

**Генотерапевтические препараты:
Номенклатура (препараты для генной
терапии, препараты для клеточной
терапии, препараты для генной терапии
на основе клеток и препараты для терапии
на основе вирусов).**

Генотерапевтические ЛП - ЛП, фармацевтическая субстанция которых является рекомбинантной нуклеиновой кислотой или включает в себя рекомбинантную нуклеиновую кислоту, позволяющую осуществлять регулирование, репарацию, замену, добавление или удаление генетической последовательности

ФЗ от 12.04.2010 № 61-ФЗ "Об обращении лекарственных средств"

Генотерапевтический ЛП - это биологический ЛП: содержащий активное вещество, содержащее рекомбинантную нуклеиновую кислоту или состоящее из нее, используемую или вводимую человеку с целью регулирования, восстановления, замены, добавления или удаления генетической последовательности; терапевтический, профилактический или диагностический эффекты которого напрямую обусловлены последовательностью рекомбинантной нуклеиновой кислоты, которую он содержит, или с продуктом генетической экспрессии этой последовательности.

Генотерапевтические ЛП не включают в себя вакцины против инфекционных заболеваний

Решение Совета ЕЭК от 03.11.2016 № 78
"О Правилах регистрации и экспертизы лекарственных средств для медицинского применения"

ЛП на основе соматических клеток - это биологический ЛП: содержащий или состоящий из клеток или тканей, которые подвергались существенным манипуляциям т.о., что их биологические характеристики, физиологические функции или структурные свойства, значимые для клинического использования, были изменены; или состоящий из клеток или тканей, которые не предназначены для применения с целью осуществления одних и тех же основных функций у реципиента и донора.

Не рассматриваются в качестве существенных манипуляций: разрезание, измельчение, придание формы, центрифугирование, обработка растворами антибиотиков или антисептиков, стерилизация, облучение, разделение клеток, их концентрирование или очистка, фильтрование, лиофилизация, замораживание, криоконсервация, витрификация, в частности, не рассматриваются как существенные манипуляции; применяемый у человека с целью лечения, профилактики или диагностики заболевания посредством фармакологического, иммунологического или метаболического действия входящих в его состав клеток или тканей

Решение Совета ЕЭК от 03.11.2016 № 78

"О Правилах регистрации и экспертизы лекарственных средств для медицинского применения"

БМКП (биомедицинский клеточный продукт)

- комплекс, состоящий из клеточной линии (клеточных линий) и вспомогательных веществ, либо из клеточной линии (клеточных линий) и вспомогательных веществ в сочетании с прошедшими гос. регистрацию ЛП и (или) фарм. субстанциями

Аутологичный БМКП - БМКП, содержащий в своем составе клеточную линию (клеточные линии), полученную из био. материала определенного человека, и предназначенный для применения этому же человеку

Аллогенный БМКП - БМКП, содержащий в своем составе клеточную линию (клеточные линии), полученную из биологического материала определенного человека, и предназначенный для применения другим людям

Комбинированный БМКП - БМКП, содержащий в своем составе клеточные линии, полученные из биологического материала нескольких людей, и предназначенный для применения одному из них

ФЗ от 23.06.2016 № 180-ФЗ "О

биомедицинских клеточных продуктах

Одним из элементов системы разработки, государственной регистрации, производства, продвижения и медицинского применения генотерапевтических лекарственных препаратов является формирование национальной **номенклатуры** и ее гармонизация с международными требованиями.

