

УДК 615.012.6:615.37:602.6

<https://doi.org/10.30895/2221-996X-2026-26-3-247-261>

Обзор | Review



Критерии применения платформенного подхода для мРНК-вакцин и генотерапевтических лекарственных препаратов в регуляторной практике

Н.С. Покровский^{1,✉} , Е.В. Мельникова¹ , В.А. Меркулов^{1,2}

¹ Федеральное государственное бюджетное учреждение «Научный центр экспертизы средств медицинского применения» Министерства здравоохранения Российской Федерации, Петровский б-р, д. 8, стр. 2, Москва, 127051, Российская Федерация

² Федеральное государственное автономное образовательное учреждение высшего образования «Первый Московский государственный медицинский университет имени И.М. Сеченова» (Сеченовский Университет) Министерства здравоохранения Российской Федерации, Трубецкая ул., д. 8, стр. 2, Москва, 119991, Российская Федерация

✉ Покровский Никита Станиславович; pokrovskyns@expmed.ru

РЕЗЮМЕ

ВВЕДЕНИЕ. Платформенный подход, предполагающий использование неизменного производственного процесса и унифицированных методик контроля качества, признан ведущими регуляторными органами, включая Управление по контролю качества продуктов питания и лекарственных средств (FDA) и Европейское агентство по лекарственным средствам (EMA), эффективным инструментом ускорения вывода на рынок инновационных препаратов – мРНК-вакцин и генотерапевтических лекарственных препаратов (ГТЛП). Для Российской Федерации и стран Евразийского экономического союза (ЕАЭС) актуально внедрение данной концепции, что позволит ускорить фармацевтическую разработку, оптимизировать контроль качества и валидацию процессов производства, а также экспертную оценку при регистрации таких препаратов.

ЦЕЛЬ. Проанализировать международные регуляторные подходы к применению платформенных технологий в производстве и контроле качества мРНК-вакцин и ГТЛП на основе вирусных векторов и систем редактирования генома для обоснования их внедрения в национальное законодательство и нормативную документацию Российской Федерации и ЕАЭС.

ОБСУЖДЕНИЕ. Проанализированы публикации (2015–2025 гг.) в PubMed, Google Scholar, eLIBRARY.RU и материалы регуляторных органов (FDA, EMA, Всемирная организация здравоохранения (ВОЗ), Международный совет по гармонизации технических требований к лекарственным средствам для медицинского применения (ICH), Агентство по регулированию лекарственных средств и изделий медицинского назначения Великобритании, Агентство по фармацевтическим препаратам и медицинским изделиям Японии (PMDA)), посвященные применению платформенных технологий в производстве и контроле качества лекарственных препаратов. Установлено отсутствие в нормативной документации Российской Федерации и ЕАЭС критериев применения платформенного подхода для мРНК-вакцин и ГТЛП, что затрудняет ускоренное внедрение в клиническую практику инновационных персонализированных препаратов. Показано, что международные регуляторные подходы (FDA, EMA, PMDA) позволяют ускорить разработку и валидацию процесса производства, а также сократить объем доклинических и клинических исследований за счет повторного использования данных о ранее произведенных и одобренных препаратах (данные о процессе производства, профиле безопасности для мРНК-вакцин и ГТЛП). Основными нерешенными вопросами остаются объем подтверждающих данных и необходимость наличия первого одобренного продукта для присвоения статуса

платформенной технологии. Обоснована необходимость разработки унифицированных нормативных требований к релевантному опыту и валидации процессов, позволяющих реализовать преимущества платформенного подхода при сохранении высокого уровня безопасности и эффективности лекарственных препаратов в рамках экспертных процедур.

ЗАКЛЮЧЕНИЕ. Платформенный подход, основанный на неизменном производственном процессе и унифицированных методиках контроля качества, позволяет ускорить фармацевтическую разработку, сократить объем доклинических и клинических исследований и оптимизировать экспертную оценку мРНК-вакцин и ГТЛП. Для внедрения данного подхода в Российской Федерации и ЕАЭС необходимо предусмотреть в нормативной документации возможность использования стандартизированных модулей в рамках единой технологической платформы, что ускорит разработку и вывод на рынок ГТЛП и персонализированных продуктов, а также повысит их экономическую доступность.

Ключевые слова: платформенные технологии; мРНК-вакцины; генотерапевтические препараты; липидные наночастицы; вирусные векторы; контроль качества; регистрация лекарственных средств

Для цитирования: Покровский Н.С., Мельникова Е.В., Меркулов В.А. Критерии применения платформенного подхода для мРНК-вакцин и генотерапевтических лекарственных препаратов в регуляторной практике. *БИОпрепараты. Профилактика, диагностика, лечение*. 2026;26(3):247–261. <https://doi.org/10.30895/2221-996X-2026-26-3-247-261>

Финансирование. Работа выполнена в рамках государственного задания ФГБУ «НЦЭСМП» Минздрава России № 056-00061-26-00 на проведение прикладных научных исследований (номер государственного учета НИР 124022200093-9).

Потенциальный конфликт интересов. Е.В. Мельникова является членом редакционной коллегии журнала «БИОпрепараты. Профилактика, диагностика, лечение» с 2025 г. В.А. Меркулов — главный редактор журнала «БИОпрепараты. Профилактика, диагностика, лечение» с 2021 г. Остальные авторы заявляют об отсутствии конфликта интересов.

Criteria for the application of the platform approach for mRNA vaccines and gene therapy products in regulatory practice

Nikita S. Pokrovsky¹, Ekaterina V. Melnikova¹, Vadim A. Merkulov^{1,2}

¹ Scientific Centre for Expert Evaluation of Medicinal Products, 8/2 Petrovsky Blvd., Moscow 127051, Russian Federation

² I.M. Sechenov First Moscow State Medical University (Sechenov University), 8/2 Trubetskaya St., Moscow 119991, Russian Federation

✉ Nikita S. Pokrovsky; pokrovskyns@expmed.ru

ABSTRACT

INTRODUCTION. The platform approach, which involves the use of an unchanged manufacturing process and standardized quality control methods, is recognized by leading regulatory authorities, such as the Food and Drug Administration (FDA) and the European Medicines Agency (EMA), as an effective tool for accelerating market entry of innovative products, namely mRNA vaccines and gene therapy products. In this context, the implementation of this concept is relevant for the Russian Federation and the countries of the Eurasian Economic Union (EAEU), as it would accelerate pharmaceutical development, optimize quality control and process validation, and improve regulatory review during the registration of such products.

AIM. This study aimed to analyze international regulatory approaches to the application of platform technologies in the manufacturing and quality control of mRNA vaccines and gene therapy products based on viral vectors and genome editing systems, in order to provide a rationale for their implementation in the national legislation and regulatory documentation of the Russian Federation and the EAEU.

DISCUSSION. An analysis of publications from 2015 to 2025 in the PubMed, Google Scholar, and eLIBRARY.ru databases, as well as official documents from regulatory authorities,

including the FDA, the EMA, the World Health Organization (WHO), the International Council for Harmonisation of Technical Requirements for Pharmaceuticals for Human Use (ICH), the Medicines and Healthcare products Regulatory Agency, and the Pharmaceuticals and Medical Devices Agency (PMDA), addressing the application of platform technologies in the manufacturing and quality control of medicinal products, was performed. It was found that the regulatory documentation of the Russian Federation and the EAEU lacks criteria for applying the platform approach to mRNA vaccines and gene therapy products, which hinders the accelerated introduction of innovative personalized medicinal products into clinical practice. International regulatory approaches (FDA, EMA, PMDA) were shown to accelerate development and process validation, and reduce the scope of preclinical studies and clinical trials through the reuse of data on previously manufactured and approved products (including data on the manufacturing process and safety profiles for mRNA vaccines and gene therapy products). The main unresolved issues remain the amount of supporting data and the need for a first approved product before platform technology status can be granted. The need to develop unified regulatory requirements for relevant experience and process validation was substantiated, which would allow the benefits of the platform approach to be realized while maintaining a high level of safety and efficacy of medicinal products during regulatory review.

CONCLUSIONS. The platform approach, based on an unchanged manufacturing process and standardized quality control methods, can accelerate pharmaceutical development, reduce the extent of preclinical studies and clinical trials, and optimize the regulatory review of mRNA vaccines and gene therapy products. To implement this approach in the Russian Federation and the EAEU, it is necessary to incorporate provisions into the regulatory documentation allowing the use of standardized modules within a single technological platform, which would accelerate the development and market launch of gene therapy products and personalized products, and increase their affordability.

