



Правовой режим обращения высокотехнологичных лекарственных препаратов: опыт межгосударственных интеграционных объединений

Дарья В. Пономарёва[✉]

Университет имени О.Е. Кутафина (МГЮА), Москва, Российская Федерация

Аннотация

В статье проанализирован опыт ключевых межгосударственных интеграционных объединений в отношении регулирования обращения высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов. Целью исследования является выявление тенденций развития наднационального регулирования в рассматриваемой области, оценка его полноты. Актуальность исследования обусловлена проблемами, с которыми сталкиваются как пациенты, так и производители высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов: со стороны пациентского сообщества возникает проблема доступа к таким дорогостоящим препаратам; со стороны производителей появляется необходимость упрощения ввода таких препаратов в оборот, обеспечение их трансграничного обращения. В связи с этим возникает необходимость проанализировать международно-правовые и наднациональные основы регулирования обращения высокотехнологичных лекарственных препаратов с целью выявления тенденций, способствующих решению обозначенных пациентами и производителями проблем.

В статье проанализирован опыт международных организаций (в частности, Всемирной организации здравоохранения), а также ключевых межгосударственных интеграционных объединений (Европейский союз, Африканский союз, Евразийский экономический союз (ЕАЭС)) в части регулирования обращения высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов. Отмечается, что на глобальном уровне регламентация обращения высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов носит фрагментарный, спорадический характер, что во многом связано с дифференциацией экономических, организационных, инфраструктурных возможностей отдельных государств применительно к производству подобного рода препаратов. Наиболее детальное нормативное правовое регулирование обращения высокотехнологичных лекарственных пре-

[✉]Email: dvponomareva@msal.ru

паратов осуществлено в рамках Европейского союза, который выступает ориентиром для других межгосударственных интеграционных объединений (в частности, Африканского союза, а также ЕАЭС). Евразийский экономический союз, не находясь в партнерских отношениях со структурами ЕС, фактически имплементирует его подходы. Тем не менее подчеркивается, что в рамках ЕАЭС значительное число вопросов вынесено на национальный уровень, что замедляет гармонизацию и унификацию подходов в области обращения высокотехнологичных лекарственных препаратов.

Ключевые слова: международное право, высокотехнологичные лекарственные препараты, генотерапевтические лекарственные препараты, генетические технологии, Европейский союз, Евразийский экономический союз

Финансирование: исследование подготовлено в рамках реализации государственного задания Министерства науки и высшего образования Российской Федерации, реестровый номер 30000Ф.991.БВ16АА01000, тема: «Научно-методическое обеспечение работ по правовому регулированию ускоренного развития генетических технологий».

Для цитирования: Пономарёва, Д.В. (2025). Правовой режим обращения высокотехнологичных лекарственных препаратов: опыт межгосударственных интеграционных объединений. *Lex Genetica*, 4(2), 28–46 (In Russ.). <https://doi.org/10.17803/lexgen-2025-4-2-28-46>

Поступила в редакцию: 10.06.2025

Получена после рецензирования и доработки: 30.06.2025

Принята к публикации: 06.07.2025

Legal Regime for Circulation of High-Tech Medicinal Products: Experience of Interstate Integration Associations

Daria V. Ponomareva✉

Kutafin Moscow State Law University (MSAL), Moscow, Russian Federation

Abstract

The article analyses the experience of key interstate integration associations in relation to regulating the circulation of high-tech (innovative) medicinal products. Trends in the development of supranational regulation in the area under consideration are identified in order to assess its completeness. The relevance of the study is due to the problems faced by both patients and manufacturers of high-tech (innovative) medicinal products: from the patient community's perspective, there

✉Email: dvponomareva@msal.ru

is a problem of access to such expensive drugs, while from the manufacturers' side, it is necessary to simplify the process of bringing such products to market and ensuring their cross-border circulation. In order to identify trends that may contribute to solving the problems identified by patients and manufacturers, the international legal and supranational framework for regulating the circulation of high-tech drugs is analyzed. The experience of international organizations (in particular, the World Health Organization), as well as key interstate integration associations (the European Union, the African Union, the Eurasian Economic Union (EAEU)), is considered in terms of regulating the circulation of high-tech drugs. The fragmentary and sporadic regulation of the circulation of high-tech drugs at the global level is largely due to the significant differentiation of economic, organizational, and infrastructural capabilities of individual states in relation to the production of such products. The most detailed legal regulation of the circulation of high-tech medical products is implemented within the framework of the European Union, which serves as a benchmark for other interstate integration associations (in particular, the African Union and Eurasian Economic Union). While lacking a formal partnership arrangement with EU structures, the Eurasian Economic Union is de facto implementing its approaches. However, the harmonization and unification of approaches in the area of high-tech drug circulation is hampered by the transfer of a significant number of issues within the EAEU to the national level.

Keywords: international law, high-tech drugs, gene therapy drugs, genetic technologies, European Union, Eurasian Economic Union

Funding: The study was conducted within the framework of the project of the Ministry of Science and Higher Education of the Russian Federation, register number 30000F.991.BV16AA01000, "Scientific and methodological support of works on legal regulation of accelerated development of genetic technologies".

To cite this article: Ponomareva, D.V. (2025). Legal Regime for Circulation of High-Tech Medicinal Products: Experience of Interstate Integration Associations. *Lex Genetica*, 4(2), 28–46 (In Russ.). <https://doi.org/10.17803/lexgen-2025-4-2-28-46>

Received: 10.06.2025

Revised: 30.06.2025

Accepted: 06.07.2025

Введение

Своевременное обеспечение пациентов инновационными медикаментами, способными ускорить выздоровление и обеспечить надлежащую реабилитацию, является одной из ключевых задач развития фармацевтической промышленности во всем мире.

В 2023 году в Российской Федерации была принята Стратегия развития фармацевтической промышленности до 2030 года, в которой в качестве основного направления реализации названо, в частности, обеспечение собственных разработок оригинальных

и инновационных лекарственных препаратов и их внедрение в медицинскую практику. Производство такого рода препаратов сегодня является составной частью трансляционной медицины – нового научного направления, призванного сократить и в идеале ликвидировать существующий разрыв между научными изобретениями и повседневной медицинской практикой (Пономарева, Некотенева, 2024). Необходимость разработки лекарственных препаратов генной терапии, относящихся к высокотехнологичным препаратам, отражена в качестве цели Федеральной научно-технической программы развития генетических технологий на 2019–2030 гг., утвержденной постановлением Правительства Российской Федерации от 22 апреля 2019 г. № 479¹.