Генотерапевтические
препараты

```
graph LR; A[Генотерапевтические препараты] --> B[Генный компонент]; A --> C[Вектор]; C --> D[Вирусные]; C --> E[Бактериальные]; C --> F[Липосомные];
```

Генный компонент

Вектор

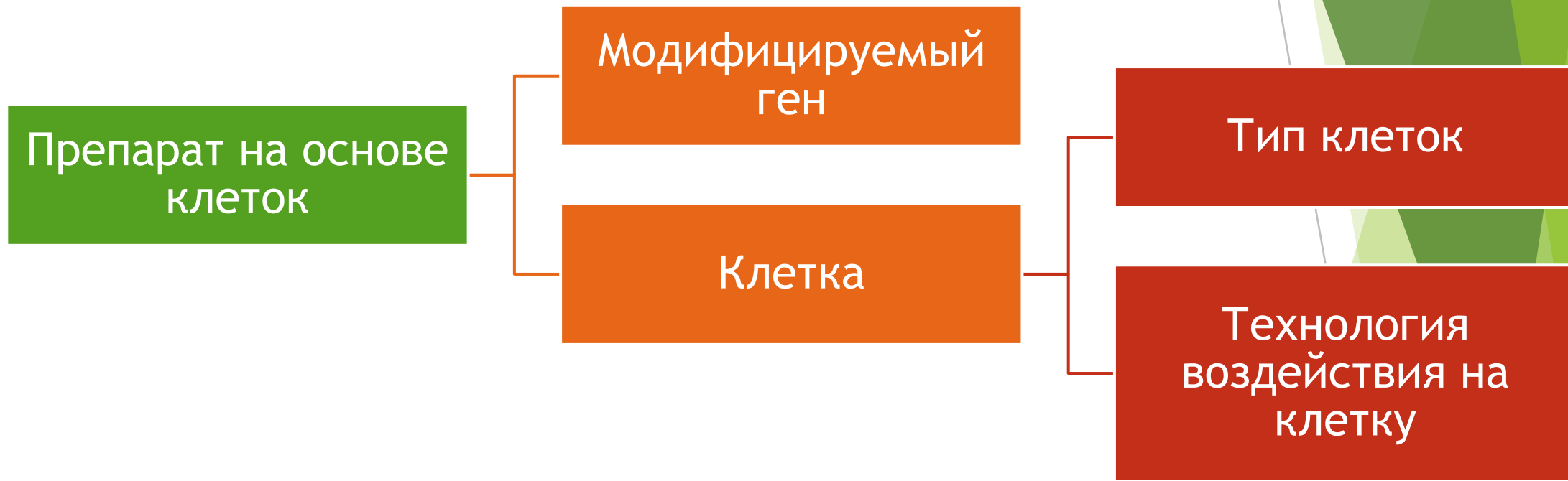
Вирусные

Бактериальные

Липосомные

Схема наименования веществ для генной терапии на основе плазмид, вирусных векторов и бактерий с использованием двух слов

	Префикс	Инфикс	Суффикс
СЛОВО 1 (генный компонент)	Произвольный для получения благозвучного и отличительного наименования	Для обозначения используемого гена при наличии используются существующие инфиксы для биологических препаратов или аналогичные инфиксы как для белка, который кодируется геном, например:	-(гласная буква) ген/ (г.б.)gene например, -(o)ген/-(o)gene
		-цима-/ -cima- цитозин-дезаминаза	
		-ермин-/ -ermin- фактор роста	
		-кин-/ -kin- интерлейкин	
		-лим-/ -lim- иммуномодулятор	
		-лип-/ -lip- липаза липопротеина человека	
		-мул-/ -mul- множественный ген	
		-стим-/ -stim- колониестимулирующий фактор	
		-тима-/ -tima- тимидинкиназа	
		-тису-/ -tisu- подавление опухоли	
СЛОВО 2 (клеточный компонент)	Произвольный для получения благозвучного и отличительного наименования	Для обозначения типа вирусного вектора, например:	-век/-vec (нереплицирующийся вирусный вектор) -репвек/-repvec (реплицирующийся вирусный вектор)
		-адено-/ -adeno- аденовирус	
		-кана-/ -cana- вирус оспы канареек	
		-фоли-/ -foli- вирус оспы кур	
		-ерпа-/ -erpa- вирус герпеса	
		-ленти-/ -lenti- лентивирус	
		-морбилли-/ -morbilli- парамиксовирус кори	
		-парво-/ -parvo- аденоассоциированный вирус	
		-ретро-/ -retro- другой ретровирус	
		-вакци-/ -vaci- вирус вакцины	-бак/-bac (бактериальный вектор) -плазмид/ -plasmid (плазмидный вектор)
		Для обозначения типа бактериального вектора, например: -лис-/ -lis- Listeriamonocytogenes	