Keywords: platform technologies; mRNA vaccines; gene therapy products; lipid nanoparticles; viral vectors; quality control; medicinal product registration

For citation: Pokrovsky N.S., Melnikova E.V., Merkulov V.A. Criteria for the application of the platform approach for mRNA vaccines and gene therapy products in regulatory practice. *Biological Products. Prevention, Diagnosis, Treatment*. 2026;26(3):247–261. <https://doi.org/10.30895/2221-996X-2026-26-3-247-261>

Funding. This study was conducted at the Scientific Centre for Expert Evaluation of Medicinal Products as part of State Assignment No. 056-00061-26-00 for applied scientific research (R&D state registration No. 124022200093-9).

Disclosure. E.V. Melnikova has been a member of the Editorial Board of *Biological Products. Prevention, Diagnosis, Treatment* since 2025. V.A. Merkulov has been the Editor-in-Chief of *Biological Products. Prevention, Diagnosis, Treatment* since 2021. The remaining author declares no conflicts of interest.

ВВЕДЕНИЕ

В современной фармацевтической отрасли платформенный подход, основанный на унифицированных производственных процессах и методиках контроля качества лекарственных препаратов (ЛП), рассматривается как инструмент сокращения сроков разработки инновационных препаратов, повышения их доступности и снижения регуляторной нагрузки. Платформенные технологии (ПТ) определяются как технологии, применимые для производства и контроля качества нескольких ЛП с использованием унифицированных методик, что потенциально может повысить эффективность разработки, производства и экспертной оценки при регистрации ЛП [1].

Ведущие регуляторные органы — Управление по контролю за качеством продуктов пита-

ния и лекарственных средств (Food and Drug Administration, FDA) и Европейское агентство по лекарственным средствам (European Medicines Agency, EMA), а также Всемирная организация здравоохранения (ВОЗ), Международный совет по гармонизации технических требований к лекарственным средствам для медицинского применения (International Council for harmonization of technical requirements for pharmaceuticals for human use, ICH), Альянс по регенеративной медицине (Alliance for regenerative medicine, ARM) — относят к перспективным направлениям внедрение ПТ в производство моноклональных антител, мРНК-вакцин, включая терапевтические на основе липидных наночастиц (ЛНЧ), генотерапевтических лекарственных препаратов (ГТЛП) на основе вирусных векторов и систем редактирования генома, *ex vivo* ГТЛП, а также

синтетических олигонуклеотидов, инкапсулированных в ЛНЧ¹ [2].

Внедрение ПТ предполагает использование знаний и методов, полученных при разработке предыдущих продуктов, для создания новых ЛП, например, при масштабировании производства, валидации процессов и методик контроля качества, исследовании стабильности. Такой подход особенно актуален для персонализированных ГТЛП при наличии неудовлетворенной медицинской потребности², быстропрогрессирующих и/или приводящих к летальному исходу заболеваний (генетические нарушения, злокачественные новообразования), а также для оперативного реагирования на новые патогены, что подтверждено опытом пандемии COVID-19 [3–8].

В настоящее время изменения в нормативных правовых актах относительно внедрения ПТ обсуждаются международными организациями (ВОЗ, ICH, ARM) и регуляторными органами — FDA, EMA и Агентством по фармацевтическим препаратам и медицинским изделиям Японии (Pharmaceuticals and Medical Devices Agency, PMDA)³ [3]. EMA и FDA рассматривают изменения в нормативных документах, касающихся аспектов: разработки, экспертизы и регистрации ЛП,

произведенных с помощью ПТ; введения особого статуса ПТ (FDA); возможности регистрации ЛП с постоянным и переменным компонентами (EMA); использования данных по первому одобренному ЛП для сокращения объема информации по последующим препаратам при экспертизе (PMDA). К ограничениям относятся неясный объем подтверждающих данных, необходимость первого одобренного продукта и отсутствие унификации требований для разных типов препаратов (мРНК-вакцин, ГТЛП).

Согласно Указу Президента Российской Федерации платформы нового поколения для биотехнологических, высокотехнологичных и радиофармацевтических ЛП имеют высокую приоритетность и относятся к критическим технологиям⁴. Однако в нормативной документации Российской Федерации и ЕАЭС отсутствуют критерии применения ПТ для мРНК-вакцин и ГТЛП (включая персонализированные)⁵, что затрудняет их ускоренную регистрацию и клиническое внедрение, особенно при необходимости быстрой адаптации существующей технологии. Для практической реализации такого подхода необходимы регуляторные решения по нормативному закреплению возможности применения ПТ.

¹ Unlocking the potential of building blocks to expedite cell and gene therapy development: Takeaways from a scientific exchange between FDA, industry, and independent experts. ARM. 2024.

Committee for Advanced Therapies workshop on gene editing. Leveraging data via platform principles in gene editing. EMA. 2025.

Committee for Advanced Therapies workshop on gene editing. Modular platform for in vivo LNP formulated prime editors targeting rare genetic diseases of the liver. EMA. 2025.

Recommendations with regard to future Advanced Therapy Medicinal Products (ATMPs) related guidelines. ICH. 2025.

Platform technology designation program for drug development. FDA. 2024.

mRNA Technology Transfer Programme moves to the next phase of its development. WHO. 2023.

² Под «неудовлетворенными медицинскими потребностями» в данном случае понимается состояние, для которого в Евразийском экономическом союзе нет одобренного уполномоченными органами разрешенного и признанного эффективно метода диагностики, профилактики или лечения. Решение Совета ЕЭК от 03.11.2016 № 78 «О Правилах регистрации и экспертизы лекарственных средств для медицинского применения».

³ Evaluation of the quality, safety and efficacy of messenger RNA vaccines for the prevention of infectious diseases: regulatory considerations. WHO. 2021.

Recommendations with regard to future ATMP related guidelines. ICH. 2025.

Proposal for a directive of the European Parliament and of the Council on the Union code relating to medicinal products for human use, and repealing Directive 2001/83/EC and Directive 2009/35/EC. European Commission. 2023.

Platform technology designation program for drug development. FDA. 2024.

Unlocking the potential of building blocks to expedite cell and gene therapy development: Takeaways from a scientific exchange between FDA, industry, and independent experts. ARM. 2024.

Human medicines modular manufacture and point of care regulations 2025. MHRA. 2025.

⁴ Указ Президента Российской Федерации от 18.06.2024 № 529 «Об утверждении приоритетных направлений научно-технологического развития и перечня важнейших наукоемких технологий».

⁵ Решение Совета ЕЭК от 03.11.2016 № 89 «Об утверждении Правил проведения исследований биологических лекарственных средств Евразийского экономического союза».

Решение Совета ЕЭК от 03.11.2016 № 77 «Об утверждении Правил надлежащей производственной практики Евразийского экономического союза».

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

Постановление Правительства Российской Федерации от 28.03.2024 № 384 «Об утверждении Правил обращения биомедицинских клеточных продуктов, предназначенных для исполнения индивидуального медицинского назначения...».

Постановление Правительства Российской Федерации от 28.03.2024 № 385 «Об утверждении Правил предоставления, подтверждения и отмены разрешения на производство и применение биомедицинских клеточных продуктов, предназначенных для исполнения индивидуального медицинского назначения».

Постановление Правительства Российской Федерации от 24.02.2025 № 213 «О биотехнологических лекарственных препаратах, предназначенных для применения в соответствии с индивидуальным медицинским назначением...».

Актуальной проблемой остается нормативное регулирование использования ПТ на всех этапах разработки, производства, контроля качества и регуляторного рассмотрения инновационных ЛП для ускорения их доступности пациентам, особенно при неудовлетворенной медицинской потребности. Ключевым элементом предлагаемой концепции является адаптация нормативно-правовых актов на национальном и наднациональном (ЕАЭС) уровнях с конкретизацией требований к компонентам ЛП (постоянным и переменным), технологии производства и механизмам экспертной оценки данных ЛП, разработанных с использованием ПТ.

Новизна работы заключается в разработке системного подхода к регулированию ПТ для мРНК-вакцин и ГТЛП, впервые предлагаемого для российской и евразийской регуляторной практики.

Цель работы — проанализировать международные регуляторные подходы к применению платформенных технологий в производстве и контроле качества мРНК-вакцин и ГТЛП на основе вирусных векторов и систем редактирования генома для обоснования их внедрения в национальное законодательство и нормативную документацию Российской Федерации и ЕАЭС.

Поиск информации проводился в базах данных PubMed, Google Scholar, eLIBRARY.RU, а также на официальных сайтах регуляторных органов (FDA, EMA, PMDA, MHRA) и международных организаций (WHO, ICH, ARM) за период 2015–2025 гг. Ключевые слова для проведения поиска: «платформенная технология», «платформенный подход», «мРНК-вакцина», «контроль качества», «нормативная документация», «platform technology», «platform approaches», «mRNA vaccines», «gene therapy», «quality control».

