
310 номер факса.

311 • Номер заявки IND.
312

313 • Для лекарственных препаратов, подлежащих рассмотрению и
314 утверждению в соответствии с разделом 505(b) Закона «О продуктах питания,
315 лекарственных препаратах и косметических средствах», указывается фирменное
316 наименование и действующее вещество (если имеются).

317 • Для биологических препаратов указывается патентованное наименование и
318 непатентованное (если таковое имеется).
319

320 F. Сроки подачи заявителем запроса на присвоение статуса и график рассмотрения 321 запросов Управлением по контролю за продуктами и медикаментами

322 Заявитель, имеющий одобренную NDA или BLA, в которой используется платформенная
323 технология,

324 может подать запрос на присвоение статуса одновременно с подачей заявки IND или в любое
325 время

326 после этого²⁷. При выборе времени подачи запроса следует учитывать наличие достаточных
327 данных,

328 специфичных для предыдущего и последующего продуктов. Хотя заявитель может запросить
329 присвоение статуса одновременно с подачей IND, FDA рекомендует сделать это на достаточно
330 позднем этапе цикла разработки продукта, чтобы позволить определить пригодность технологии
331 для

332 присвоения статуса²⁸. Любые запросы о присвоении статуса, поданные одновременно с новой
333 заявкой IND или последующей поправкой к IND, рассматриваются отдельно от оценки
334 безопасности по новой IND или по любым последующим поправкам (например, по предлагаемому
335 новому клиническому протоколу, поправке по разделу «Химия, производство и контроль
336 качества» (СМС) либо по фармакологии/токсикологии)²⁹. FDA в течение 90 календарных дней с
337 момента получения запроса определяет, соответствует ли он критериям допустимости и будет ли
338 рассматриваемой платформенной технологии присвоен статус³⁰. FDA направит заявителю
339 письменное обоснование принятого решения³¹.

340 III. АННУЛИРОВАНИЕ СТАТУСА ПЛАТФОРМЕННОЙ ТЕХНОЛОГИИ

341 После присвоения статуса платформенной технологии FDA может аннулировать данный статус,
342 если

343 установит, что признанная технология заявителя больше не соответствует критериям
344 допустимости для программы. FDA уведомит об этом в письменной форме с указанием причин³².

345 IV. ВНЕСЕНИЕ ИЗМЕНЕНИЙ В ПЛАТФОРМЕННУЮ ТЕХНОЛОГИЮ ПОСЛЕ 346 УТВЕРЖДЕНИЯ

²⁷ Это может быть осуществлено в соответствии либо с разделом 505(i) Закона «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах», либо с разделом 351(a)(3) Закона PHS — для последующего лекарственного препарата.

²⁸ В большинстве случаев это, вероятно, произойдет после того, как по IND будет принято решение о безопасности для продолжения исследований.

²⁹ Если в отношении заявки IND введено полное приостановление клинических исследований, одновременно поданный запрос на присвоение статуса будет считаться непригодным для рассмотрения.

³⁰ См. раздел 506K(d)(1) Закона «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах».

³¹ См. раздел 506K(d)(3) Закона «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах».

³² См. раздел 506K(d)(4) Закона «О продуктах питания, лекарственных препаратах и косметических средствах».

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

379 Заявитель может внести изменения в утвержденную заявку, которая содержит признанную
380 платформенную технологию, путем подачи пострегистрационной поправки к заявке. Такая
381 поправка должна быть подана в соответствии с положениями 21 CFR 314.70 или 601.12, а также в
382 соответствии с руководствами по внесению изменений после утверждения³³, которые
383 описывают категории отчетности для изменений в утвержденных NDA и BLA соответственно.
384 Заявитель, имеющий несколько утвержденных заявок, использующих обозначенную
385 платформенную технологию, может подать одну групповую поправку для пострегистрационных изменений в
386 области химического, производственного и контрольного качества (CMC)³⁴, а также одну поправку на
387 каждое предлагаемое изменение, не связанное с качеством, для данной платформенной технологии³⁵.
388 Поправки должны включать обоснование вывода о том, что обновленная технология
389 продолжает соответствовать критериям программы присвоения статуса, и в соответствующих
390 случаях надлежащие перекрестные ссылки на данные и информацию, представленные в других
391 заявках. Перед планируемым изменением обозначенной платформенной технологии первоначальная
392 заявка или дополнение к заявке на предыдущее одобрение могут включать один или несколько
393 протоколов сопоставимости для обеспечения возможности внесения будущих изменений в
394 платформенную технологию. Такие протоколы должны включать оценку рисков, связанных с тем,
395 как будут вноситься изменения в платформенную технологию для каждого соответствующего
396 лекарственного препарата³⁶. Новая поправка должна быть подана при необходимости для каждой
397 затронутой заявки.

