

# Комитеты ЕМА: Комитет по передовой терапии (КПТ)

## Введение

Комитет по передовой терапии (КПТ) Европейского агентства по лекарственным средствам (ЕМА) оценивает качество, безопасность и эффективность лекарственных препаратов для передовой терапии (ЛППТ). ЛППТ – это лекарственные препараты для применения у человека, которые включают гены, клетки или ткани. К ним относятся лекарственные препараты генной терапии, лекарственные препараты для терапии соматическими клетками, препараты тканевой инженерии и комбинированная терапия. В изложенной ниже статье содержится дополнительная информация о ЛППТ и обсуждаются нормативные подходы и законодательство, регулирующее деятельность КПТ.

## Комитет по передовой терапии (КПТ) ЕМА

ЛППТ, возможно, открывают новые возможности для лечения многих заболеваний, таких как болезнь Альцгеймера, злокачественные новообразования, генетические болезни, например мышечная дистрофия, или ожоговая травма кожи.

Существует четыре основные группы ЛППТ:

- **Лекарственные препараты генной терапии (ЛПГТ).**

ЛПГТ содержат гены, которые вызывают терапевтический эффект. С помощью ЛПГТ в клетки вводятся «рекомбинантные» гены, что часто предусматривает использование вируса в качестве вектора (средство для передачи генетического материала в целевую клетку) для перемещения гена. Рекомбинантный ген – это фрагмент

созданной в лаборатории ДНК, который соединяет ДНК из разных источников. Когда ген проникает в клетки пациента, они либо вырабатывают, либо прекращают вырабатывать белок, который может замедлить или излечить различные заболевания, в том числе генетические болезни, злокачественные новообразования или заболевания с длительным течением.

- **Лекарственные препараты для терапии соматическими клетками**

Лекарственные препараты для терапии соматическими клетками содержат клетки (неполовые клетки) или ткани с измененными биологическими характеристиками. Они могут использоваться для лечения, диагностики или профилактики заболеваний. Примером применения терапии соматическими клетками может быть использование измененных злокачественных клеток пациента для борьбы с оставшимися в организме злокачественными клетками.

- **Лекарственные препараты тканевой инженерии**

Лекарственные препараты тканевой инженерии содержат клетки или ткани, которые подверглись инженерии (т.е. их существенно изменили) так, что они могут использоваться для восстановления, регенерации или замещения ткани. Примером препарата тканевой инженерии может быть искусственная кожа, которая используется для лечения ожогов.

- **Комбинированные ЛППТ**

Комбинированные ЛППТ содержат один или более медицинских устройств в качестве составляющей части лекарственного препарата.

Эти терапевтические средства обеспечивают огромные возможности для пациентов, поскольку технологии, которые стоят за передовой терапией, могут иметь долгосрочные положительные эффекты. Они могут обеспечить эффективное лечение пациентов с

последующем снижением долгосрочных расходов на медицинскую помощь.

Несмотря на большие ожидания, передовая терапия также связана с:

- **Новыми существенными рисками**, такими как
  - риск вирусной инфекции в случае реактивации вирусного вектора,
  - риск возникновения злокачественного новообразования,
  - риск случайного воздействия лечения на квалифицированных медицинских работников и лиц, осуществляющих уход.
- **Этическими проблемами**, например
  - неуважение к правам живых доноров из-за недостатка информации,
  - введение неодобренного/небезопасного препарата (стволовых) клеток пациентам.

Передовая терапия часто разрабатывается небольшими компаниями или научно-исследовательскими группами в больницах. В законодательстве ЕС предусмотрены поощрительные меры для содействия в изучении и разработке передовой терапии за счет снижения платы за научное консультирование в ЕМА. Для тех, кто разрабатывает ЛППТ, доступны новые нормативные процедуры (классификация ЛППТ и сертификация ЛППТ).

## **Нормативные подходы и применимое законодательство**

С 2008 г. для всех ЛППТ необходимо применять централизованную процедуру (ЦП). За счет этого они получают преимущество вследствие однократной оценки и процедуры регистрации в ЕС. Такой подход облегчает выход компании на рынок со своими препаратами и позволяет пациентам из разных стран-участниц получить доступ к таким препаратам.

ЛППТ – это комплексные лекарственные препараты, оценка которых требует использования критериев, которые не ограничиваются критериями традиционной фармацевтической сферы. Например, для препаратов, содержащих или состоящих из генетически модифицированных организмов (ГМО), необходимо оценивать риск для окружающей среды с целью анализа рисков для здоровья человека и окружающей среды.

Согласно законодательству требуется, чтобы во время экспертизы в КПТ рассматривались все области, важные для передовой терапии, в том числе:

- медицинские устройства;
- инженерия тканей;
- генная терапия;
- клеточная терапия;
- биотехнологии;
- оперативные вмешательства;
- фармакологический надзор;
- управления рисками и
- этические аспекты.

КПТ готовит предварительное заключение по каждому препарату. Эта заключение направляется в КОЛП. На основании заключения КПТ КОЛП дает рекомендацию относительно предоставления/отказа, изменения, приостановления действия или аннулирования регистрационного свидетельства. Затем рекомендации отправляют в Европейскую комиссию для принятия решения по регистрационному свидетельству.

После регистрации и выхода препарата на рынок ЕМА проводит дополнительную оценку их безопасности и эффективности. Кроме того, ЕМА проводит научные консультации для компаний, чтобы помочь им разработать системы для наблюдения за безопасностью этих лекарственных препаратов.

Компании, которые производят ЛППТ, должны иметь возможность отслеживать свои препараты с момента их производства до

больниц или учреждений, где они отпускаются пациентам. Больницы также должны иметь возможность отслеживать всех пациентов, которые получают такие препараты. Необходимо, чтобы системы на местах могли полностью выполнять отслеживание с помощью анонимных систем кодировки в случае наличия внешних доноров:

- В банке тканей: связь между донором и переданным материалом.
- В месте производства: связь между переданным материалом и препаратом.
- В больнице или кабинете врача: связь между препаратом и пациентом.

## Дополнительные источники

- Европейское агентство по лекарственным средствам (2015). *Комитет по передовой терапии (КПТ)*. Источник по состоянию на 3 сентября 2015 г.: г.:[http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/about\\_us/general/general\\_content\\_000266.jsp](http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/about_us/general/general_content_000266.jsp)
- Bhalerao, N., Bhol, R., Paranjpe, G., Jadhav, S., & Bodkhe, P. (2012) *Tissue engineering*. Источник по состоянию на 4 сентября 2015 г.: <http://fr.slideshare.net/BhaleraoSudhir/tissue-engineering-12323232>
- Всемирная организация здравоохранения (2015). *Политика в здравоохранении и этические, правовые и социальные вопросы (ЭПСВ) в геномике*. Источник по состоянию на 4 сентября 2015 г.: <http://www.who.int/genomics/policy/ELSI/en/>

## Приложения

- Информационный бюллетень: Краткий обзор

## нормативных подходов и законодательства и роль ассоциаций пациентов

Size: 100,130 bytes, Format: .docx

В данном информационном бюллетене содержится обзор разных нормативных подходов и законодательства, связанного с особыми группами лекарственных препаратов, и информация о роли ассоциаций пациентов в таких правовых процессах.

A2-5.08.3-v1.1