ОСНОВНАЯ ЧАСТЬ

Международные подходы к внедрению платформенных технологий

Рекомендации ВОЗ

Эксперты Комитета ВОЗ по биологической стандартизации рассматривают производство

профилактических мРНК-вакцин как наиболее перспективное направление применения ПТ. Для ПТ производства мРНК-вакцин против инфекционных заболеваний определены следующие аспекты: неизменность технологического процесса (допускается оптимизация для каждой кандидатной вакцины), методик контроля качества (за исключением идентичности, активности и стабильности), критериев приемлемости, а также элементов, обуславливающих иммунный ответ; при этом производство должно соответствовать требованиям GMP. Помимо данных о производстве, контроле качества, валидации методик контроля качества, стабильности, допускается использование ранее полученных доклинических и клинических данных по безопасным и переносимым дозам для начала клинических исследований новой вакцины-кандидата⁶.

Подходы ICH

В Руководстве ICH Q11 (2012 г.) указана возможность использования ПТ при разработке и производстве ЛП, а также применения концепции проектного пространства (Design space)⁷. В руководствах ICH предусмотрены платформенные аналитические методики и подходы к их валидации, а также экстраполяция ранее полученных знаний для оценки элиминации вирусов при разработке аналогичных продуктов на основе хорошо охарактеризованных процессов, в том числе для генетически модифицированных вирусных векторов⁸. Для гармонизации подходов к разработке и производству препаратов генной и клеточной терапии ПТ будут рассмотрены в новом приложении к ICH Q11⁹.

Пересмотр регуляторных норм ЕМА

ЕМА в настоящее время пересматривает регулирование ЛП с целью создания гибкой нормативной базы для поддержки инноваций. Подготовлен проект Директивы¹⁰, который заменит основные действующие

⁶ Evaluation of the quality, safety and efficacy of messenger RNA vaccines for the prevention of infectious diseases: regulatory considerations. WHO. 2021.

⁷ ICH Guideline Q11 on development and manufacture of drug substances (chemical entities and biotechnological/biological entities) (EMA/CHMP/ICH/425213/2011). EMA. 2012.

⁸ ICH Q2 (R2) Guideline on validation of analytical procedures (EMA/CHMP/ICH/82072/2006). EMA. 2024.

ICH Q14 Guideline on analytical procedure development (EMA/CHMP/ICH/195040/2022). EMA. 2024.

ICH Q5A (R2) Guideline on viral safety evaluation of biotechnology products derived from cell lines of human or animal origin (EMA/CHMP/ICH/804363/2022). EMA. 2024.

⁹ Recommendations with regard to future ATMP related guidelines. ICH. 2025.

¹⁰ Proposal for a Directive of the European Parliament and of the Council on the Union code relating to medicinal products for human use, and repealing Directive 2001/83/EC and Directive 2009/35/EC. European Commission. 2023.

акты¹¹, регламентирующие получение разрешения на продажу ЛП (marketing authorization). Проект направлен на устранение пробелов с учетом научно-технических достижений и развития персонализированной медицины (малосерийные препараты, изготовление ЛП непосредственно «у постели пациента», персонализированные ЛП без промышленного производства). Проект Директивы предусматривает в исключительных случаях возможность получения разрешения на препарат, состоящий из постоянного и переменного компонентов, при этом переменный компонент определяется генетическим тестированием пациента или особенностями возбудителя инфекционного заболевания и обеспечивает активность против разных штаммов либо адаптируется к характеристикам конкретного пациента или группы пациентов. Вводится понятие мастер-файла ПТ и сертификата основного мастер-файла; требования к содержанию и формату заявки будут определены позднее.

Законодательные решения FDA

В 2023 г. FDA был разработан проект Руководства по присвоению статуса ПТ (platform technology designation)¹², ориентированного преимущественно на препараты генной и клеточной терапии редких генетических заболеваний (в малых группах пациентов или в единичных случаях). Присвоение статуса позволяет разработчику повторно использовать отдельные элементы технологии ранее одобренного продукта для ускорения разработки других продуктов (рис. 1).

Оценка возможности применения ПТ основывается на структурном сходстве лекарственных средств / активных веществ (последовательности нуклеиновых кислот сопоставимого размера и структуры), минимальных качественных и количественных различиях в составе ЛП, а также практически идентичных процессах производства и очистки (рис. 2).

Одним из недостатков проекта Руководства является требование о наличии уже одобренного продукта для получения статуса ПТ, тогда как многие разработчики препаратов генной и клеточной терапии представляют собой

небольшие компании или исследовательские организации, часто осуществляющие децентрализованное производство инновационных препаратов, не требующих регистрации, и у которых может не быть зарегистрированных препаратов. Для таких разработчиков важно понимать, как применять принципы ПТ на начальном этапе программы, чтобы упростить присвоение статуса ПТ после одобрения первых продуктов¹³. Другим недостатком является неопределенность в отношении учета релевантного опыта и экстраполяции ранее полученных данных при разработке и производстве аналогичного препарата (например, при сокращении объема валидации процессов, методик контроля качества и исследований стабильности)¹⁴.

Альянс по регенеративной медицине

В рамках обсуждения проекта Руководства FDA в ARM рассматривались подходы к применению ПТ для ЛНЧ, индуцированных плюрипотентных стволовых клеток и аденоассоциированных вирусных векторов. Были отмечены два ключевых аспекта:

- необходимость использования единообразных и хорошо охарактеризованных исходных материалов и стандартных образцов;
- перспективность применения базовых аналитических методик контроля качества для различных продуктов при условии постоянства факторов, влияющих на результаты анализа (состав, условия хранения).

Кроме того, отмечено, что, помимо схожих технологических решений и производственных процессов для продуктов и производственных площадок, ПТ должна включать идентичную вспомогательную инфраструктуру – информационные технологии и логистику¹⁵.

Подходы MHRA

В Агентстве по регулированию лекарственных средств и изделий медицинского назначения Великобритании (Medicines and Healthcare products Regulatory Agency, MHRA) в 2025 г. вступили в силу изменения, разрешающие модульное производство ЛП (включая мобильное производство)¹⁶. Однако акцент сделан

¹¹ Directive 2009/35/EC of the European Parliament and of the Council of 23 April 2009 on the colouring matters which may be added to medicinal products. Official Journal of the European Union. 2009.

Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council of 6 November 2001 on the Community code relating to medicinal products for human use. Official Journal of the European Union. 2001.

¹² Platform technology designation program for drug development. FDA. 2024.

¹³ Там же.

¹⁴ Там же.

¹⁵ Unlocking the potential of building blocks to expedite cell and gene therapy development: Takeaways from a scientific exchange between FDA, industry, and independent experts. ARM. 2024.

¹⁶ Human medicines modular manufacture and point of care regulations 2025. MHRA. 2025.