Инновационные лекарственные препараты используются для повышения качества жизни пациентов, страдающих редкими (орфанными) заболеваниями. Подавляющее большинство орфанных заболеваний являются наследственными (порядка 80 %), поэтому разработка инновационных препаратов лежит в русле развития генетики и биотехнологий (Вильгоненко и др., 2022). В ряде зарубежных государств такие препараты активно регистрируются. Так, по состоянию на 31 декабря 2022 г. в США Управление по борьбе с орфанными заболеваниями (англ. National Organization for Rare Disorders, сокр. NORD) присвоило орфанный статус 6340 лекарственным препаратам, которые лечат 1079 заболеваний (Fermaglich, Miller, 2023). В настоящее время инновационные, высокотехнологичные препараты разрабатываются как крупными фармацевтическими компа-

ниями, так и научными организациями и учреждениями, осуществляющими академические разработки, как правило, для нужд конкретного пациента (Anagnostou et al., 2020). Вместе с тем зачастую производство и вывод на рынок подобных препаратов сопряжены со значительными организационными, инфраструктурными и правовыми барьерами (Гильдеева, Картавцова, 2014). Нередко в государствах отсутствует согласованное нормативное правовое регулирование отношений в рассматриваемой сфере или же оно носит фрагментарный характер, не учитывает подходы, разработанные на глобальном и региональном уровнях (Van Dijke et al., 2018).

Спорадическое регулирование отношений в области обращения высокотехнологичных лекарственных препаратов, используемых, в том числе, для лечения редких (орфанных) заболеваний, характерно для Российской Федерации (Гусев, Юревич, 2023). В целях преодоления указанной проблемы представляется целесообразным проанализировать международные и наднациональные правовые основы регламентации обращения инновационных лекарственных препаратов, а также релевантный опыт зарубежных государств.

Основная часть

Глобальное регулирование

Международно-правовые основы обращения инновационных (высокотехнологичных) лекарственных препаратов разрабатываются в рамках двух специализированных учреждений Организации Объединенных Наций (ООН): Всемирной организации

¹ Постановление Правительства Российской Федерации от 22 апреля 2019 г. № 479 «Об утверждении Федеральной научно-технической программы развития генетических технологий на 2019–2030 годы». Режим доступа: <http://government.ru/docs/36457/>

здравоохранения (ВОЗ) и Организации Объединенных Наций по вопросам образования, науки и культуры (ЮНЕСКО) (Абашидзе, Маличенко, 2020). Тем не менее истоки нормативного правового регулирования в рассматриваемой сфере на глобальном уровне стоит искать в ключевых международных документах о правах человека: Всеобщей декларации прав человека от 10 декабря 1948 г.², Международных пактах о гражданских и политических правах³ и об экономических, социальных и культурных правах от 16 декабря 1966 г.⁴, Конвенции ООН о ликвидации всех форм расовой дискриминации от 21 декабря 1965 г.⁵, Конвенции ООН о правах ребенка от 20 ноября 1989 г.⁶ и др.

Что же касается актов, принимаемых в рамках деятельности ВОЗ и ЮНЕСКО, то необходимо отметить, что они представляют собой документы мягкого права, носящие рекомендательный характер. Однако отсутствие закрепления юридически обязательных норм не означает, что подходы, сформулированные в этих документах, не находят своего отражения в релевантных источниках национального права — внутригосударственное право, как правило, свидетельствует об обратном. Так, такие документы ЮНЕСКО, как Всеобщая декларация о геноме человека и правах человека 1997 года (включая

Руководящие принципы осуществления Всеобщей декларации о геноме человека и правах человека от 16 ноября 1999 года), Международная декларация о геномной информации человека 2003 года, Всеобщая декларация о биоэтике и правах человека 2005 года, Резолюции и решения Экономического и Социального совета Организации Объединенных Наций (о генетической конфиденциальности и недискриминации (2001/39 от 26 июля 2001 г.; 2003/232 от 22 июля 2003 г.; 2004/9 от 16 июля 2004 г.) и другие имплементированы в национальные правовые порядки государств, присоединившихся к ним (Маличенко, 2022).

В рамках ВОЗ интерес представляет Глобальная стратегия и план действий в области общественного здравоохранения, инноваций и интеллектуальной собственности 2008 года (далее — Глобальная стратегия, стратегия)⁷. Её целью является содействие формированию нового мышления в отношении инноваций и доступа к лекарственным средствам, обеспечение среднесрочных рамок для создания более прочной и устойчивой основы проведения научных исследований и разработок в области здравоохранения, относящихся к болезням, которые диспропорционально влияют на развивающиеся страны. Данный доку-

² ООН. (1948, дек. 10). *Всеобщая декларация прав человека*. Режим доступа: https://www.un.org/ru/documents/decl_conv/declarations/declhr.shtml

³ ООН. (1966, дек. 16). *Международный пакт о гражданских и политических правах*. Режим доступа: https://www.un.org/ru/documents/decl_conv/conventions/pactpol.shtml

⁴ ООН. (1966, дек. 16). *Международный пакт об экономических, социальных и культурных правах*. Режим доступа: https://www.un.org/ru/documents/decl_conv/conventions/pactecon.shtml

⁵ ООН. (1965, дек. 21). *Международная конвенция о ликвидации всех форм расовой дискриминации*. Режим доступа: https://www.un.org/ru/documents/decl_conv/conventions/raceconv.shtml

⁶ ООН. (1989, нояб. 20). *Конвенция о правах ребенка*. Режим доступа: https://www.un.org/ru/documents/decl_conv/conventions/childcon.shtml

⁷ Глобальная стратегия и план действий в области общественного здравоохранения, инноваций и интеллектуальной собственности (WHA61.21, 24 мая 2008 года). Режим доступа: https://iris.who.int/bitstream/handle/10665/24525/A61_R21-ru.pdf?sequence=1&isAllowed=y

мент призван с помощью применения гибкого, рекомендательного механизма решить вопрос об обеспечении баланса защиты прав интеллектуальной собственности разработчиков инновационных (высокотехнологичных) лекарственных препаратов и прав пациентов на равный и справедливый доступ к лекарственным препаратам. В частности, Глобальная стратегия призывает государства – участники ВОЗ определить приоритеты в области потребностей в научных исследованиях и разработках, активизировать сотрудничество и улучшение координации научных исследований и разработок в области здравоохранения и биомедицины, содействовать передаче технологии и производства продуктов здравоохранения в развивающихся странах посредством инвестирования средств и создания потенциала и т.д. В целом данный документ направлен на выравнивание возможностей граждан всех государств – участников ВОЗ обращения к достижениям инновационной медицины, включая высокотехнологичные лекарственные препараты. Этот подход является важным для противодействия потенциальным дискриминационным практикам, которые могут возникать вследствие неравного доступа граждан к инновационным лекарственным препаратам, именно поэтому он подлежит имплементации в соответствующие нормативные акты, принимаемые на национальном уровне.

