

УДК 615.012+615.07(470+571)
<https://doi.org/10.20538/1682-0363-2026-2-191-194>

Программа по регулированию платформенных технологий как инструмент ускорения разработки лекарственных средств: анализ и перспективы для России

Галямова М.Р.¹, Валиева О.В.^{2,3}, Андрианов В.В.^{1,4}, Осипенко А.Н.⁵,
 Александрович Е.А.^{1,3}, Попова М.А.¹

¹ Центр национальной технологической инициативы по направлению «Хелснет»
 Россия, 630090, г. Новосибирск, ул. Николаева, 12

² Институт экономики и организации промышленного производства (ИЭОПП) СО РАН
 Россия, 630090, г. Новосибирск, ул. Акад. Лаврентьева, 17

³ Новосибирский государственный университет (НГУ)
 Россия, 630090, г. Новосибирск, ул. Пирогова, 1

⁴ Акционерное общество (АО) «Р-Фарм»
 Россия, 123154, г. Москва, ул. Берзарина, 19/1

⁵ Сибирский государственный медицинский университет (СибГМУ)
 Россия, 634050, г. Томск, Московский тракт, 2

РЕЗЮМЕ

Цель работы: продемонстрировать возможности платформенного подхода в регулировании биотехнологических разработок фармацевтических препаратов, подкрепив это конкретными примерами и кейсами из практики FDA. В исследовании разбирается программа PTDD (Platform Technology Designation Program) Управления по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (Food and Drug Administration), запущенной в 2024 г. в США. Эта программа выполняет роль регуляторного механизма присвоения статуса платформенной технологии и имеет практическое значение для ускорения разработки и экспертизы лекарственных средств за счет обоснованного переиспользования данных. Получение статуса «платформенной технологии» дает разработчику право частично переиспользовать данные СМС (Chemistry, Manufacturing, Controls) от уже зарегистрированного препарата при подаче заявок на последующие продукты на той же «матрице».

Представлены механизмы присвоения такого статуса, примеры из практики FDA, а также российские компании, имеющие похожие технологии и потенциал их развития. На основании анализа делается вывод о целесообразности использования в России аналогичных регуляторных механизмов.

Ключевые слова: платформенная технология, FDA, PTDD, генная терапия, CAR-T, AAV-векторы, регуляторная экспертиза, НТИ Хелснет

Конфликт интересов. Авторы декларируют отсутствие явных и потенциальных конфликтов интересов, связанных с публикацией настоящей статьи.

Источники финансирования. Публикация подготовлена при поддержке Фонда «Научно-технологический парк Новосибирского Академгородка», участвующем в Национальной технологической инициативе при поддержке Фонда поддержки проектов Национальной технологической инициативы и Министерства промышленности и торговли Российской Федерации, в рамках реализации Программы по развитию отдельного направления Национальной технологической инициативы «Хелснет».

Для цитирования: Галямова М.Р., Валиева О.В., Андрианов В.В., Осипенко А.Н., Александрович Е.А., Попова М.А. Программа по регулированию платформенных технологий как инструмент ускорения раз-

✉ Валиева Ольга Владимировна, o_valieva@mail.ru

работки лекарственных средств: анализ и перспективы для России. *Бюллетень сибирской медицины*. 2026;25(2):191–194. <https://doi.org/10.20538/1682-0363-2026-2-191-194>.

Platform Technology Regulation as a Tool for Accelerating Drug Development: Analysis and Prospects for Russia

Galyamova M.R.¹, Valieva O.V.^{2,3}, Andrianov V.V.^{1,4}, Osipenko A.N.⁵, Alexandrovich E.A.^{1,3}, Popova M.A.¹

¹ Center for the National Technology Initiative «HealthNet» (NTI Healthnet)
12 Nikolaeva St., Novosibirsk 630090, Russian Federation

² Institute of Economics and Industrial Engineering, Siberian Branch of the Russian Academy of Science
17 Acad. Lavrentieva Ave., Novosibirsk 630090, Russian Federation

³ Novosibirsk State University (NSU)
1 Pirogova St., Novosibirsk 630090, Russian Federation

⁴ JSC “R-Pharm”
19/1 Berzarina St., Moscow 123154, Russian Federation

⁵ Siberian State Medical University (SSMU)
2 Moskovsky trakt, Tomsk 634050, Russian Federation

ABSTRACT

Objective. The objective of this study is to demonstrate the potential of the platform approach in the regulation of biotechnological drug development, supported by specific examples and case studies from FDA practice. The study examines the Platform Technology Designation Program (PTDD) of the U.S. Food and Drug Administration (FDA), launched in 2024. This program serves as a regulatory mechanism for granting platform technology status and has practical value for accelerating drug development and review through the justified reuse of data. Obtaining platform technology status entitles the developer to partially reuse CMC (Chemistry, Manufacturing, and Controls) data from an already approved drug when submitting applications for subsequent products based on the same “backbone.” The article discusses the mechanisms for granting such status, examples from FDA practice, as well as Russian companies possessing similar technologies and the potential for their development. Based on the analysis, a conclusion is drawn regarding the feasibility of implementing analogous regulatory mechanisms in Russia.