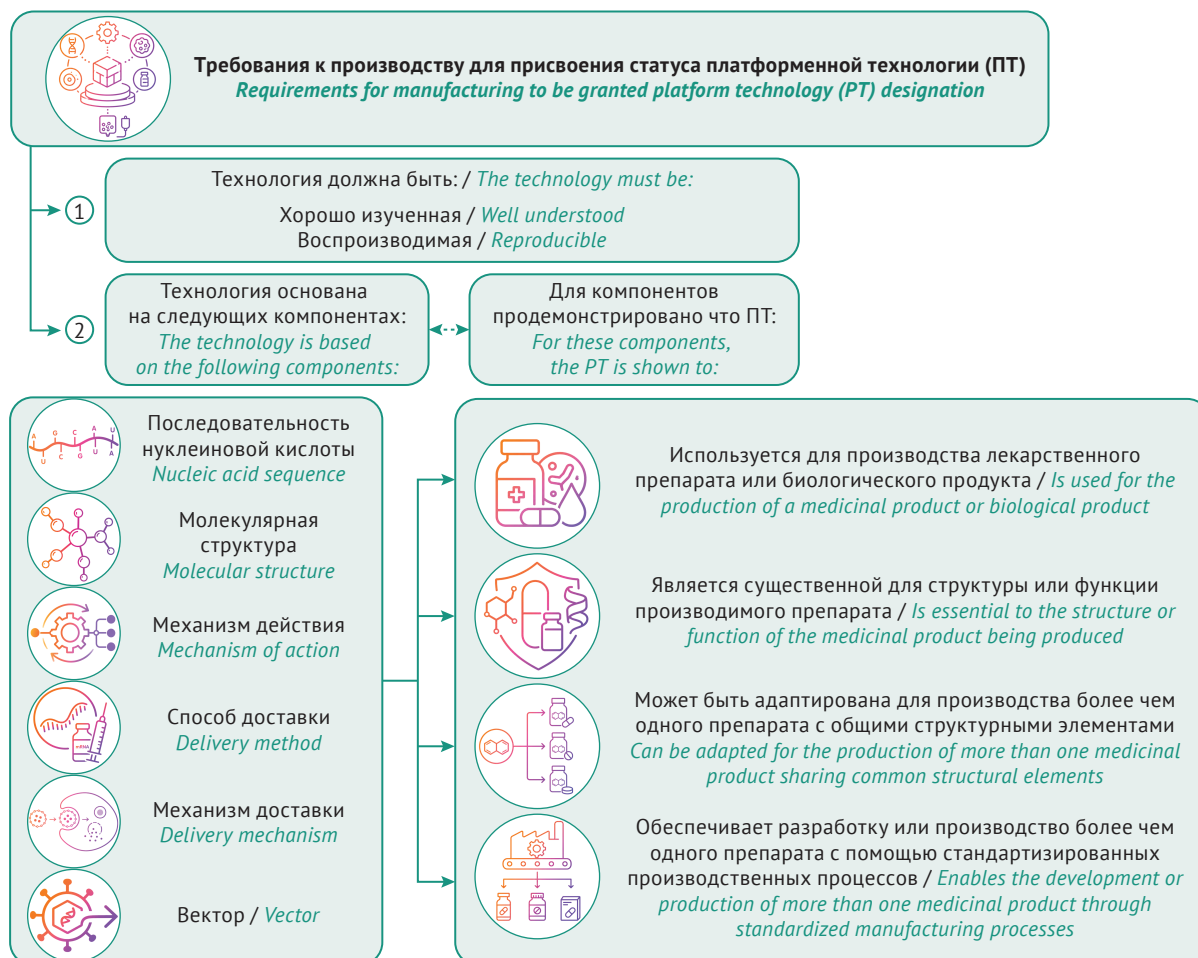


Рисунок подготовлен авторами по данным руководства FDA¹⁷, отдельные элементы визуализации выполнены с использованием инструментов ChatGPT / The figure was prepared by the authors based on FDA guidance¹⁷, with certain visualization elements created using ChatGPT tools

Рис. 1. Основные критерии программы FDA по присвоению статуса платформенной технологии (ПТ) для разработки лекарственных препаратов.

Fig. 1. Key criteria for the FDA platform technology (PT) designation program for the development of medicinal products.

не на ПТ для производства нескольких препаратов, а на мобильное перемещение технологического модуля для производства конкретного лицензированного препарата на различные фармацевтические предприятия или медицинские учреждения. Мастер-файл такого модуля включается в состав досье на препарат.

Опыт PMDA

Опыт применения платформенного подхода в разработке и экспертной оценке наиболее показательно продемонстрирован на примере производства вакцин против COVID-19 [1]. В отчете PMDA (Япония) [3] представлены случаи применения ПТ при одобрении вакцин в период пандемии (табл. 1). Признание результатов для вновь разрабатываемых вакцин,

произведенных по ПТ (включая часть доклинических и клинических исследований), проводилось в условиях чрезвычайной ситуации (пандемия) и, по мнению экспертов PMDA, может служить основой для введения подобной практики.

Таким образом, рассмотренные регуляторные подходы по внедрению ПТ в разработку ЛП свидетельствуют о повышенном интересе к данной проблеме в контексте ускорения доступа пациентов с неудовлетворенной медицинской потребностью к терапии инновационными препаратами: мРНК-вакцинами, ГТЛП на основе вирусных векторов и систем редактирования генома, олигонуклеотидами в составе ЛНЧ. Предполагаемые нормативные изменения затрагивают следующие аспекты: процедуру

¹⁷ Platform technology designation program for drug development. FDA. 2024.

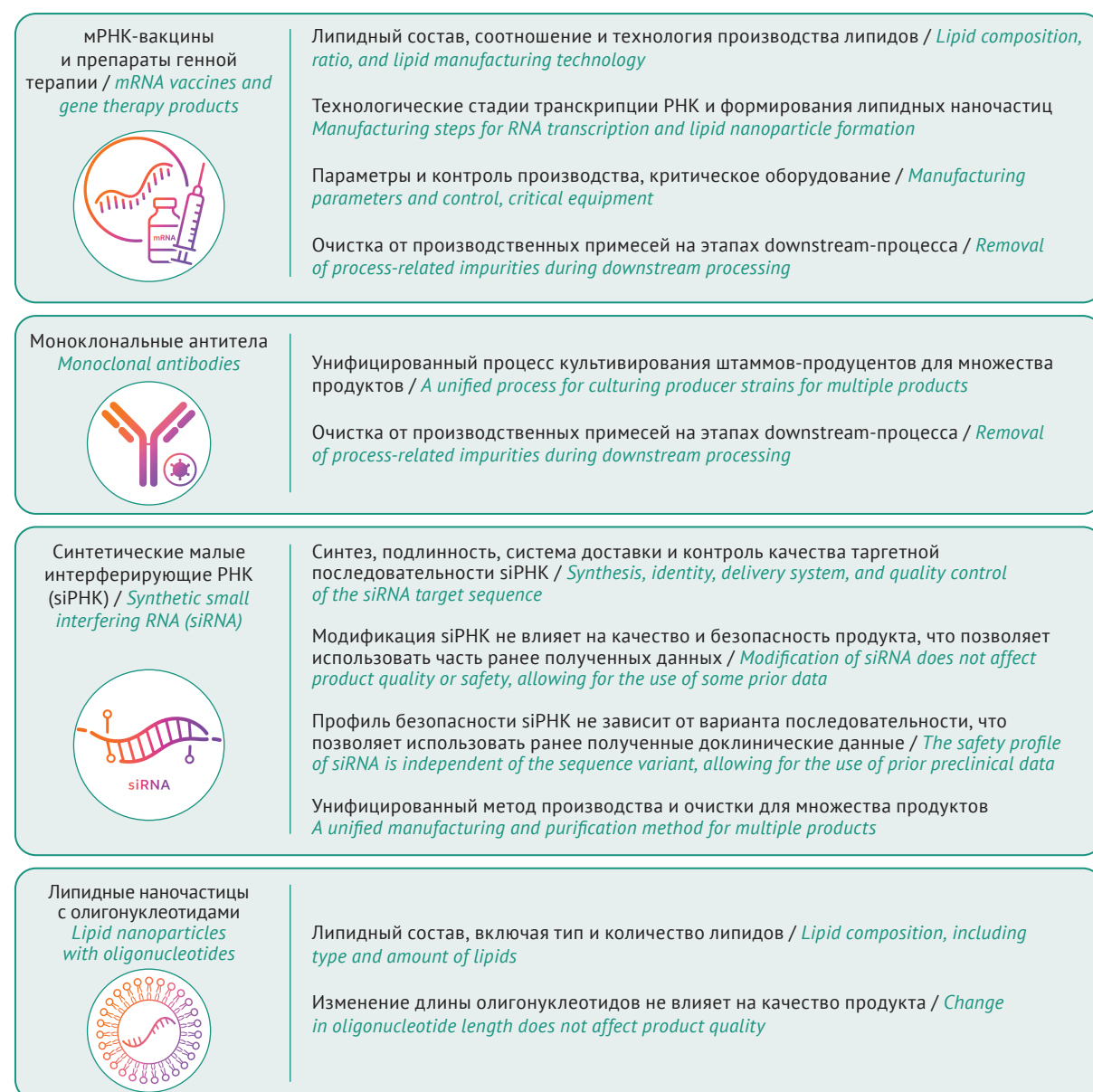


Рисунок подготовлен авторами по данным руководства FDA¹⁸, отдельные элементы визуализации выполнены с использованием инструментов ChatGPT / The figure was prepared by the authors based on FDA guidance¹⁸, with certain visualization elements created using ChatGPT tools

Рис. 2. Примеры платформенных технологий для лекарственных препаратов и их ключевые элементы (согласно программе FDA).

Fig. 2. Examples of platform technologies for medicinal products and their key elements (according to the FDA program).

разработки препаратов — критерии ПТ производства, определение ключевых элементов ПТ в зависимости от типа препарата, введение особого статуса ПТ, возможность регистрации препарата с постоянным и переменным компонентами; экспертную оценку — использование данных по первому одобренному ЛП для сокращения объема данных для последующих препаратов. Однако важным остается вопрос об объеме и характере данных, применимых для других препаратов в рамках ПТ, а также о научных критериях,

необходимых для эффективного применения платформенного подхода к регистрации ЛП.