398

V. ОБЩИЕ КРИТЕРИИ ДОПУСТИМОСТИ

400

401 Платформенные технологии, которые могут быть признаны соответствующими программе
402 присвоения статуса, — это технологии, отвечающие как определению платформенной технологии,
403 так и критериям допустимости для присвоения статуса, изложенным в [разделе II.A](#) настоящего
404 руководства. Ниже приводятся примеры потенциальных платформенных технологий с указанием
405 ключевых элементов каждой такой технологии.

402 • Липидно-наночастичные (LNP) платформы для препаратов в форме мРНК-вакцин или 403 генетически-терапевтических лекарственных средств:³⁸

404 – Состав, включая тип, количество и способ получения (производства) липидов.

– Операции технологического процесса (например, транскрипция РНК, синтез липидных
фрагментов и формирование липидных наночастиц), не чувствительные к варьированию
входных параметров (например, матричных последовательностей) и обеспечивающие
воспроизводимые характеристики продукта для нескольких лекарственных препаратов, при
этом различия последовательности мРНК не влияют на качество продукта.

404

– Параметры технологического процесса, внутриоперационный контроль и оборудование,
имеющие критическое значение для производства мРНК-вакцины на основе LNP или генной
терапии.

– Удаление примесей, связанных с технологическим процессом, по всей траектории заданной
нисходящей стадии очистки.

405

• **Платформенные технологии на основе моноклональных антител:**

406

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

– Подходы к инженерии клеточного субстрата и конструированию экспрессионных конструкций, которые могут использоваться для нескольких продуктов с единым восходящим производственным процессом, разработанным для соответствующего клеточного субстрата и базовой экспрессионной конструкции.

– Удаление примесей, связанных с технологическим процессом, оцененное по всей траектории заданной нисходящей стадии очистки, которая может применяться к нескольким продуктам с минимальной модификацией.

· Платформы, использующие химически определенный таргетирующий фрагмент в комбинации с хорошо охарактеризованной синтетической siRNA:

– Идентификация таргетирующего фрагмента, включая его синтез, введение в конечное действующее вещество и проведение контроля качества.

– Изменение последовательности синтетической siRNA не должно оказывать биологического влияния на качество или безопасность продукта, возникающего вследствие этих различий, в такой степени, чтобы определенные данные по фармакологии/токсикологии и СМС могли быть использованы.

– Безопасность таргетирующего фрагмента не изменяется при его использовании с несколькими различными siRNA-фрагментами, в связи с чем отдельные данные по фармакологии/токсикологии потенциально могут быть использованы.

– Применение уникального метода производства, подхода к очистке или стратегий очистки, которые упрощают последующую оценку характеристик лекарственного препарата и могут использоваться для нескольких продуктов с минимальной модификацией.

· Липидно-наночастичные платформы, инкапсулирующие различные короткие одноцепочечные или двуцепочечные олигонуклеотиды:

– Состав, включая тип и количество липидов.

³³ См. руководство для промышленности Changes to an Approved NDA or ANDA (апрель 2004 года) и руководство для промышленности Chemistry, Manufacturing, and Controls Changes to an Approved Application: Certain Biological Products (июнь 2021 года).

³⁴ См., например, MAPP 5015.6 Rev. 1, Review of Grouped Product Quality Supplements (декабрь 2022 года).