Еще одним знаковым документом в рамках ВОЗ являются Рекомендации по редактированию генома человека в целях улучшения показателей здоровья населения (далее – Рекомендации)⁸. Указанные Реко-

мендации играют значимую роль в части формулирования регуляторных подходов в отношении генной терапии, разработке генотерапевтических лекарственных препаратов. Так, Рекомендации подчеркивают, что ВОЗ должна обеспечить, чтобы клинические испытания с использованием технологий соматического редактирования человеческого генома были рассмотрены и одобрены соответствующим комитетом по этике исследований перед включением в регистры клинических испытаний редактирования человеческого генома; разработать механизм оценки для выявления клинических испытаний с использованием технологий редактирования человеческого генома, которые могут вызывать обоснованное беспокойство; создать экспертный комитет для регулярного мониторинга регистра клинических испытаний и для разработки и пересмотра набора международных стандартов для клинических испытаний, связанных с редактированием человеческого генома и т.д.

Рекомендации предполагают подключение отдельных элементов институционального механизма ВОЗ к решению проблемы формулирования общих регулятивных подходов в отношении редактирования генома человека. Такой институциональный механизм представлен Научным советом ВОЗ, Экспертным консультативным комитетом по разработке глобальных стандартов для управления и надзора за редактированием человеческого генома, а также Департаментом основных лекарственных средств и медицинских изделий ВОЗ. В частности, Научному совету поручено разработать

⁸ WHO. (2021, July 12). *Human genome editing: recommendations*. Available at: <https://www.who.int/publications/item/9789240030381>

механизм многосекторного сотрудничества для конфиденциального сообщения о сомнениях по поводу возможного незаконного, незарегистрированного, неэтичного и небезопасного исследования редактирования человеческого генома и других действий. Данный механизм должен включать: четкую систему отчетности; прозрачный процесс исследований; поддержку и защиту для тех, кто публично высказывается о сомнительном эффекте подобного рода исследований. Предполагается, что именно ВОЗ должна стать первичной площадкой, где государства будут делиться собственным опытом и сомнениями по поводу развития генетических технологий.

На основе положений данных документов впоследствии были сформулированы принципы обеспечения безопасности в сфере трансляционной медицины, в том числе в отношении использования результатов генетических исследований, которыми являются также высокотехнологичные (инновационные) лекарственные препараты.

Региональное регулирование

Европейский союз. Наиболее проработанная система правового регулирования обращения высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов действует в праве Европейского союза. Основой для разработки такой регуляторики служат статьи 114 и 168 Договора о функционировании Европейского союза, посвященные гармонизации законодательств государств — членов ЕС в области построения единого внутреннего рынка и политике Союза в сфере здравоохранения соответственно. Госу-

дарства-члены несут ответственность за разработку политики в сфере охраны здоровья, а также организацию и предоставление услуг здравоохранения и медицинской помощи (Carvalho et al., 2019). Таким образом, в рассматриваемой области ЕС имеет дополнительную компетенцию, которая позволяет ему поддерживать и координировать действия государств. В то же время Союз принимает полноценные нормативные правовые акты в отношении обращения лекарств и медицинских устройств в контексте функционирования внутреннего рынка (Волков, Рыжков, 2013).

Рассматривая высокотехнологичные (инновационные) лекарственные препараты, невозможно не остановиться на общем понятии лекарственного средства (лекарства), которое сформулировано в праве ЕС. Данное понятие определено в Директиве 2001/83/ЕС Европейского парламента и Совета от 6 ноября 2001 г. о кодексе Сообщества, касающемся лекарственных средств для использования человеком⁹. Под лекарственным средством данная Директива понимает «любое вещество или комбинацию веществ, представленные как имеющие свойства для лечения или профилактики заболеваний у людей; или любое вещество или комбинацию веществ, которые могут использоваться или вводиться человеку либо с целью восстановления, исправления или изменения физиологических функций путем оказания фармакологического, иммунологического или метаболического действия, либо для постановки медицинского диагноза»¹⁰. Необходимо отметить, что обращение лекарственных средств на надна-

⁹ 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. *EUR-Lex*. Available at: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A02001L0083-20220101&qid=1681287643499>

¹⁰ Там же.

циональном уровне осуществлялось с 1965 г. в части предоставления разрешения на продажу, классификации и маркировки лекарственных средств. С 1995 г. централизованная оценка препаратов осуществляется Европейским агентством по лекарственным средствам (англ. *European Medicines Agency* (EMA)), что в значительной степени способствует стабильному снабжению лекарственными средствами. Благодаря Регламенту (ЕС) № 726/2004 Европейского парламента и Совета от 31 марта 2004 г.¹¹ на уровне ЕС унифицированы правила выдачи разрешений на продажу лекарств. Впоследствии данные правила были скорректированы путем принятия Регламента (ЕС) 2019/1243 Европейского парламента и Совета от 20 июня 2019 г.¹², который вводит конкретные меры для обеспечения доступности лекарственных средств и управления их дефицитом. После того как лекарственные препараты поступают на рынок, они отслеживаются Европейским агентством по лекарственным средствам на протяжении всего срока их действия в рамках наднациональной системы фармаконадзора, которая регистрирует любые нежелательные последствия приме-

нения лекарственных препаратов в рутинной клинической практике.