Научные принципы платформенного подхода к производству и контролю качества лекарственных препаратов

В основе дизайна и разработки ПТ для производства лежит научный подход, позволяющий создавать гибкую и адаптивную модульную систему масштабируемого производства ЛП при сохранении их качества [9]. Это позволяет

¹⁸ Platform technology designation program for drug development. FDA. 2024.

Таблица 1. Применение платформенной технологии (ПТ) для ускоренной регистрации вакцин в Японии [3]

Table 1. Application of platform technology (PT) for accelerated vaccine registration in Japan [3]

Год Year	Описание этапа разработки/регистрационной процедуры Description of development/registration stage	Принцип платформенного подхода Principles of the platform approach	Результат применения платформенного подхода Results of applying the platform approach
2020	Первые клинические исследования вакцин против COVID-19 в условиях пандемии <i>First clinical trials of COVID-19 vaccines during the pandemic</i>	- Исследования биораспределения могут не проводиться при наличии данных для других вакцин, произведенных по той же технологии. - Доклинические исследования новой вакцины допустимо проводить параллельно с клиническими, если безопасность подтверждена данными для других вакцин, произведенных по той же технологии. - <i>Biodistribution studies may not be necessary if data are available for other vaccines produced using the same technology.</i> - <i>Preclinical studies of a new vaccine may be conducted in parallel with clinical trials if safety is confirmed by data for other vaccines produced using the same technology</i>	Демонстрация гибкого научно обоснованного подхода в чрезвычайных ситуациях для ускорения разработки при сохранении стандартов безопасности <i>Demonstration of a flexible, science-based approach in emergency situations to accelerate development while maintaining safety standards</i>
2021	Одобрение первых вакцин (Comirnaty, Spikevax, Vaxzevria) в Японии по экстренной процедуре <i>Approval of the first vaccines (Comirnaty, Spikevax, Vaxzevria) in Japan under an emergency approval procedure</i>	- Фармакокинетика и токсикология отдельно не исследовались для экспертной оценки. - Биораспределение оценивалось на основе данных препаратов, ранее произведенных по ПТ (мРНК в липидных наночастицах или вирусные векторы) - <i>Pharmacokinetics and toxicological studies were not conducted separately for the expert review.</i> - <i>Biodistribution was assessed based on data on medicinal products previously manufactured using platform technology (mRNA in lipid nanoparticles or viral vectors)</i>	Научно-регуляторное обоснование базировалось на имеющихся данных о ПТ с учетом чрезвычайной ситуации (пандемия) <i>The scientific regulatory rationale was based on available data on platform technology, taking into account the emergency situation (pandemic)</i>
2021	Появление новых вариантов SARS-CoV-2 и обновление вакцинных штаммов <i>Emergence of new variants of SARS-CoV-2 and update of vaccine strains</i>	- Сравнительная оценка качества исходной и новой вакцин, подтверждение аналогичной стабильности. - Новые доклинические исследования не требовались. - В клинических исследованиях оценивалась не меньшая эффективность, иммуногенность и безопасность - <i>Comparative quality assessment of the original and new vaccines, confirming comparable stability.</i> - <i>New preclinical studies were not required.</i> - <i>Clinical trials assessed non-inferior efficacy, immunogenicity, and safety</i>	Платформенный подход ускорил разработку вакцин против новых штаммов на основе ранее установленных параметров ПТ <i>The platform approach accelerated the development of vaccines against new strains based on previously established parameters of platform technology</i>
2022	Смена доминирующего субварианта с омикрон BA.1 на BA.4/5 в ходе разработки вакцины <i>Change of the dominant subvariant from Omicron BA.1 to BA.4/5 during vaccine development</i>	- Экстраполяция ранее полученных данных (включая клинические) для варианта BA.1 на вариант BA.4/5 вследствие отсутствия значимых антигенных различий. - Дополнительные клинические данные запрашивались регуляторным органом после регистрации - <i>Extrapolation of previously obtained data (including clinical) for the BA.1 variant to the BA.4/5 variant due to the absence of significant antigenic differences.</i> - <i>Additional clinical data were requested by the regulatory authority after registration</i>	Демонстрация регуляторной адаптивности при оценке регистрационного досье препарата, произведенного по ПТ, для оперативного реагирования на быстро меняющуюся эпидемиологическую ситуацию <i>Demonstration of regulatory adaptability when evaluating registration dossier for a product manufactured using platform technology, to quickly respond to a rapidly changing epidemiological situation</i>

Таблица составлена авторами по данным источника [3] / The table was prepared by the authors based on data from source [3]

ускорить разработку ЛП, снижает их производственную стоимость для ряда гематологических, генетических, метаболических и онкологических заболеваний и способствует более быстрому выводу на рынок.

Платформенные подходы к производству можно представить, как поэтапный процесс¹⁹.

Разработка ПТ начинается с определения ключевых постоянных компонентов ЛП (векторы для доставки, системы редактирования, производственные процессы), разработки первого препарата, характеристики его качества и полной оценки эффективности и безопасности в доклинических и клинических исследованиях.

¹⁹ Unlocking the potential of building blocks to expedite cell and gene therapy development: Takeaways from a scientific exchange between FDA, industry, and independent experts. ARM. 2024.

Этот этап позволяет создавать ЛП для определенного варианта заболевания и служит фундаментом для дальнейшего развития ПТ. На втором этапе объем разработки ЛП расширяется на основе данных первого этапа с учетом различных вариантов заболевания (например, другие генетические мутации или штаммы возбудителя), что уже не требует полного набора данных исследования. Финальный этап направлен на изучение переменного компонента (например, мутаций генов, обуславливающих одно и то же заболевание/синдром, либо клеток одного и того же типа от разных пациентов) [2].

Даже при использовании ПТ сокращение объема клинических исследований возможно не всегда, в отличие от оценки показателей качества, доклинических исследований фармакокинетики или фармакодинамики, где применение ПТ позволяет сократить сроки и стоимость производства (при условии хорошо охарактеризованного профиля безопасности).

Платформенный подход в производстве мРНК-препаратов

Производство ЛП на основе мРНК, включенных в ЛНЧ, можно рассматривать как ПТ, поскольку процессы разработки, производства и контроля качества для таких препаратов схожи для разных заболеваний [1, 10–13]. Сложность создания универсальных терапевтических мРНК-вакцин для лечения онкологических заболеваний обусловлена гетерогенностью опухолевых антигенов, что требует идентификации мишеней у конкретного пациента. Однако изготовление и контроль качества таких вакцин проводятся по единой технологической схеме; переменным компонентом является лишь последовательность мРНК, синтезированная на основе генетических исследований конкретного пациента. Постоянным компонентом таких препаратов может служить система доставки на основе одинаковой композиции ЛНЧ, поскольку различия в мРНК-последовательностях не влияют на качество готового препарата [5].

Возможность рассматривать группу мРНК-препаратов в качестве ПТ зависит от объема накопленных данных о качестве, эффективности и безопасности для ранее произведенных препаратов по этой технологии. В исследовании J.H. Skerritt с соавт. [1] на основе опыта компании Moderna представлены рекомендации по модификации нормативных подходов к разработке мРНК-препаратов для ускорения всех этапов производства. «Платформенными» модулями

для мРНК препаратов могут быть: оптимизация кодонов, регуляторные элементы плазмиды, состав ЛНЧ; данные компоненты не подвергаются значительным изменениям в рамках разработки препаратов одного типа или единой ПТ [1, 14–16]. Это позволяет повторно использовать значительную часть данных при внесении изменений в мРНК-продукт (рис. S1, Приложение 1 размещено на сайте журнала²⁰).

Платформенный подход в производстве генотерапевтических лекарственных препаратов

В генной терапии наследственных заболеваний для доставки терапевтического трансгена чаще всего используют вирусные векторы²¹. Перспективным направлением ПТ является получение ГТЛП с использованием одного и того же вирусного вектора [6–8].

Как и в случае с мРНК-препаратами, разработка ГТЛП сопряжена с высокими затратами и длительностью повторных исследований, валидации процессов и методик контроля качества, а также доклинических исследований, что усложняет создание индивидуальных препаратов разового применения и обуславливает целесообразность платформенного подхода.

В препаратах генной терапии *in vivo* наиболее распространены векторы на основе аденоассоциированного вируса (AAV) [17], что позволяет при единой ПТ получать различные препараты, помещая разные терапевтические гены в выбранный капсид AAV.