³⁵ Раздел 506K(g) FD&C Act.

³⁶ См. руководство FDA для промышленности Comparability Protocols for Postapproval Changes to the Chemistry, Manufacturing, and Controls Information in an NDA, ANDA, or BLA (октябрь 2022 года).

³⁷ Присвоение статуса платформенной технологии — это отдельная процедура, не связанная с запросом о классификации (в качестве лекарственного препарата, медицинского изделия, биологического препарата или комбинированного продукта; а также распределение в тот или иной центр для проведения экспертизы и регулирования), который подается в Управление комбинированных продуктов. См. 21 CFR 3.7.

³⁸ Хотя данный пример включает мРНК-вакцины или продукты генной терапии, это не означает, что другие продукты клеточной или генной терапии не подходят для участия в программе присвоения статуса.

³⁹ Данный подход может распространяться и на другие классы терапевтических белков, допускающих применение платформенных решений, включая (но не ограничиваясь) мультиспецифические антитела и Fc-слитые белки.

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

- Демонстрация того, что в пределах узкого диапазона длины двуцепочечных или одноцепочечных олигонуклеотидов различия в их последовательности не оказывают влияния на качество продукта⁴⁰.
- Параметры технологического процесса, внутриоперационный контроль и оборудование, имеющие критическое значение для формирования липидных наночастиц.

Чтобы технология могла получить статус в рамках данной программы, она должна не только соответствовать определению платформенной технологии, закрепленному в законе, но и удовлетворять критериям допустимости для присвоения статуса, предусмотренным разделом 506K(b). Таким образом, возможно, что технология формально отвечает определению платформенной технологии по разделу 506K(h), но при этом не будет признана FDA «признанной платформенной технологией». Например, технология, удовлетворяющая определению платформенной, может считаться не подходящей для программы присвоения статуса в случаях, когда действующие процедуры регуляторной экспертизы уже предусматривают использование этой хорошо изученной технологии либо когда для нее существует общепринятый публичный стандарт. В таких случаях FDA не будет рассматривать подобные технологии как отвечающие критерию существенного повышения эффективности процессов разработки, производства и регуляторной экспертизы лекарственных средств для целей программы присвоения статуса платформенной технологии.

Примеры технологий, которые могут считаться неподходящими для программы присвоения статуса ввиду несоответствия определению, критериям или обоим указанным элементам:

- подходы к вирусной очистке для отдельных стадий технологического процесса;
- технологические операции, чувствительные к изменению входных параметров (например, применение в общем виде вальцовочного гранулирования, результаты которого могут зависеть от свойств исходного материала);
- технологии, основанные на уже устоявшихся производственных операциях (например, смешивание, прессование или нанесение пленочного покрытия);⁴¹
- устоявшиеся технологии разработки лекарственных форм, традиционно применяемые для твердых пероральных дозированных форм немедленного и пролонгированного высвобождения (например, матричные системы, осмотические насосы), устоявшиеся технологии разработки лекарственных форм для перорального и парентерального применения и другие устоявшиеся системы доставки лекарственных средств;
- технологии, использующие ближнюю инфракрасную спектроскопию для мониторинга характеристик материала в ходе технологического процесса;
- аналитические методы, использующие ранее накопленные знания, как это описано в проекте руководства ICH Q14 по разработке аналитических процедур (Analytical Procedure Development, август 2022 года)⁴²;
- устройства доставки лекарственного препарата (например, шприц, автоинжектор)⁴³.

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

⁴⁰ Для подтверждения того, что изменения последовательности, модификации сахарного остова, включение фосфоротиоатных групп или модификации азотистых оснований в одноцепочечных или двуцепочечных олигонуклеотидах не будут оказывать влияния на качество продукта, должны быть представлены продукт-специфичные данные по стабильности.

⁴¹ Такие ранее накопленные знания уже могут использоваться при разработке состава лекарственной формы и технологического процесса производства. Демонстрация наличия этих знаний также может использоваться в заявочных материалах для подтверждения надежности (робастности) отдельных технологических операций.

