



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

На площадке Всероссийского конгресса пациентов 27 ноября 2020 года состоялся круглый стол «Перспективы применения клеточной терапии в клинической практике» с участием органов исполнительной власти, юристов, представителей медицинского и пациентского сообществ.

За последние несколько лет был достигнут беспрецедентный прогресс в области разработки новых методов лечения жизнеугрожающих заболеваний, основанный на синергии свойств клеточной, иммунной и генной терапии. Ярким примером стала регистрация технологий CAR-T, представляющих персональную иммуноклеточную терапию для лечения злокачественных онкогематологических заболеваний.

Система регулирования обращения подобных технологий в Российской Федерации динамически развивается. Вместе с тем на сегодняшний день присутствует ряд барьеров, препятствующих обеспечению устойчивого доступа пациентов к подобным технологиям.

Основными темами круглого стола были:

1. Клинические аспекты применения клеточных технологий в здравоохранении РФ.
2. Перспективы гармонизации законодательства РФ и нормативно-правового регулирования единого фармацевтического рынка стран ЕАЭС в отношении регулирования обращения клеточных технологий.
3. Процедура закупки CAR-T препаратов в рамках законодательства о контрактной системе.
4. Опыт стран ЕС в обеспечении доступа к CAR-T препаратам.
5. Возможности финансирования для обеспечения доступа к клеточным технологиям в рамках программы государственных гарантий бесплатного оказания медицинской помощи.
6. Перспективы внедрения инновационных моделей лекарственного обеспечения для расширения доступа к клеточным технологиям в рамках государственной системы здравоохранения.

В круглом столе приняли участие:

Бочаров Александр Александрович – заместитель Председателя Правления Межрегиональной общественной организации «Содействие больным саркомой»;

Моисеев Иван Сергеевич – заместитель директора по научной работе НИИ детской онкологии, гематологии и трансплантологии им. Р.М. Горбачевой, профессор, доцент кафедры гематологии, трансфузиологии и трансплантологии ФПО ПСПбГМУ имени акад. И.П. Павлова, д.м.н.;

Ниязов Равиль Рашидович – эксперт по разработке и регистрации лекарственных препаратов «Центра научного консультирования», к.м.н.;

Перов Константин Алексеевич – главный консультант Института конкурсных технологий, к.э.н.;

Томас Д. Сзуч (Thomas D. Szuch) – председатель Европейского центра фармацевтики Базельского университета (Швейцария), Руководитель отделения геномной медицины,

группа частных клиник Hirslanden (Швейцария), Председатель Совета директоров группы компании Helsana (Швейцария), профессор, д.м.н.;

Федяева Влада Константиновна – заместитель начальника отдела методологии разработки и экспертной оценки клинических рекомендаций ФГБУ «ЦЭКМП» Минздрава России;

Федоров Алексей Александрович – эксперт Всероссийского союза пациентов, эксперт Межфракционной рабочей группы Государственной Думы ФС РФ по совершенствованию законодательства в сфере лекарственного обеспечения граждан и обращения лекарственных средств.

Участники круглого стола отметили:

В зарубежных системах здравоохранения данная группа технологий получила определение «advanced therapy» и обращается по правилам, аналогичным лекарственным средствам. На сегодняшний день CAR-T применяется более чем в 19 странах мира. 140 медицинских центров сертифицированы для применения технологии. Развитие разработки и производства клеточных технологий определено одним из приоритетов отечественной науки Постановлением Правительства РФ от 22.04.2019 N 479 (ред. от 17.10.2019) «Об утверждении Федеральной научно-технической программы развития генетических технологий на 2019 - 2027 годы».

На пространстве РФ Федеральным законом от 23.06.2016 №180-ФЗ «О биомедицинских клеточных продуктах» (далее – ФЗ №180) технологии, основанные на применении иммуноклеточных механизмов (например, CAR-T) и аналогичные технологии относятся к Биомедицинским клеточным продуктам (далее – БМКП), что определяет иной порядок обращения и вводит определенные ограничения в отношении обеспечения своевременного доступа на рынок. Однако, согласно Решению Совета Евразийской экономической комиссии от 03.11.2016 № 78 «О правилах регистрации и экспертизы лекарственных средств для медицинского применения», (далее - Решение №78) иммуноклеточная терапия и генная терапия относятся к высокотехнологическим лекарственным препаратам. Подобный подход позволяет обеспечить гармонизацию регулирования данной группы технологий не только в рамках стран-участниц ЕАЭС, а также с ведущими регуляторными системами мира. Различия в регулировании данной группы технологии в законодательстве РФ и ЕАЭС порождает правовую коллизию, которая до настоящего времени не была разрешена органами власти.