Для внедрения ПТ Национальным центром развития трансляционных наук (National center for advancing translational sciences, NCATS) в коллаборации с другими центрами разработан подход PaVe-GT (platform vector gene therapy), направленный на повышение эффективности разработки и ускорение проведения клинических исследований ГТЛП, путем объединения доклинических и ранних клинических этапов для нескольких препаратов. Ключевой особенностью PaVe-GT является использование для четырех заболеваний (пропионовая ацидемия, изолированная метилмалоновая ацидемия, дефицит Dok7 и дефицит коллагена Q) унифицированного вектора (серотип AAV9), производимого на одной и той же производственной площадке. Выбор AAV9 обусловлен тропизмом к печени, мышцам и центральной нервной системе. Переменным компонентом ЛП являются конструкции, кодирующие терапевтические гены [17].

²⁰ <https://doi.org/10.30895/2221-996X-2026-26-3-247-261-annex>

²¹ <https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/cellular-gene-therapy-products/approved-cellular-and-gene-therapy-products>

Подход PaVe-GT также предлагает дизайн клинических исследований на основании «мастер-протоколов» (master protocols), что позволяет синхронизировать процессы и инфраструктуру для разных продуктов по единому протоколу в рамках ПТ-производства. Инициатива PaVe-GT получила поддержку FDA в ходе публичных обсуждений. Таким образом, PaVe-GT представляет собой подход, в котором вирусный вектор рассматривается не только как средство доставки терапевтического гена, но и как элемент ПТ, позволяющий использовать одну технологию для производства нескольких препаратов и ускорять их экспертную оценку за счет сокращения объема предоставляемых данных.

Реализация платформенного подхода возможна на основе векторов разных серотипов²². Общие принципы применимы и к клеточным линиям, на которых нарабатывается вектор — для оценки качества и проведения части доклинических исследований достаточно ограниченных данных о клеточной линии и валидации процесса для уже одобренного препарата, произведенного с помощью ПТ. Однако смена вектора или серотипа (в случае AAV) требует новой характеристики ПТ и проведения доклинических и клинических исследований.

Платформенный подход к препаратам на основе системы редактирования генома

Системы редактирования генома рассматриваются как наиболее перспективные инструменты для лечения генетических заболеваний [2, 18, 19]. Разработку ГТЛП на их основе может затруднять, то что один и тот же синдром может быть вызван различными мутациями. В этом случае ПТ позволяет быстро получить персонализированный препарат без существенных изменений в генетических конструкциях, минимизируя трудоемкие и дорогостоящие исследования [4].

Использование единой системы доставки, стандартизации производства, унифицированных подходов для оценки качества и оптимизированного дизайна клинических исследований может сократить время разработки ГТЛП на основе одной системы редактирования генома с нескольких лет до полугода [2]. С регуляторной точки зрения, повторное использование данных по основным компонентам систем редактирования генома (гидовая

РНК, переменный компонент, система доставки) при экспертизе позволяет ускорить регистрацию ЛП.

В настоящее время ПТ с использованием систем редактирования генома применяются для *in vivo* и *ex vivo* терапии наследственных заболеваний²³ [2].

Контроль качества в рамках платформенного подхода

При применении платформенного подхода для производства ЛП, например терапевтической мРНК-вакцины против онкологического заболевания с индивидуальным набором неоантигенов, в препарат могут вноситься лишь небольшие изменения, обусловленные особенностями профиля неоантигенов опухоли конкретного пациента, поэтому контроль качества (активной субстанции, системы доставки, вспомогательных веществ) и профиль эффективности и безопасности, установленный в доклинических исследованиях, существенно не изменятся (табл. 2). Эта стратегия основана на минимальных различиях в структуре препарата, механизме действия, биологическом эффекте или производственных процессах, которые могут повлиять на качество или безопасность. Для использования данных по стабильности требуется демонстрация сходства молекулы и производственного процесса.

Рассмотренные примеры применения ПТ (мРНК-вакцины, ГТЛП на основе AAV и системы редактирования генома) подтверждают практическую значимость платформенного подхода для сокращения сроков, объемов исследований и стоимости для последующих препаратов, произведенных с использованием ПТ. Однако присвоение статуса ПТ возможно в настоящее время только после полного цикла разработки, производства и вывода на рынок первого одобренного препарата, что может стать препятствием для малых фармацевтических предприятий и клинических центров, разрабатывающих персонализированные ЛП.

Законодательное и нормативное регулирование платформенных технологий в Российской Федерации и ЕАЭС

В российском законодательстве и правовых актах ЕАЭС отсутствуют четкие указания по использованию ПТ при разработке и регистрации

²² Unlocking the potential of building blocks to expedite cell and gene therapy development: Takeaways from a scientific exchange between FDA, industry, and independent experts. ARM. 2024.

²³ Там же.

Таблица 2. Сравнение традиционного и платформенного подходов к контролю качества лекарственных препаратов на основе мРНК
Table 2. Comparison of traditional and platform approaches to quality control of mRNA-based medicinal products

Контролируемый параметр <i>Controlled parameter</i>	Традиционный подход <i>Traditional approach</i>	Платформенный подход <i>Platform approach</i>
Исходные материалы <i>Source materials</i>	Полный контроль качества материалов: линейной ДНК, нуклеотидов, ферментов, буферных растворов <i>Complete quality control of source materials: linear DNA, nucleotides, enzymes, and buffer solutions</i>	Установление стандартизованных требований к исходным материалам <i>Establishment of standardized requirements for source materials</i>
Производство <i>Manufacturing</i>	Документирование и валидация этапов производства: кэпирование, очистка, культивирование, амплификация <i>Documentation and validation of manufacturing steps: capping, purification, cultivation, and amplification</i>	Сокращение объема валидационных исследований при идентичности процесса предыдущему препарату, произведенному по платформенной технологии <i>Reduced validation scope if the process is identical to that of a product previously manufactured using platform technology</i>
мРНК <i>mRNA</i>	Анализ чистоты, подлинности, количественного содержания, специфической активности, безопасности <i>Analysis of purity, identity, content, potency, and safety</i>	Применение тех же аналитических тестов; допускается ссылка на данные о предыдущих препаратах <i>The same analytical tests are applied; reference to data on previous products is permitted</i>
Состав <i>Composition</i>	Валидация процесса инкапсуляции (рН, соотношение липидов, скорость потока) <i>Validation of the encapsulation process (pH, lipid ratio, and flow rate)</i>	Использование схожих липидных частиц позволяет ссылаться на предыдущие данные по эффективности доставки <i>Use of similar lipid particles allows reference to previous data on delivery efficacy</i>
Эффективность <i>Efficacy</i>	Количественная оценка показателей эффективности для каждой мишени <i>Quantitative assessment of efficacy for each target</i>	При идентичности механизма действия допустимо применение той же стратегии доказательства <i>If the mechanism of action is identical, the same proof strategy may be used</i>
Производственная площадка <i>Manufacturing site</i>	Инспекция GMP перед началом производства <i>GMP inspection prior to the start of manufacturing</i>	Допустимо освобождение от повторного инспектирования (при наличии лицензии) <i>Exemption from re-inspection is permitted (if licensed)</i>
Стабильность <i>Stability</i>	Сбор данных по новому препарату для установления срока годности <i>Collection of data for a new product to establish shelf life</i>	Проведение сравнительных исследований (позволят ускорить разработку) <i>Comparative studies (to expedite development)</i>

Таблица составлена авторами по данным источников [13, 15, 20, 21] и регуляторных документов²⁴ / The table was prepared by the authors based on data from sources [13, 15, 20, 21] and regulatory documents²⁴

лекарственных средств²⁵, а также при получении разрешений на применение индивидуальных биомедицинских клеточных продуктов (ИБМКП)²⁶ и биотехнологических лекарственных препаратов (ИБТЛП)²⁷.

Для обеспечения пациентов инновационными персонализированными продуктами, производимыми в рамках единой ПТ с унифицированным контролем качества, требуется внесение изменений в нормативно-правовые

²⁴ Evaluation of the quality, safety and efficacy of messenger RNA vaccines for the prevention of infectious diseases: regulatory considerations. WHO. 2021.
ICH Topic Q5C Quality of Biotechnological Products: Stability Testing of Biotechnological/Biological Products (CPMP/ICH/138/95). EMA. 1996.

²⁵ Решение Совета ЕЭК от 03.11.2016 № 89 «Об утверждении Правил проведения исследований биологических лекарственных средств Евразийского экономического союза».
Решение Совета ЕЭК от 03.11.2016 № 77 «Об утверждении Правил надлежащей производственной практики Евразийского экономического союза».
Решение Совета ЕЭК от 03.11.2016 № 78 «О Правилах регистрации и экспертизы лекарственных средств для медицинского применения».