Примеры номенклатурных названий лекарственных препаратов для генной терапии

Торговое наименование	МНН	Разработчик
IMLYGIC	Talimogenelaherparepvec	Талимоген лахерпарепвек — это генетически модифицированный вирус герпеса (вирус онколитического герпеса). Были удалены два гена — один, который отключает защиту отдельной клетки, и другой, который помогает вирусу избегать иммунной системы, — и добавлен ген человеческого GM-CSF. Препарат действует, размножаясь в раковых клетках и вызывая их гибель; он также был разработан для стимуляции иммунного ответа на рак у пациента, что было продемонстрировано многочисленными данными, в том числе регрессией опухолей, в которые не вводили талимоген лахерпарепвек.

Схема наименования генетически модифицированных препаратов для генной терапии на основе клеток

	Префикс	Инфикс		Суффикс
СЛОВО 1 (генный компонент)	Произвольный для получения благозвучного и отличительного наименования	Для обозначения используемого гена при наличии используются существующие инфиксы для биологических препаратов, например:		-(гласная буква) ген/ -(г.б.)gene например, -(o)ген/ -(o)gene
		-цима-/ -cima- цитозин-дезаминаза		
		-ермин-/ -ermin- фактор роста		
		-кин-/ -kin- интерлейкин		
		-лим-/ -lim- иммуномодулятор		
		-лип-/ -lip- липаза липопротеина человека		
		-мул-/ -mul- множественный ген		
		-стим-/ -stim- колониестимулирующий фактор		
		-тима-/ -tima- тимидинкиназа		
		-тису-/ -tisu- подавление опухоли		
СЛОВО 2 (векторный компонент)	Произвольный для получения благозвучного и отличительного наименования	Инфикс 1: Обработка	Инфикс 2: Тип клеток	-цел/-cel (клетка)
		Для обозначения, если применимо, вида обработки, которой подвергнуты клетки, с использованием, где это возможно, существующих инфиксов для обработки, например: -фус-/ -fus-слияние клеток	Для обозначения основного типа клеток с использованием, где это возможно, существующих инфиксов для типов клеток	

Инфиксы, отражающие тип/источник клеток:

хондроциты:	-хо(н)-/-со(н)-
клетки первичного канатика:	-кор-/-cor
дифференцированные стволовые клетки (не входящие в какую- нибудь другую категорию):	-дефитем-/-defitem
дендритные клетки:	-ден-/-den
эндотелиальные клетки:	-энд(о)-/-end(o)-
гепатоциты:	-еп(а)-/-ep(a)-

фибробласты:	-фи(б)-/-fi(b)-
инсулоциты:	-исле-/-isle
кератиноциты:	-кер(а)-/-ker(a)-
лимфоциты/моноциты/антиген представляющие клетки (лейкоциты):	-лей-/-leu
мезенхимные стромальные клетки:	-местро-/-mestro
миобласты:	-мио(б)-/-mio(b)-
клетки яичника:	-ова-/-ova
клетки плаценты:	-пла(ц)-/-pla(c)-
почечные тубулярные клетки:	-рен-/-ren
ретинальные эпителиальные клетки:	-рет-/-ret
стволовые клетки:	-тем-/-tem
клетки яичка:	-теси-/-tesi
опухолевые клетки:	-ту-/-tu
уротелиальные клетки:	-ур-/-ur

Примеры номенклатурных названий лекарственных препаратов для генной терапии

Торговое наименование	МНН	Разработчик
KYMRIDH	Tisagenlecleucel	Тизагенлеклейцел представляет собой CAR-T-клеточный препарат для лечения В-клеточного острого лимфобластного лейкоза, который использует собственные Т-клетки организма для борьбы с раком (адоптивный перенос клеток)