Обращение высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов является предметом специального регулирования. На уровне Союза специальные правила предусмотрены для орфанных лекарственных средств, применяемых для лечения редких заболеваний, лекарств для детей, а также лекарственных средств передовой терапии. Лекарственные средства для передовой терапии – это относительно новый вид фармацевтического препарата, основанный на достижениях в области клеточной и молекулярной биотехнологии и новых методах лечения, включая генную терапию, клеточную терапию и тканевую инженерию. Они представляют собой сложные медицинские продукты фармакологического, иммунологического или метаболического действия и не рассматриваются в качестве обычных лекарственных средств, как это следует из Регламента (ЕС) №1394/2007¹³ и Директивы 2009/120/EC¹⁴. В частности, Директива 2009/120/EC определяет условия и требования в отношении получения регистрационного удостоверения для лекарственных средств передовой

¹¹ Regulation (EC) No 726/2004 of the European Parliament and of the Council of 31 March 2004 laying down Union procedures for the authorisation and supervision of medicinal products for human use and establishing a European Medicines Agency. *EUR-Lex*. Available at: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A02004R0726-20220128>

¹² Regulation (EU) 2019/1243 of the European Parliament and of the Council of 20 June 2019 adapting a number of legal acts providing for the use of the regulatory procedure with scrutiny to Articles 290 and 291 of the Treaty on the Functioning of the European Union. (2019). *Official Journal of the European Union*, L 198/241. Available at: <https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2019/1243/oj>

¹³ Regulation (EC) No 1394/2007 of the European Parliament and of the Council of 13 November 2007 on advanced therapy medicinal products and amending Directive 2001/83/EC and Regulation (EC) No 726/2004. (2007). *Official Journal of the European Union*, L 324/121. Available at: <https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2007/1394/oj/eng>

¹⁴ Commission Directive 2009/120/EC of 14 September 2009 amending Directive 2001/83/EC of the European Parliament and of the Council on the Community code relating to medicinal products for human use as regards advanced therapy medicinal products. (2009). *Official Journal of the European Union*, L 242/3. Available at: <https://eur-lex.europa.eu/eli/dir/2009/120/oj/eng>

терапии, детально формулирует определения понятий «лекарственное средство генной терапии», «лекарственное средство сомато-клеточной терапии», их ключевые характеристики, в том числе исходного материала, а также требования к производственному процессу. Причем требования сформулированы как в целом ко всем лекарственным средствам передовой терапии, так и применительно к отдельным их разновидностям, подчеркивая дифференциацию условий и критериев безопасности и качества в отношении каждого вида препаратов.

Резолюцией от 24 апреля 2024 г. Европейский парламент утвердил инициативу о принятии нового регламента о стандартах качества и безопасности для веществ человеческого происхождения, предназначенных для применения¹⁵. Таким образом, законодательство в области обращения высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов продолжает совершенствоваться.

Нормативным изменениям сопутствуют изменения институциональные. Так, в рамках Европейского агентства по лекарственным средствам учрежден Комитет по передовым методам лечения (англ. *Committee for Advanced Therapies* (CAT) для оценки качества, безопасности и эффективности лекарственных препаратов передовой терапии, а также для отслеживания научных разработок в этой новой области биомеди-

цины, которая имеет огромный потенциал для лечения пациентов и развития фармацевтической промышленности. Основная обязанность комитета — подготовить проект заключения по каждой заявке на регистрацию лекарственного средства передовой терапии, поданной в Европейское агентство по лекарственным средствам, прежде чем Комитет по лекарственным средствам для человека (англ. *Committee for Medicinal Products for Human Use* (CHMP)) примет окончательное заключение по регистрационному удостоверению соответствующего лекарственного средства. По запросу исполнительного директора Европейского агентства по лекарственным средствам или Европейской комиссии Комитет по передовым методам лечения также может составить заключение по любому научному вопросу, касающемуся лекарственных средств передовой терапии.

К высокотехнологичным (инновационным) лекарственным препаратам относят также орфанные лекарственные препараты. В соответствии с законодательством Европейского союза к орфанным (редким) заболеваниям относятся те, которые поражают не более 5 из 10 000 человек. Правила обозначения таких препаратов, стимулирование их производства определяются в Регламенте (ЕС) № 141/2000 Европейского парламента и Совета от 16 декабря 1999 г. о лекарственных средствах для лечения редких заболеваний¹⁶. Принятие данно-

¹⁵ *Standards of quality and safety for substances of human origin intended for human application*. European Parliament legislative resolution of 24 April 2024 on the proposal for a regulation of the European Parliament and of the Council on standards of quality and safety for substances of human origin intended for human application and repealing Directives 2002/98/EC and 2004/23/EC (COM(2022)0338—C9-0226/2022 — 2022/0216(COD)). Available at: [https://www.europarl.europa.eu/RegData/seance_pleniере/textes_adoptes/definitif/2024/04-24/0353/P9_TA\(2024\)0353_EN.pdf](https://www.europarl.europa.eu/RegData/seance_pleniере/textes_adoptes/definitif/2024/04-24/0353/P9_TA(2024)0353_EN.pdf)

¹⁶ Regulation (EC) No 141/2000 of the European Parliament and of the Council of 16 December 1999 on orphan medicinal products. (2000). *Official Journal of the European Union*, L 018. Available at: <https://eur-lex.europa.eu/eli/reg/2000/141/oj>

го Регламента обусловлено, в частности, тем, что из-за сравнительно небольшого числа людей, страдающих редкими заболеваниями, исследования в этой области не очень привлекательны с экономической точки зрения. В дополнение к данному инструменту ЕС запустил Инициативу по инновационным лекарственным средствам¹⁷, чтобы побудить фармацевтическую промышленность разрабатывать именно орфанные препараты. Данная Инициатива представляет собой государственно-частное партнерство ЕС и отраслевых ассоциаций, представляющих секторы, задействованные в здравоохранении. Через механизм государственно-частного партнерства осуществляется финансирование медицинских исследований и инновации в сфере здравоохранения.

Стимулированию производства инновационных препаратов для лечения редких заболеваний способствует, в том числе, детализация унифицированного правового регулирования в отношении обозначения препаратов в качестве орфанных. В ноябре 2022 г. Европейская комиссия опубликовала Руководство по уведомлению о формате и содержании заявок на обозначение в качестве орфанных лекарственных препаратов и о передаче обозначений от одного спонсора другому¹⁸. Учитывая, что редкие заболевания являются всемир-

ной проблемой, Европейское агентство по лекарственным средствам широко сотрудничает с международными организациями (прежде всего ВОЗ) для обозначения и оценки орфанных лекарственных препаратов.