²⁶ Постановление Правительства Российской Федерации от 28.03.2024 № 384 «Об утверждении Правил обращения биомедицинских клеточных продуктов, предназначенных для исполнения индивидуального медицинского назначения...».
Постановление Правительства Российской Федерации от 28.03.2024 г. № 385 «Об утверждении Правил предоставления, подтверждения и отмены разрешения на производство и применение биомедицинских клеточных продуктов, предназначенных для исполнения индивидуального медицинского назначения».

²⁷ Постановление Правительства Российской Федерации от 24.02.2025 № 213 «О биотехнологических лекарственных препаратах, предназначенных для применения в соответствии с индивидуальным медицинским назначением...».

акты в части применения ПТ. Изменения необходимы как в правовых актах ЕАЭС (например, для ГТЛП на основе одного вирусного вектора при смене трансгена), так и на национальном уровне, например, для иБТЛП, получаемых на основе данных генетического тестирования пациента (четыре медицинских центра по данным на 1.09.2026 уже имеют разрешения на применение таких продуктов, два из которых производят терапевтические мРНК-вакцины по единой технологии на одной площадке)²⁸, а также для аутологичных иБМКП при единой технологии производства (шесть медицинских центров по данным на 1.09.2026 имеют разрешения на производство и применение таких продуктов)²⁹.

В нормативной базе ЕАЭС платформенное производство определяется как «подход к разработке стратегии производства нового лекарственного препарата, начиная с процессов производства, аналогичных ранее использованным тем же заявителем для производства других лекарственных препаратов того же типа»³⁰. Это предусмотрено для моноклональных антител с использованием определенного штамма-продуцента при схожих технологических процессах (при наличии значительного накопленного опыта), а также для ГТЛП на основе генетически модифицированных клеток при документированной оценке рисков³¹. При этом допускается сокращение данных по валидации процесса или программе изучения стабильности при обосновании с учетом релевантного опыта. Однако остается неясным объем и содержание релевантного опыта. К необходимым требованиям относятся: одинаковые технологические этапы производства; минимальные различия в производственном процессе (параметры, внутрипроизводственный контроль) и оборудовании; использование одинаковых материалов и реактивов; сохранение структуры постоянного компонента (для ААВ – вектор одного серотипа, плазмиды с одинаковой структурой, клеточные линии), состава ЛП (например, соотношение

липидов в мРНК-вакцинах), механизма действия и биологического эффекта, влияющих на качество и безопасность.

Платформенный подход позволяет оптимизировать стратегию контроля качества ЛП, например за счет применения платформенных (универсальных) методик для оценки отдельных показателей качества без существенного изменения условий эксплуатации, системы пригодности и структуры отчетности³² [22], а также проведения на этапе выпуска периодических (выборочных) исследований ЛП вместо посерийных при наличии обоснования³³. По мере накопления опыта производства возможно сокращение стоимости препарата за счет проведения сложных дорогостоящих анализов не на каждой серии ЛП, а с определенной периодичностью.

Признание регуляторным органом данных доклинических исследований препаратов, произведенных по ПТ, допустимо при наличии обоснования для показателей биораспределения (например, для ГТЛП на основе одного серотипа ААВ или мРНК-вакцин с одинаковым составом и содержанием ЛНЧ).

Таким образом, с учетом развития технологий в области мРНК-вакцин, вирусных векторов, ЛНЧ и систем редактирования генома, особенно для лечения орфанных заболеваний с неудовлетворенной медицинской потребностью, использование ПТ является актуальным для ускорения доступа пациентов Российской Федерации к терапии. Концепция актуализации нормативных правовых документов (на национальном уровне и в рамках ЕАЭС) должна включать требования к следующим аспектам: характеристикам постоянного и переменного компонентов ЛП (для постоянного – молекулярная структура, способ доставки, состав ЛНЧ; для переменного – признаки сходного механизма действия); воспроизводимой технологии производства (стадии, оборудование, обоснование валидации); механизму рассмотрения и признания при экспертизе данных для препаратов, разработанных с использованием ПТ – мастер-файл

²⁸ <https://gxpnews.net/2026/04/razrabotannaya-fmba-rossii-vakczina-onkorna-poluchila-razreshenie-na-primenenie/>
<https://gxpnews.net/2026/02/klinika-blohina-poluchila-razreshenie-na-ispolzovanie-mrnk-vakcziny-ot-melanomy/>
<https://gxpnews.net/2025/11/minzdrav-vydal-razresheniya-na-ispolzovanie-dvuh-individualnyh-biopreparatov/>

²⁹ <https://www.sechenov.ru/pressroom/news/sergey-sobyanin-podderzhal-programmu-nauchno-tekhnologicheskogo-razvitiya-sechenovskogo-universiteta/>
<https://blood.ru/about/novosti/nmits-gematologii-minzdrava-rossii-poluchil-litsenziyu-na-proizvodstvo-biomeditsinskikh-kletochnykh/>

³⁰ Рекомендация Коллегии ЕЭК от 22.12.2020 № 26 «О Руководстве по разработке и производству активных фармацевтических субстанций».

³¹ Решение Совета ЕЭК от 03.11.2016 № 89 «Об утверждении Правил проведения исследований биологических лекарственных средств Евразийского экономического союза».

³² ICH Guideline Q14 on analytical procedure development Step 2b (EMA/CHMP/ICH/195040/2022). EMA. 2022.

³³ Решение Коллегии ЕЭК от 07.09.2018 № 151 «Об утверждении Руководства по составлению нормативного документа по качеству лекарственного препарата».

ПТ, экстраполяция данных валидации процесса производства, отдельные параметры доклинических исследований (данные изучения токсичности, фармакокинетики) и стабильности.

К ограничениям проведенного авторами исследования относится то, что рассмотренный международный регуляторный опыт по внедрению ПТ (FDA, EMA, PMDA) ориентирован преимущественно на крупных производителей; для малых и средних предприятий экстраполяция может быть ограничена. Экономические аспекты (стоимость создания ПТ и уровень затрат на повторные исследования) в статье не рассматривались.

ЗАКЛЮЧЕНИЕ

Международные регуляторные органы признают платформенные подходы наиболее перспективными для разработки персонализированных препаратов на основе мРНК и ГТЛП, прежде всего для лечения орфанных генетических и онкологических заболеваний. FDA, EMA и PMDA формируют подходы к внедрению ПТ в практику разработки и регистрации ЛП. Основным барьером в подходах FDA и PMDA остается требование наличия первого одобренного продукта для получения статуса ПТ, что затруднительно для большинства разработчиков персонализированных препаратов.

Для мРНК-вакцин (включая терапевтические и для иммунопрофилактики инфекционных заболеваний) и ГТЛП на основе ААВ доказана возможность использования стандартизированных модулей ПТ (постоянный состав ЛНЧ, серотип ААВ вектора, унифицированные методы

контроля качества) и сокращения объема доклинических исследований за счет экстраполяции результатов, полученных для первого препарата.

В нормативной документации Российской Федерации и ЕАЭС отсутствуют критерии признания платформенного подхода, что требует разработки согласованных требований к результатам предшествующих разработок.

Платформенный подход, основанный на неизменном производственном процессе и унифицированных методиках контроля качества, эффективно ускоряет разработку и внедрение мРНК-вакцин и ГТЛП для лечения орфанных генетических и онкологических заболеваний с неудовлетворенной медицинской потребностью, однако его реализация требует внесения изменений в нормативную документацию в Российской Федерации и ЕАЭС.

Регуляторная практика применения платформенного подхода при регистрации ЛП в настоящее время ограничивается опытом Японии (PMDA) по рассмотрению вакцин против разных штаммов SARS-CoV-2 в период пандемии COVID-19.

Предложенная концепция может быть учтена при подготовке изменений в Решения Совета Евразийской экономической комиссии, касающихся разработки, производства и регистрации ЛП, а также в национальные нормативные акты, регламентирующие процедуры получения разрешений на применение отдельных препаратов. Рассмотренные подходы также могут быть полезны для создания методических рекомендаций для заявителей, разрабатывающих мРНК-вакцины и ГТЛП.