Keywords: platform technology, FDA, PTDD, gene therapy, CAR-T, AAV vectors, regulatory review, NTI Healthnet

Conflict of interest. The authors declare no obvious or potential conflicts of interest related to the publication of this manuscript.

Funding Source. This publication was prepared with the support of the Foundation “Technopark of Novosibirsk Akademgorodok” (Scientific and Technological Park of Novosibirsk Akademgorodok), participating in the National Technology Initiative with the support of the National Technology Initiative Project Support Fund and the Ministry of Industry and Trade of the Russian Federation, within the framework of the Program for the Development of the “HealthNet” (Healthnet) direction of the National Technology Initiative.

For citation: Yurastova K.A., Yarovoy N.D., Bepalova I.D., Teteneva A.V. Chronic kidney disease registries as a tool for monitoring, diagnosis, and quality improvement in medical care. *Bulletin of Siberian Medicine*. 2026;25(2):191–194. <https://doi.org/10.20538/1682-0363-2026-2-191-194>.

ВВЕДЕНИЕ

Современная фармацевтическая индустрия сталкивается с системным вызовом: стоимость вывода инновационного препарата на рынок превышает

2–3 млрд долл., а сроки разработки достигают 10–15 лет. Традиционная модель «одно соединение – один продукт» становится экономически неустойчивой, особенно в областях разработки препаратов для лечения орфанных и онкологических заболеваний,

в генной терапии и персонализированной медицине. Ответом на этот вызов стал платформенный подход – создание воспроизводимых технологических систем, которые стандартизируют процессы от доклинических исследований до рыночной регистрации, минимизируют дублирование данных и обеспечивают масштабируемость производства. Платформы представляют собой решение, актуальное как для разработчиков и регуляторов, так и для всей индустрии. Они обеспечивают технологический прорыв, который может перевести производство препаратов на конвейерный режим в биофармацевтической разработке. Более подробный обзор представлен в аналитическом отчете «Обзор Программы присвоения статуса платформенной технологии для разработки лекарственных препаратов от FDA», подготовленном экспертами Инфраструктурного центра НТИ «Хелснет» [1].

В 2024 г. Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) запустило программу присвоения статуса платформенной технологии (Platform Technology Designation Program, PTDD). Юридически программа привязана к разделу 506K закона США о пищевых продуктах и лекарствах (FD&C Act) [2] и описана FDA как часть реализации положений PREVENT Pandemics Act (в составе крупного закона 2023 г.). Программа задумывалась как способ ускоренного масштабирования разработки платформенных решений (например, для инфекционных угроз), но сам механизм шире – он применим к лекарствам и биопрепаратам с повторяющейся технологической архитектурой. Важно отметить, что это только проект руководства, который поясняет раздел 506K FD&C Act и содержит рекомендации, не имеющие обязательной юридической силы.

Программа PTDD направлена на повышение эффективности разработки, производства и экспертизы лекарственных средств. Согласно руководству FDA (май 2024 г.), статус может быть присвоен технологии, которая является «хорошо изученной и воспроизводимой», существенна для структуры или функции препарата, применима более чем к одному продукту и облегчает производство через стандартизированные процессы.

Ключевые критерии для присвоения статуса платформенной технологии:

- встроена в препарат и существенна для его структуры или функции;
- применима более чем к одному продукту, имеющему общий структурный элемент (доказуемая технологическая общность);
- дает возможность разрабатывать и производить несколько продуктов через стандартизирован-

ный процесс (если каждый продукт требует полностью уникального процесса, платформенность распадается).

FDA рассматривает запрос в течение 90 дней. Статус не является автоматическим пропуском в программы ускоренной регистрации, но дает преимущества: ранние консультации с регулятором, возможность переиспользования данных о стабильности и доклинической безопасности, учет предыдущих инспекций производственных площадок.

АНАЛИЗ КЕЙСОВ: SAREPTA THERAPEUTICS И KRYSTAL BIOTECH

Практика PTDD насчитывает два официально известных случая присвоения статуса. Кейс Sarepta Therapeutics (июнь 2025 г.) стал знаковым: компания получила статус для AAV-вектора rAAVrh74, используемого в препарате Elevidys (мышечная дистрофия Дюшенна) и экспериментальном SRP-9003. Однако в июле 2025 г., после гибели трех пациентов от острой печеночной недостаточности, FDA отозвало статус, поставив под сомнение надежность платформы. Этот прецедент продемонстрировал, что платформенный статус – не «льгота навсегда», а механизм с обратной связью: новые данные по безопасности могут аннулировать ранее признанную переносимость. В итоге Elevidys остался одобренным, но с обновлениями по безопасности [3].