Европейский союз постоянно стремится внедрять инициативы по содействию исследованиям и инновациям в фармацевтическом секторе. Программы рамочных исследований всегда поддерживали инициативы, связанные со здравоохранением. Текущая программа финансирования исследований и инноваций *Horizon Europe*¹⁹ содействует исследованиям, связанным со здравоохранением, и реагирует на текущие проблемы, затрагивая такие аспекты, как здоровье на протяжении всей жизни, экологические и социальные детерминанты здоровья, психическое здоровье, неинфекционные и редкие заболевания, инфекционные заболевания, инструменты, технологии и цифровые решения для здравоохранения и реабилитации, а также системы здравоохранения.

К другим программам, действующим в рамках ЕС и направленным на финансирование проектов в области инноваций в сфере здравоохранения, относится программа *EU4Health 2021–2027*²⁰, которая была принята для повышения готовности к кризисам. Кроме того, в рамках ЕС финансирует Европейский социальный фонд

¹⁷ *Innovative Health Initiative*. Available at: <https://www.ihl.europa.eu/>

¹⁸ Commission Notice Guideline on the format and content of applications for designation as orphan medicinal products and on the transfer of designations from one sponsor to another 2022/C 440/02. (2022). *Official Journal of the European Union*, L 440/2. Available at: https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=uriserv:OJ.C_.2022.440.01.0002.01.ENG

¹⁹ European Commission. *Horizon Europe. Cluster 1: Health Policy, strategy, how to apply and work programmes*. Available at: https://research-and-innovation.ec.europa.eu/funding/funding-opportunities/funding-programmes-and-open-calls/horizon-europe/cluster-1-health_en

²⁰ European Commission. *EU4Health programme 2021–2027 – a vision for a healthier European Union*. Available at: https://health.ec.europa.eu/funding/eu4health-programme-2021-2027-vision-healthier-european-union_en

*Plus 2021–2027*²¹, деятельность которого направлена на поддержание равного доступа к здравоохранению. Проблема обеспечения доступа к лекарственным препаратам, включая лекарственные препараты передовой терапии, является ключевой не только для Европейского союза, но и для глобальных международных организаций, включая ВОЗ. Результаты исследований демонстрируют различия в продажах инновационных лекарственных препаратов между различными государствами-членами, что объясняется экономическим неравенством, а также различиями в уровне инфраструктуры здравоохранения. Данная проблема также усугубляется экономическим кризисом. В связи с этим Европейский парламент, обеспокоенный обозначенной ситуацией, опубликовал несколько собственных инициативных отчетов о доступе к лекарствам. В 2017 г. Парламент принял резолюцию о вариантах улучшения доступа к лекарствам²². Доступ к инновационным лекарственным препаратам по разумным ценам остается приоритетом и для Европейской комиссии, как подчеркивается в Фармацевтической стратегии 2020 г.²³

В рамках Европейского агентства по лекарственным средствам функционирует це-

левая группа по доступности разрешенных лекарственных средств для использования человеком и ветеринарией. Данная целевая группа обеспечивает стратегические и структурные решения для устранения перебоев в поставках лекарственных средств и обеспечения их постоянной доступности в ЕС. Структуры и процессы, сформированные Европейским агентством по лекарственным средствам для решения проблемы нехватки лекарственных средств в соответствии с Регламентом (ЕС) 2022/123 об усилении роли Европейского агентства по лекарственным средствам²⁴, в первую очередь сосредоточены на деятельности, связанной с кризисными ситуациями. Помимо вышеобозначенных документов и структур, для решения проблемы доступности лекарственных препаратов (включая инновационные лекарственные препараты) в кризисных ситуациях в Союзе действует Руководство по выявлению и уведомлению о нехватке лекарственных средств для держателей регистрационных удостоверений в Союзе²⁵. Указанное Руководство имеет особую ценность, поскольку в нем представлен гармонизированный подход к отчетности и управлению дефицитом, а также сформулировано

²¹ European Commission. *European Social Fund Plus*. Available at: <https://european-social-fund-plus.ec.europa.eu/en>

²² European Parliament resolution of 2 March 2017 on EU options for improving access to medicines (2016/2057(INI)). (2018). *Official Journal of the European Union*, C 263/4. Available at: https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=uriserv:OJ.C_.2018.263.01.0004.01.ENC

²³ European Commission. Communication from the Commission to the European Parliament, the Council, the European Economic and Social Committee and the Committee of the Regions Pharmaceutical Strategy for Europe. *EUR-Lex*. Available at: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX:52020DC0761>

²⁴ Regulation (EU) 2022/123 of the European Parliament and of the Council of 25 January 2022 on a reinforced role for the European Medicines Agency in crisis preparedness and management for medicinal products and medical devices. (2022). *Official Journal of the European Union*, L 20/1. Available at: <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=CELEX%3A32022R0123>

²⁵ European Medicines Agency. (2019, July 1). *Guidance on detection and notification of shortages of medicinal products for Marketing Authorisation Holders (MAHs) in the Union (EEA)*. Available at: https://www.ema.europa.eu/en/documents/regulatory-procedural-guideline/guidance-detection-and-notification-shortages-medicinal-products-marketing-authorisation-holders-mahs-union-eea_en.pdf

понятие дефицита (нехватки) лекарственных препаратов. Руководство содержит рекомендации по облегчению обнаружения и сообщения держателями регистрационных удостоверений компетентным органам о возможном дефиците препаратов (включая инновационные препараты). Ранее уведомление компетентных органов является ключевым аспектом в предотвращении или смягчении дефицита, предоставляя достаточно времени для принятия чрезвычайных мер в случае необходимости.

Как видим, в рамках Европейского союза детально определены основы обращения высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов, включая такие их разновидности, как орфанные препараты, осуществлено разграничение вопросов, отнесенных к ведению Союза и государств-членов, сформулированы подходы к обеспечению доступности препаратов (включая высокотехнологичные лекарственные препараты, прежде всего генотерапевтические препараты и лекарства сомато-клеточной терапии), преодолению их нехватки в случае кризисных ситуаций. Вместе с тем за пределами функционирования внутреннего рынка, а также вопросов обеспечения безопасности при производстве лекарственных препаратов у государств-членов остается определенная свобода усмотрения в рассматриваемой сфере, что подтверждается значительным числом релевантных директив, нуждающихся в имплементации в национальное право.