VI. ГЛОССАРИЙ

Признанная платформенная технология: в соответствии с разделами 506К(b), 506К(d) и определением «признанная платформенная технология (designated platform technology)», приведенным в разделе 506К(h)(2), это платформенная технология, которая отвечает следующим критериям допустимости для присвоения статуса:

(1) она включена в лекарственное средство, одобренное в соответствии с разделом 505 FD&C Act, либо используется им или включена в биологический продукт, имеющий лицензию по разделу 351 Закона о здравоохранении (PHS Act); (2) предварительные данные подтверждают, что данная платформенная технология потенциально может быть включена более чем в одно лекарственное средство либо использоваться им без неблагоприятного влияния на качество, производство или безопасность; (3) имеющиеся данные или информация свидетельствуют о том, что включение или использование платформенной технологии с разумной степенью вероятности приведет к существенному повышению эффективности процессов разработки или производства лекарственных средств, а также процесса регуляторной экспертизы.

Платформенная технология: в соответствии с определением, приведенным в разделе 506К(h)(1) FD&C Act, это хорошо изученная и воспроизводимая технология, которая может включать последовательность нуклеиновой кислоты, молекулярную структуру, механизм действия, способ доставки, вектор или комбинацию любых таких технологий, которые Министр здравоохранения и социальных служб сочтет приемлемыми, и в отношении нее заявитель демонстрирует: она (1) включена в лекарственный препарат или используется им и является существенной для структуры или функции такого лекарственного препарата; (2) может быть адаптирована для, включена в или использована более чем одним лекарственным препаратом, имеющим общие структурные элементы; (3) способствует производству или разработке более чем одного лекарственного препарата посредством стандартизированного процесса (процессов) производства или изготовления.

Предварительные данные: в том смысле, в каком данный термин употребляется в разделе 506К(b)(1) FD&C Act, предварительные данные означают информацию, полученную в ходе завершающих тестов или исследований, в которых сравнивается платформенная технология, уже применявшаяся в одобренном или лицензированном препарате, с предполагаемым использованием того же препарата в последующей заявке IND. Предварительные данные включают данные и выводы тестов или исследований, в которых оценивается предполагаемое использование платформенной технологии в уже одобренном препарате, оценивается предполагаемое использование той же платформенной технологии в новом препарате либо проводится сравнение применения платформенной технологии в различных сценариях.

Ранее накопленные знания: в настоящем руководстве под ранее накопленными знаниями понимается экспертиза и понимание, которые производитель сформировал с течением времени, включая знания, полученные при разработке и производстве аналогичных соединений, продуктов и процессов; сюда также относятся знания об устоявшихся и общепризнанных научных принципах.

⁴² После завершения работы над документом настоящее руководство будет отражать актуальную позицию FDA по данному вопросу.

⁴³ Для целей настоящего руководства подобные устройства доставки, как правило, не являются существенными для структуры (например, химической или молекулярной формулы) или функции (например, молекулярного механизма действия, характеристик лекарственного или биологического

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

препарата, его химического или биологического взаимодействия с организмом) лекарственного или биологического препарата. Кроме того, такие устройства доставки, как правило, не способствуют производству или разработке лекарственного средства, поскольку производство препарата обычно завершается до его контакта с устройством доставки. Также данные устройства, как ожидается, не принесут значительного повышения эффективности процесса экспертизы, учитывая уже существующие механизмы использования информации об устройствах доставки, встроенные в процесс экспертизы (см. сноску 6).

Содержит не имеющие обязательной юридической силы рекомендации

Проект руководства. Не предназначено для практического применения

501

502 **Значительное повышение эффективности:** в контексте программы присвоения статуса платформенной технологии «значительное повышение эффективности» в том смысле, в каком данный термин употребляется в разделе 506K(b)(3) FD&C Act, означает использование предыдущего теста, исследования или производственного процесса, относящихся к уже одобренному или лицензированному препарату, в последующей заявке таким образом, чтобы способствовать оптимизации разработки, производства или экспертизы лекарственного средства.



ISBN 978-5-6056181-3-3



9 785605 618133 >