С одной стороны, являясь лекарственным препаратом (согласно Правилам ЕАЭС) клеточная терапия должна обращаться в соответствии с нормами Федерального закона «Об обращении лекарственных средств», с другой стороны, в силу специального национального законодательства – в соответствии с нормами Федерального закона «О биомедицинских клеточных продуктах». Отнесение в национальном законодательстве клеточных препаратов к лекарственным препаратам позволит использовать уже имеющуюся регуляторную базу как в сфере регистрации и обращения лекарственных средств, так и в сфере охраны здоровья граждан, с установлением отдельных особенностей регулирования, обусловленных спецификой продукции.

Вместе с тем, даже при отнесении клеточных технологий к лекарственным препаратам, отдельные особенности обращения клеточной продукции требуют внесения изменения в законодательные акты РФ, что нашло отражение в рамках Дорожной карты, разработанной по итогам Форума пациент-ориентированных инноваций Всероссийского союза пациентов.

В зарубежной регуляторной системе регистрация клеточных технологий проводится по ускоренной процедуре, что открывает своевременный доступ пациентов к жизненноспасающей технологии. Подобные механизмы регистрации не предусмотрены законодательством ЕАЭС, что безусловно отодвигает сроки внедрения подобных технологий в систему здравоохранения. Кроме того, возможность включения

незарегистрированных, но высокоэффективных технологий не предусмотрена требованиями к формированию клинических рекомендаций.

Отдельные барьеры наблюдаются при обсуждении вопроса контроля качества клеточных технологий. В соответствии с действующими Правилами ввода лекарственных препаратов в гражданский оборот на территории РФ, утвержденными Постановлением Правительства №1510 от 26 ноября 2019 года, компания-импортер обязана предоставлять для первых трех серий или партий лекарственного препарата, впервые ввозимого в Российскую Федерацию, - протокол испытаний, проводимых аккредитованными в соответствии с законодательством Российской Федерации об аккредитации в национальной системе аккредитации федеральными государственными бюджетными учреждениями, подведомственными Министерству здравоохранения Российской Федерации или Федеральной службе по надзору в сфере здравоохранения. Данная норма является барьером для доступа CAR-T терапии ввиду аутологичности препаратов, производимых под каждого конкретного пациента. CAR-T препарат производится из клеток крови самого пациента и не подразумевает серийное производство. Препарат имеет очень ограниченный объем и его тестирование стандартным способом технически невозможно.

Не менее важным представляется вопрос определения источника финансирования закупки клеточных технологий ввиду их высокой стоимости. Сложность организации оказания медицинской помощи с применением генно-клеточных технологий, а также существенная стоимость ведения или законченного случая лечения одного пациента обосновывают целесообразность включения данного вида медицинской помощи в перечень ВМП в виде отдельной подгруппы. Финансовое обеспечение доступа к генно-клеточным технологиям в рамках программы ВМП обеспечит должный уровень контроля за соответствием учреждений, оказывающих соответствующую медицинскую помощь, необходимым требованиям, а также позволит планировать необходимые объемы оказываемой медицинской помощи и перераспределять их.

Таким образом, принимая во внимание ограничения в отношении обеспечения своевременного доступа к клеточной терапии в системе здравоохранения Российской Федерации, по итогам круглого стола участниками предлагается:

Федеральному собранию Российской Федерации, Правительству Российской Федерации, Министерству здравоохранения Российской Федерации:

1. Сформировать рабочую группу на площадке Федерального собрания Российской Федерации с целью последовательной адаптации регуляторной среды к обеспечению обращения клеточных технологий в системе здравоохранения Российской Федерации.
2. С целью гармонизации регулирования обращения клеточных технологий на пространстве ЕАЭС дополнить статью 4 Федерального закона «Об обращении лекарственных средств» понятием «лекарственный препарат на основе соматических клеток» с учетом определения, содержащегося в п. 17.2.2 Правил регистрации и экспертизы лекарственных средств для медицинского применения (далее – Правила). Также привести в соответствие определение «генотерапевтические лекарственные средства» с определением, содержащимся в 17.2.1. Правил, дополнить классификацией генотерапевтических препаратов в соответствии с п. 17.3.2.1.2. Правил (генотерапевтические лекарственные препараты, содержащие генетически модифицированные клетки).
3. Дополнить Правила и Федеральный закон «Об обращении лекарственных средств» нормой, предусматривающей, что препарат, который одновременно подпадает под определение лекарственного препарата на основе соматических клеток и генотерапевтического лекарственного препарата должен рассматриваться в качестве генотерапевтического препарата (аналогичный

подход применяется в регламенте 1394/2007 Европейского парламента и совета от 13.11.2007).