Африканский союз. Развитие правового регулирования в области обращения высокотехнологичных (инновационных)

лекарственных препаратов в рамках Африканского союза осуществляется по траектории, заданной ЕС. При этом в настоящее время Африканский союз в большей степени сконцентрирован на учреждении институционального механизма, обеспечивающего контроль за обращением лекарственных препаратов. Во многом такое институциональное развитие предопределяется непосредственным сотрудничеством с Союзом. Так, Европейское агентство по лекарственным средствам применяет свой уникальный опыт координации внутрирегионального регулирования обращения лекарственных средств для поддержки укрепления африканской сети регулирования. Оно получило грант в размере десяти миллионов евро от Европейской комиссии на поддержку систем регулирования на национальном и региональном уровнях в Африке и, в частности, на создание Африканского агентства по лекарственным средствам в сотрудничестве с африканскими, европейскими и международными акторами. Европейское агентство по лекарственным средствам взяло на себя обязательство привлечь экспертов для поддержки учреждения соответствующего африканского агентства, его технических комитетов и механизмов для целей организации управления, а также налаживания научных и административных процессов²⁶.

Европейское агентство по лекарственным средствам также предложит обучение для укрепления научной и нормативной экспертизы в оценке и надзоре за лекарственными средствами совместно с экспертами из государств – членов Европейского союза (Ncube et al., 2021).

²⁶ Фармпром. (2024, Янв. 30). ЕМА поддержит создание Африканского агентства по лекарственным средствам. Режим доступа: <https://pharmprom.ru/ema-podderzhit-sozdanie-afrikanskogo-agentstva-po-lekarstvennym-sredstvam/>

Кроме того, ЕС выделил грант на реализацию инициативы по гармонизации регулирования лекарственных средств в Африке для поддержки пилотного проекта по тестированию процедур совместной континентальной оценки лекарственных средств в Африке. В ходе пилотного проекта Технический комитет по оценке лекарственных средств будет оценивать качество, безопасность и эффективность приоритетных лекарственных средств при поддержке континентального Технического комитета по надлежащей производственной практике. Полученные в ходе оценок знания помогут: разрабатывать континентальные процессы и процедуры; содействовать национальной авторизации рекомендуемых лекарств; усилить обмен информацией и повысить ее надежность.

В 2019 г. Ассамблея Африканского союза приняла договор о создании Африканского агентства по лекарственным средствам для усиления нормативного надзора на всем континенте и решения проблем доступа к качественным, безопасным и эффективным лекарственным средствам на континенте. Целью учреждения Агентства является предоставление жителям Африки доступа к основным медицинским продуктам и технологиям. Агентство поддерживает рост местного фармацевтического производства, что является ключевой целью Плана фармацевтического производства для Африки, а также играет важную роль в стимулировании торговли в поддержку Африканской континентальной зоны свободной торговли. В полномочия Агентства также входит оценка медицинских изделий для лечения приоритетных заболеваний, определенных Африканским союзом, регулярная проверка, координация и обмен информацией о про-

дуктах, разрешенных к продаже. Агентство координирует совместные обзоры клинических испытаний вакцин и совместные инспекции производственных площадок активных фармацевтических ингредиентов. Оно осуществляет сотрудничество с региональными экономическими сообществами и национальными органами по регулированию оборота лекарственных средств в части выявления некачественных и фальсифицированных медицинских изделий и содействия обмену информацией между государствами.

Необходимо отметить, что релевантное регулирование на уровне Африканского союза только начинает формироваться. В настоящее время во многих африканских государствах отсутствуют национальные руководства, определяющие требования к производству высокотехнологичных (инновационных) препаратов, в частности актуальных для Африки препаратов генной терапии. Это представляет собой проблему в части обеспечения надлежащего этического и нормативного надзора за испытаниями лекарственных средств сомато-клеточной терапии. В Южно-Африканской Республике действующие регулирующие механизмы противоречивы и неоднозначны, а участие нескольких национальных учреждений в процедуре получения соответствующих разрешений представляет проблему для создания эффективно функционирующей системы обращения высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов. Вместе с тем такого рода пробелы представляют собой уникальную возможность для создания гармонизированных и всеобъемлющих этических и нормативных основ для испытаний высокотехнологичных лекарственных препаратов на африканском континен-

те. Безусловно, такие гармонизированные основы должны соответствовать международным правилам, включая требования к производству или одобрению препаратов генной терапии в Африке. Разработка таких всеобъемлющих руководств потребует скоординированных усилий с участием африканских национальных органов регулирования медицины, научно-исследовательских институтов здравоохранения, комитетов по этике исследований, фармацевтических компаний, организаций пациентов (Marks, Cottlieb, 2018).

Евразийский экономический союз.

На уровне Евразийского экономического союза формируется достаточно динамичная система нормативного правового регулирования обращения высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов (Заремба, Рычихина, 2023). В настоящее время в рамках ЕАЭС действует около 70 нормативных актов в области обращения лекарственных средств. Они затрагивают все этапы жизненного цикла лекарственных препаратов и охватывают следующие направления: совершенствование действующих нормативных актов путем внесения в них изменений (в частности, были внесены изменения в Решение Совета Евразийской экономической комиссии от 3 ноября 2016 г. № 87 «Об утверждении Правил надлежащей практики фармаконадзора Евразийского эконо-

номического союза»²⁷, Решение Совета Евразийской экономической комиссии от 3 ноября 2016 г. № 78 «О Правилах регистрации и экспертизы лекарственных средств для медицинского применения» (далее – Решение № 78)²⁸, Решение Совета Евразийской экономической комиссии от 3 ноября 2016 г. № 85 «Об утверждении Правил проведения исследований биоэквивалентности лекарственных препаратов в рамках Евразийского экономического союза»²⁹); разработка новых нормативных правовых актов в сфере обращения инновационных лекарственных средств (генотерапевтических препаратов, препаратов клеточной терапии, тканево-инженерных препаратов); выбор референтных препаратов для проведения клинических исследований и оценки значимости лекарств в контексте проведения специальных процедур регистрации; подготовка правил проведения фармацевтических инспекций по надлежащим практикам в сферах фармаконадзора, лабораторной и клинической практик (Ворона, Губина, 2022).

Достижением евразийского нормативного правового регулирования в области обращения высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов является уточнение понятийного аппарата в обозначенной сфере общественных отношений. Так, в Решении № 78 получило закрепление определение понятия

²⁷ Решение Совета Евразийской экономической комиссии от 03 ноября 2016 г. № 87 «Об утверждении Правил надлежащей практики фармаконадзора Евразийского экономического союза». Режим доступа: <https://docs.eaeunion.org/documents/306/2594/>.

