



Уважаемые коллеги!

29 февраля – Международный день редких (орфанных) заболеваний. Високосная дата выбрана неслучайно (редкая дата – редкое заболевание). Как известно, слово «орфанный» произошло от английского «orphan» – беспризорный, сирота. Редкие болезни было очень сложно изучать, а фармакологические компании долгое время не были заинтересованы в разработке и выпуске лекарств для лечения пациентов с такими болезнями. Люди чувствовали себя брошенными, как сироты... В настоящее время ситуация кардинально изменилась, и обеспечение пациентов орфанными лекарственными препаратами рассматривается в качестве одного из важнейших направлений развития фармацевтической отрасли как в нашей стране, так и в мире.

В настоящее время рынок орфанных препаратов является одним из наиболее наукоемких и активно развивающихся сегментов мирового фармацевтического рынка. Устойчивый рост обусловлен регуляторными стимулами, прорывными достижениями в генной и клеточной терапии, а также неудовлетворенными медицинскими потребностями для лечения более чем 7000 редких заболеваний. В России за последние годы сформировался пул компаний, способных не только производить биоаналоги, но и разрабатывать собственные инновационные высокотехнологичные лекарственные препараты.

Законодательство развитых стран максимально старается мотивировать фармкомпании к разработке и производству орфанных препаратов, а поддержка государственного сектора стимулирует исследования и разработки портфеля продуктов, которые ранее считались коммерчески нежизнеспособными.

В связи с этим закономерен интерес журнала «БИОпрепараты. Профилактика, диагностика, лечение» к реализации гибких подходов к разработке и оценке лекарственных препаратов для лечения редких заболеваний, решению проблем неопределенности доказательств их эффективности, обеспечению доступности орфанных препаратов для нуждающихся пациентов. Тема данного выпуска журнала охватывает вопросы эволюции терапии моногамных орфанных заболеваний в виде научно-исторического экскурса, ключевые аспекты доклинической разработки лекарственных препаратов для детской популяции на примере генотерапевтических лекарственных препаратов, современные подходы к получению клонов-продуцентов целевых белков для ферментозаместительной терапии.

Материалы тематического выпуска, несомненно, будут востребованы как медицинским сообществом, так специалистами фармацевтической отрасли.

С уважением,
доктор медицинских наук, профессор,
заслуженный деятель науки Российской Федерации
ХАМИТОВ Равиль Авгатович