4. Дополнить Федеральный закон «Об обращении лекарственных средств» отдельным разделом, устанавливающим особенности производства и обращения клеточных препаратов, в том числе, в части регламентации порядка получения донорского материала, производства клеточных препаратов, специального порядка маркировки, выпуска в гражданский оборот, экспертизы, транспортировки и хранения, мониторинга эффективности и безопасности.
5. Внести изменения в Федеральный закон «Об обращении лекарственных средств» и в постановление Правительства РФ от 26.11.2019 № 1510 «О порядке ввода в гражданский оборот лекарственных препаратов для медицинского применения», в связи с ограниченным объемом и невозможностью отбора образца для тестирования в силу специфики препаратов для индивидуального применения (например, клеточных препаратов, производимых из клеток самого пациента), предусмотреть особые процедуры оценки качества, например документарные проверки, контроль условий транспортировки или другие виды подтверждения соответствия без проведения физической экспертизы образцов, приемлемые с учетом специфика препаратов.

Министерству здравоохранения Российской Федерации:

1. Дополнить Правила регистрации и экспертизы лекарственных средств для медицинского применения, утвержденные Решением Совета ЕЭК от 03.11.2016 № 78, особенностями регистрации лекарственных препаратов, имеющих подтвержденную уполномоченным органом референтного государства повышенную значимость для системы здравоохранения референтного государства, в том числе в связи с инновационностью лекарственного препарата, и предназначенных для лечения, профилактики или диагностики тяжелых хронических прогрессирующих или угрожающих жизни заболеваний, лечения ранее неизлечимых заболеваний или состояний. Особенности регистрации лекарственных препаратов, имеющих повышенную значимость, должны включать рассмотрение документов в приоритетном порядке сокращение сроков регистрации и экспертизы лекарственного препарата и сокращения объема данных регистрационного досье, в том числе, путем установления пострегистрационных мер (регистрации на условиях), предусмотренных разделом VII Правил.
2. Внести изменения в Порядок формирования перечня ВМП, предусмотренный приказом Министерства здравоохранения Российской Федерации от 1 августа 2017 г. № 484н «Об утверждении порядка формирования перечня видов высокотехнологичной медицинской помощи», дополнив:
 - 2.1. Требованиями к включаемым в предложение клиническим и экономическим аспектам метода лечения, включая оценку влияние метода на бюджет в целом (в том числе, с учетом последующих необходимых расходов за счет иных источников финансирования);
 - 2.2. Порядком экспертизы клинических и экономических аспектов метода лечения уполномоченным(и) экспертным(и) учреждением(ями);
 - 2.3. Требованиями к оценке методологического качества клинико-экономических исследований методов лечения по формированию перечня видов ВМП, возложив данную задачу на «Центр экспертизы и контроля качества медицинской помощи» Минздрава России и разработать прозрачные критерии оценки предложения и принятия решения по формированию перечня видов ВМП.

3. Внести изменения в порядок организации работы межведомственного совета по формированию перечней и видов ВМП с целью повышения прозрачности обсуждений и критериев принятия решения по рассмотрению предложений, в том числе обеспечить трансляцию заседаний межведомственного совета на официальном сайте Министерства здравоохранения Российской Федерации в информационно-телекоммуникационной сети Интернет.
4. Включить в межведомственный совет с правом совещательного голоса представителей общественных объединений, осуществляющих деятельность в сфере защиты прав граждан в здравоохранении.
5. В целях обеспечения доступности жизненно необходимой терапии с использованием незарегистрированных лекарственных препаратов, доведения до врачебного сообщества сведений об имеющихся возможностях лечения заболеваний (состояний), требующих применения таких препаратов, создания условий для правильного расчета тарифа на лечение (при отсутствии альтернативной терапии), абзац четвертый пункта 4 требований к структуре клинических рекомендаций, составу и научной обоснованности, включаемой в клинические рекомендации информации (приложение № 3 к приказу Минздрава России от 28.02.2019 № 103н) после слов «имеющие государственную регистрацию» дополнить словами «В случае отсутствия для отдельных форм заболевания, состояний или групп пациентов возможностей терапии с использованием зарегистрированных лекарственных препаратов клинические рекомендации могут содержать сведения о применяемых незарегистрированных лекарственных препаратах (с отметкой об отсутствии регистрации)».
6. Внести изменения в типовой контракт на закупку лекарственных средств с целью учета особенностей производства и поставки клеточных продуктов в рамках реализации процедуры государственной закупки медицинской организацией, в том числе:
 - 6.1. Предусмотреть порядок (правила) забора биологического материала и требования к нему;
 - 6.2. Выделить отдельные этапы поставки: 1) срок на согласование производства и поставки; 2) срок забора и предоставления биологического материала; 3) срок вывоза биологического материала на производство; 4) срок производства; 5) срок ввоза и поставки ЛП заказчику;
 - 6.3. Включить возможность расторжения контракта по обстоятельствам непреодолимой силы в случае поставки генотерапевтического препарата, не соответствующего требованиям нормативной документации.
7. Исключить клеточные препараты из-под действия требований маркировки лекарственных препаратов средствами идентификации, указанными в части 4 статьи 67 ФЗ-61 «Об обращении лекарственных средств», ввиду особенностей производства, транспортировки, а также персонализированного характера терапии.