²⁸ Решение Совета Евразийской экономической комиссии от 03 ноября 2016 г. № 78 «О Правилах регистрации и экспертизы лекарственных средств для медицинского применения». Режим доступа: <https://docs.eaeunion.org/documents/306/2601/>.

²⁹ Решение Совета Евразийской экономической комиссии от 03 ноября 2016 г. № 85 «Об утверждении Правил проведения исследований биоэквивалентности лекарственных препаратов в рамках Евразийского экономического союза». Режим доступа: <https://docs.eaeunion.org/documents/306/2592/>.

«высокотехнологичные лекарственные препараты». К ним относятся следующие препараты медицинского применения: генотерапевтические лекарственные препараты, лекарственные препараты на основе соматических клеток, тканеинженерные лекарственные препараты (препараты тканевой инженерии). При этом в отношении каждого вида высокотехнологичного лекарственного препарата определены их нормативные характеристики. В частности, под генотерапевтическим лекарственным препаратом понимают биологический лекарственный препарат:

а) включающий активное вещество, содержащее рекомбинантную нуклеиновую кислоту или состоящее из нее, используемую или вводимую человеку с целью регулирования, восстановления, замены, добавления или удаления генетической последовательности;

б) терапевтический, профилактический или диагностический эффекты которого напрямую обусловлены последовательностью рекомбинантной нуклеиновой кислоты, которую он содержит, или с продуктом генетической экспрессии этой последовательности.

Особо подчеркивается, что генотерапевтические лекарственные препараты не включают в себя вакцины против инфекционных заболеваний³⁰.

Решение № 78 также предусматривает особые унифицированные требования к регистрационному досье таких препаратов. Учитывая специфику высокотехнологичных лекарственных препаратов, особую сферу их приме-

нения, евразийский законодатель предложил применять подход, основанный на анализе риска для определения объема необходимых сведений и требований к качеству, доклиническому и клиническому изучению, для их включения в регистрационное досье. Предполагается, что такие требования должны быть разработаны на наднациональном уровне (в рамках руководств ЕАЭС). При отсутствии таких требований необходимо руководствоваться соответствующими актами государств – членов ЕАЭС.

Государства – члены ЕАЭС должны имплементировать соответствующие положения актов Союза в свое национальное законодательство. В частности, в Российской Федерации были внесены изменения в Федеральный закон от 12 апреля 2010 года № 61-ФЗ «Об обращении лекарственных средств»³¹: включено определение высокотехнологичных лекарственных препаратов в формулировке Решения № 78, дополнен перечень сведений, подлежащих включению в государственный реестр лекарственных средств, внесены положения об условиях ввоза в Российскую Федерацию зарегистрированных орфанных и (или) высокотехнологичных лекарственных препаратов, что в значительной степени упростило доступ к таким препаратам со стороны пациентов. В целом в данной сфере основной массив нормативных актов предполагается к принятию именно на национальном уровне, что впоследствии потребует усилий со стороны государств – членов ЕАЭС по гармонизации соответствующих регуляторных подходов (Николаева, 2021).

³⁰ Решение Совета Евразийской экономической комиссии от 03 ноября 2016 г. № 78 «О Правилах регистрации и экспертизы лекарственных средств для медицинского применения». Режим доступа: <https://docs.eaeunion.org/documents/306/2601/>

³¹ Федеральный закон от 12 апреля 2010 года № 61-ФЗ «Об обращении лекарственных средств». Режим доступа: <http://www.kremlin.ru/acts/bank/30941>

Еще одним значимым актом в рассматриваемой сфере является Решение Совета Евразийской экономической комиссии от 3 ноября 2016 г. № 89 «Об утверждении Правил проведения исследований биологических лекарственных средств Евразийского экономического союза» (далее — Решение № 89)³². Данный документ по своей сути отражает подходы, сформулированные в международных рекомендациях ВОЗ, Международной конференции гармонизации технических требований при регистрации лекарственных препаратов по медицинскому применению, в целях создания и поддержания системы взаимного признания результатов фармацевтических и биологических испытаний, доклинических и клинических исследований биологических лекарственных препаратов для их дальнейшей регистрации. При этом данный документ не заменяет собой международные правила и стандарты, а лишь дополняет их, что подчеркивается в самом Решении № 89. В нем предусмотрены требования к клеточным субстратам, используемым при производстве биотехнологических (биологических) лекарственных препаратов, оценке их вирусной безопасности, требования к производству и контролю качества, отдельно сформулированы указания к объему клинической разработки CAR-T-клеток.

В настоящее время на уровне Евразийского экономического союза продолжается работа по совершенствованию нормативного правового регулирования обращения высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов. Концептуально такое регулирование направлено в первую очередь на обеспечение доступа к таким препаратам, а также упрощение их трансгранич-

ного оборота. На сегодняшний день к таким уже реализованным инициативам, дебюкратизирующим обращение высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов, относят, в частности, упрощение системы маркировки таких препаратов. Так, сокращен объем наносимой на упаковку информации, предоставлена возможность нанесения информации о препарате на иностранном языке с дополнительным стикерованием на национальном языке государств — членов ЕАЭС. Тем не менее многие инициативы предполагаются к реализации на внутригосударственном уровне.

Выводы

Исследование опыта международных организаций, в особенности межгосударственных интеграционных объединений, в отношении регулирования обращения высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов позволяет сделать ряд выводов:

1. На глобальном уровне регламентация обращения высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов носит фрагментарный характер, что во многом связано с дифференциацией экономических, организационных, инфраструктурных возможностей отдельных государств применительно к производству подобного рода препаратов. Такая дифференциация обоснованно усложняет разработку унифицирующих подходов в рассматриваемой сфере, поэтому на глобальном уровне преимущественно принимаются документы стратегического характера или акты, обуславливающие возникновение специализированных

³² Решение Совета Евразийской экономической комиссии от 03 ноября 2016 г. № 89 «Об утверждении Правил проведения исследований биологических лекарственных средств Евразийского экономического союза». Режим доступа: <http://www.kremlin.ru/acts/bank/30941>

структур, ответственных за координацию действий государств в части производства и вывода на рынок высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов.