Кейс Krystal Biotech (октябрь 2025 г.) – пример успешного применения статуса. Компания получила его для нереплицирующегося HSV-1-вектора, используемого в препарате Vujuvek (буллезный эпидермолиз). Затем платформа была перенесена на глазные капли KB801 для лечения нейротрофического кератита. Это подтвердило воспроизводимость технологии в разных тканях и локальных формах доставки. Компания видит в PTDD возможность ускорить разработку конвейера генетических лекарств [4].

ПОТЕНЦИАЛЬНЫЕ ПЛАТФОРМЕННЫЕ ТЕХНОЛОГИИ В РОССИИ

На российском биотехнологическом рынке сформирован пул компаний и научных центров, разрабатывающих продукты на основе платформенных решений:

- ПАО «Артген биотех» – платформа рекомбинантных белковых вакцин «Бетусфера» (бетулин) и геннотерапевтическая платформа «Некстген» (плазмидная ДНК для терапевтического ангиогенеза);
- АО «БИОКАД» – платформы MabNEXT (рекомбинантные антитела) и GeneNEXT (AAV-векторы для генной терапии гемофилии В);

– ФГБУ «НМИЦ гематологии» – госпитально-производственная платформа CAR-T (препарат «Утжефра»);

– ФГБУ «НМИЦ радиологии» с партнерами – платформа персонализированных мРНК-вакцин («Неонковак»).

Анализ показывает, что в Российской Федерации уже существуют технологические заделы для платформенного регулирования, однако отсутствует формальный аналог PTDD.

ЗАКЛЮЧЕНИЕ

Программа FDA PTDD представляет собой инновационный регуляторный инструмент, который переводит платформенный подход из научной концепции в формализованный режим доказательств. Кейс Sarepta показал уязвимость статуса к новым данным по безопасности, а кейс Krystal – перспективность для локальных и редозируемых терапий. Для России критически важно не копировать американский опыт, а разработать адаптированную национальную программу, опираясь на существующие тех-

нологические заделы (AAV, мРНК, CAR-T) и действующие механизмы (госпитальное исключение, условная регистрация). Пилотный проект сроком 1,5–2 года позволит отработать критерии квалификации платформ и переиспользования данных, что станет основой для гармонизации регулирования в рамках ЕАЭС и достижения технологического суверенитета в биофармацевтике.

СПИСОК ИСТОЧНИКОВ

1. Анализ регулирования платформенных технологий в биомедицине, НТИ Хелснет, 31 мая 2026. URL: <https://healthnet.academpark.com/analytics/analiz-regulirovaniya-platformennyh-tehnologij-v-biomedicine/>
2. FEDERAL FOOD, DRUG, AND COSMETIC ACT. As Amended Through P.L. 119–175, Enacted February 3, 2026. URL: <https://www.govinfo.gov/content/pkg/COMPS-973/pdf/COMPS-973.pdf>
3. ELEVIDYS, FDA, 11/14/2025. URL: <https://www.fda.gov/vaccines-blood-biologics/tissue-tissue-products/elevi-dys>
4. FDA Grants Krystal Biotech Platform Technology Designation, Marking Strategic Shift in Gene Therapy Oversight. URL: <https://fairsonline.org/fda-grants-krystal-biotech-platform-technology-designation-marking-strategic-shift-gene-therapy>

Информация об авторах

Галямова Мария Рашитовна – руководитель Центра национальной технологической инициативы по направлению «Хелснет», г. Новосибирск, maria@mgalyamova.ru

Валиева Ольга Владимировна – канд. экон. наук, ст. науч. сотрудник, ИЭОПП СО РАН; доцент, кафедра менеджмента, НГУ, г. Новосибирск, o_valieva@mail.ru, <https://orcid.org/0000-0002-7831-0581>

Андрианов Владимир Владимирович – директор по работе с партнерами, заместитель лидера рабочей группы Центра национальной технологической инициативы по направлению «Хелснет»; АО «Р-Фарм», г. Москва, Andrianov@rpharm.ru

Осипенко Антон Николаевич – ассистент, кафедра фармакологии, СибГМУ, г. Томск, osipenko.an@ssmu.ru, <https://orcid.org/0000-0002-4763-3214>

Александрович Елизавета Алексеевна – эксперт, Центр национальной технологической инициативы по направлению «Хелснет»; Институт медицины и медицинских технологий, НГУ, г. Новосибирск, Россия, eksandrovich@g.nsu.ru

Попова Мария Александровна – эксперт, Центр национальной технологической инициативы по направлению «Хелснет», г. Новосибирск, Россия, karma.m.p@ya.ru

(✉) **Валиева Ольга Владимировна**, o_valieva@mail.ru

Поступила в редакцию 10.06.2026