Литература/References

- Skerritt JH, Tucek-Szabo C, Sutton B, Nolan T. The platform technology approach to mRNA product development and regulation. *Vaccines (Basel)*. 2024;12(5):528. <https://doi.org/10.3390/vaccines12050528>
- Urnov F, Kassim S, Musunuru K, et al. Advancing gene-editing platforms to improve the viability of rare-disease therapeutics: Key insights from a 2024 Scientific Exchange hosted by ARM, ISCT, and Danaher. *Cytotherapy*. 2025;27(10):1151–63. <https://doi.org/10.1016/j.jcyt.2025.06.010>
- Ogawa T, Sunyi J, Kawachi K, et al. Regulatory approaches for platform-based vaccine development in Japan: Insights from PMDA's experience with COVID-19 and RSV vaccines. *Vaccine*. 2026;76:128315. <https://doi.org/10.1016/j.vaccine.2026.128315>
- Musunuru K, Grandinette SA, Wang X, et al. Patient-Specific *in vivo* gene editing to treat a rare genetic disease. *N Engl J Med*. 2025;392(22):2235–43. <https://doi.org/10.1056/NEJMoa2504747>
- Багдасарова ДВ, Болотина ЛВ, Леухина ИА и др. мРНК-технологии в борьбе с онкологическими заболеваниями: мировой опыт клинических исследований и опыт внедрения в Российской Федерации. *Онкология. Журнал им. П.А. Герцена*. 2025;14(6):69–77. Bagdasarova DV, Bolotina LV, Leukhina IA, et al. mRNA technologies in treatment of oncological diseases: global experience of clinical trials and implementation in the Russian Federation. *P.A. Herzen Journal of Oncology*. 2025;14(6):69–77 (In Russ.). <https://doi.org/10.17116/onkolog20251406169>
- Копейн ДС, Порошин ГН, Хамитов РА. Реализация концепции Quality by Design для генотерапевтического лекарственно-
- го препарата на основе аденоассоциированного вирусного вектора. *БИОпрепараты. Профилактика, диагностика, лечение*. 2025;25(2):141–55. Kopein DS, Poroshin GN, Khamitov RA. Implementation of the quality-by-design concept for an adeno-associated viral vector-based gene therapy. *Biological Products. Prevention, Diagnosis, Treatment*. 2025;25(2):141–55 (In Russ.). <https://doi.org/10.30895/2221-996X-2025-580>
- Bulcha JT, Wang Y, Ma H, et al. Viral vector platforms within the gene therapy landscape. *Signal Transduct Target Ther*. 2021;6(1):53. <https://doi.org/10.1038/s41392-021-00487-6>
- Young P. Treatment to cure: Advancing AAV gene therapy manufacture. *Drug Discov Today*. 2023;28(7):103610. <https://doi.org/10.1016/j.drudis.2023.103610>
- Stoops J, Morton T, Powell J, et al. Treg cell therapy manufacturability: current state of the art, challenges and new opportunities. *Front Immunol*. 2025;16:1604483. <https://doi.org/10.3389/fimmu.2025.1604483>
- Whitley J, Zwolinski C, Denis C, et al. Development of mRNA manufacturing for vaccines and therapeutics: mRNA platform requirements and development of a scalable production process to support early phase clinical trials. *Transl Res*. 2022;242:38–55. <https://doi.org/10.1016/j.trsl.2021.11.009>
- Zhang G, Tang T, Chen Y, et al. mRNA vaccines in disease prevention and treatment. *Signal Transduct Target Ther*. 2023;8(1):365. <https://doi.org/10.1038/s41392-023-01579-1>
- Li M, Wang Z, Xie C, et al. Advances in mRNA vaccines. In: *International Review of Cell and Molecular Biology*. Elsevier; 2022.

- P. 295–316. <https://doi.org/10.1016/bs.ircmb.2022.04.011>
13. Pardi N, Hogan MJ, Porter FW, Weissman D. mRNA vaccines — A new era in vaccinology. *Nat Rev Drug Discov*. 2018;17(4):261–79. <https://doi.org/10.1038/nrd.2017.243>
 14. Schriber SJ, Putnam WS, Chow ECY, et al. Comparability considerations and challenges for expedited development programs for biological products. *Drugs RD*. 2020;20(4):301–6. <https://doi.org/10.1007/s40268-020-00321-4>
 15. Castellanos MM, Gressard H, Li X, et al. CMC strategies and advanced technologies for vaccine development to boost acceleration and pandemic preparedness. *Vaccines (Basel)*. 2023;11(7):1153. <https://doi.org/10.3390/vaccines11071153>
 16. Madabushi R, Seo P, Zhao L, et al. Review: Role of model-informed drug development approaches in the lifecycle of drug development and regulatory decision-making. *Pharm Res*. 2022;39(8):1669–80. <https://doi.org/10.1007/s11095-022-03288-w>
 17. Brooks PJ, Ottinger EA, Portero D, et al. The platform vector gene therapies project: Increasing the efficiency of adeno-associated virus gene therapy clinical trial startup. *Hum Gene Ther*. 2020;31(19–20):1034–42. <https://doi.org/10.1089/hum.2020.259>
 18. Doudna JA. The promise and challenge of therapeutic genome editing. *Nature*. 2020;578(7794):229–36. <https://doi.org/10.1038/s41586-020-1978-5>
 19. Chan AYL, Chan VKY, Olsson S, et al. Access and unmet needs of orphan drugs in 194 countries and 6 areas: A global policy review with content analysis. *Value Health*. 2020;23(12):1580–91. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2020.06.020>
 20. Drennen J, Anderson C. Comparability protocols: Chemistry, manufacturing and controls information. *NIR News*. 2003;14(3):14–5. <https://doi.org/10.1255/nirn.720>
 21. Sanyal G, Särnefält A, Kumar A. Considerations for bioanalytical characterization and batch release of COVID-19 vaccines. *npj Vaccines*. 2021;6(1):53. <https://doi.org/10.1038/s41541-021-00317-4>
 22. Ваганова ОА, Смирнов РС, Ленин СА и др. Моноклональные антитела: разработка платформенных методик оценки примесей высокомолекулярных и низкомолекулярных соединений. *Регуляторные исследования и экспертиза лекарственных средств*. 2025;15(3):330–46. Vaganova OA, Smirnov RS, Lenin SA, et al. Monoclonal antibodies: Development of universal (platform) methods for the assessment of high and low-molecular weight impurities. *Regulatory Research and Medicine Evaluation*. 2025;15(3):330–46 (In Russ.). <https://doi.org/10.30895/1991-2919-2025-15-3-330-346>

Дополнительная информация. На сайте журнала «БИОпрепараты. Профилактика, диагностика, лечение» размещено Приложение 1.

Вклад авторов. Все авторы подтверждают соответствие своего авторства критериям ICMJE. Наибольший вклад распределен следующим образом: **Н.С. Покровский** — работа с источниками литературы, написание текста рукописи, формулировка выводов; **Е.В. Мельникова** — концепция работы, написание текста рукописи, формулировка выводов; **В.А. Меркулов** — утверждение окончательной версии статьи для публикации.

Использование генеративного искусственного интеллекта. Авторы заявляют, что при подготовке рукописи использовали генеративный ИИ (ChatGPT Images 2.0, исключительно для подготовки отдельных элементов визуализации в рисунках) в строгом соответствии с положениями политики журнала в отношении ИИ.

Supplementary information. Supplementary material 1 is available on the website of *Biological Products. Prevention, Diagnosis, Treatment*.

<https://doi.org/10.30895/2221-996X-2026-26-3-247-261-annex>

Author contributions. All authors confirm that they meet the ICMJE criteria for authorship. The most significant contributions were as follows. **N.S. Pokrovsky** worked with literature sources, drafted the manuscript, and formulated the conclusions. **E.V. Melnikova** conceptualized the study, drafted the manuscript, and formulated the conclusions. **V.A. Merkulov** approved the final version of the manuscript for publication.

Use of generative artificial intelligence. The authors declare that they used generative AI (ChatGPT Images 2.0, used solely for the preparation of certain visualization elements in the figures) during the preparation of this manuscript in strict compliance with the journal's policy on AI.

Об авторах / Authors

Покровский Никита Станиславович / Nikita S. Pokrovsky

ORCID: <https://orcid.org/0000-0002-2355-0879>

Мельникова Екатерина Валерьевна, канд. биол. наук / Ekaterina V. Melnikova, Cand. Sci. (Biol.)

ORCID: <https://orcid.org/0000-0002-9585-3545>

Меркулов Вадим Анатольевич, д-р мед. наук, проф. / Vadim A. Merkulov, Dr. Sci. (Med.), Prof.

ORCID: <https://orcid.org/0000-0003-4891-973X>

Поступила 06.04.2026

После доработки 12.08.2026

Принята к публикации 25.09.2026

Received April 6, 2026

Revised August 12, 2026

Accepted September 25, 2026