2. Наиболее детальное нормативное правовое регулирование обращения высокотехнологичных лекарственных препаратов осуществлено в рамках Европейского союза. Обращение таких препаратов осуществляется в контексте единого внутреннего рынка ЕС, нормативные основы функционирования которого были сформулированы еще на заре существования Европейских сообществ (50–60-е гг. XX в.). На уровне ЕС разработан наднациональный понятийный аппарат, условия доступа высокотехнологичных препаратов на рынок, требования к регистрационному досье и производственному процессу. В рамках Европейского союза также действуют программы (в том числе в формате государственно-частного партнерства), которые направлены на финансирование проектов в области разработки инновационных лекарственных препаратов. Отдельно Союз обращает внимание на проблемы обеспечения доступности такого рода лекарственных препаратов, а также предлагает конкретный механизм по преодолению дефицита лекарственных средств, включая высокотехнологичные (инновационные) лекарственные препараты. За пределами функционирования

внутреннего рынка, а также вопросов обеспечения безопасности при производстве лекарственных препаратов, у государств-членов остается определенная свобода усмотрения в рассматриваемой сфере, что подтверждается значительным числом релевантных директив, нуждающихся в имплементации в национальное право.

3. Ряд межгосударственных интеграционных объединений заимствует подходы и практики Европейского союза в части регулирования обращения высокотехнологичных (инновационных) лекарственных препаратов. Например, Африканский союз в партнерстве с Европейским агентством по лекарственным средствам в настоящее время разрабатывает соответствующее нормативное регулирование. Евразийский экономический союз, не находясь в партнерских отношениях со структурами ЕС, фактически имплементирует его подходы (что даже находит подтверждение в преамбулах отдельных нормативных документов ЕАЭС, в частности в Решении № 89). Вместе с тем регулирование в рассматриваемой сфере в ЕАЭС фрагментарно и предполагает вынесение значительного числа вопросов на национальный уровень, что замедляет гармонизацию и унификацию подходов в области обращения высокотехнологичных лекарственных препаратов.

СПИСОК ЛИТЕРАТУРЫ

- Абашидзе, А.Х., Маличенко, В.С. (2020). Особенности регулирования обращения орфанных лекарственных препаратов в разных регионах мира. *Вестник Университета имени О.Е. Кутафина (МГЮА)*, (5), 26–41. <https://doi.org/10.17803/2311-5998.2020.69.5.026-041>
- Вильгоненко, И.М., Слепенко, Ю.Н., Станкевич, Г.В. (2022). Государственное регулирование оборота лекарственных средств на потребительском рынке Российской Федерации. *Московский юридический журнал*, (4), 83–93. <https://doi.org/10.18384/2310-6794-2022-4-83-93>
- Волков, А.К., Рыжков, А.А. (2013). Влияние права Европейского союза на регулирование национальных рынков фармацевтических средств государств-членов. *Право. Журнал Высшей школы экономики*, (2), 116–133.

- Ворона, А.А., Губина, М.А. (2022). Фармацевтический рынок ЕАЭС: тенденции и перспективы развития. *Евразийская интеграция: экономика, право, политика*, (4), 43–54. <https://doi.org/10.22394/2073-2929-2022-04-43-54>
- Гильдеева, Г.Н., Картавцова Т.В. (2014). Правовое регулирование жизненного цикла орфанных препаратов. *Проблемы социальной гигиены, здравоохранения и истории медицины*, 22(3), 37–42.
- Гусев, А.Б., Юревич, М.А. (2023). Фармацевтический суверенитет России: проблемы и пути достижения. *Terra Economicus*, 21(3), 17–31. <https://doi.org/10.18522/2073-6606-2023-21-3-17-31>
- Заремба, А.Г., Рычихина, Е.М. (2023). Соотнесение норм национального права и права ЕАЭС в сфере регулирования обращения лекарственных средств до и после 1 января 2026 года. *Регуляторные исследования и экспертиза лекарственных средств*, 13(4), 586–600. <https://doi.org/10.30895/1991-2919-2023-13-4-586-600>
- Маличенко, В.С. (2022). Международно-правовое регулирование доступа к технологиям здравоохранения в деятельности специализированных учреждений ООН. *Вопросы российского и международного права*, 12(5A), 400–407.
- Николаева, А.В. (2021). Единый рынок лекарственных средств ЕАЭС: проблемы и перспективы. *Международный журнал гуманитарных и естественных наук*, 2-2(53), 183–185.
- Пономарёва, Д.В., Некотенева, М.В. (2024). Медицина в цифровую эпоху: правовые аспекты применения клеточной и генной терапии в зарубежных государствах. *Актуальные проблемы российского права*, 19(7), 122–137. <https://doi.org/10.17803/1994-1471.2024.164.7.122-137>
- Anagnostou, T., Riaz, I. B., Hashmi, S.K., Murad, M.H., Kenderian, S.S. (2020). Anti-CD19 chimeric antigen receptor T-cell therapy in acute lymphocytic leukaemia: a systematic review and meta-analysis. *The Lancet Haematology*, 7(11), e816–e826. [https://doi.org/10.1016/S2352-3026\(20\)30277-5](https://doi.org/10.1016/S2352-3026(20)30277-5)
- Carvalho, M., Martins, A.P., Sepodes, B. (2019). Hurdles in gene therapy regulatory approval: a retrospective analysis of European Marketing Authorization Applications. *Drug Discovery Today*, 24(3), 823–828. <https://doi.org/10.1016/j.drudis.2018.12.007>
- Fermaglich, L.J., Miller, K.L. (2023). A comprehensive study of the rare diseases and conditions targeted by orphan drug designations and approvals over the forty years of the Orphan Drug Act. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 18(1), 163–169. <https://doi.org/10.1186/s13023-023-02790-7>
- Marks, P., Gottlieb, S. (2018). Balancing safety and innovation for cell-based regenerative medicine. *New England Journal of Medicine*, 378(10), 954–959. <https://doi.org/10.1056/NEJMs1715626>
- Ncube, B.M., Dube, A., Ward, K. (2021). Establishment of the African Medicines Agency: progress, challenges and regulatory readiness. *Journal of pharmaceutical policy and practice*, 14(1), 29–33. <https://doi.org/10.1186/s40545-020-00281-9>
- Van Dijke, I., Bosch, L., Bredenoord, A.L., Cornel, M., Repping, S., Hendriks, S. (2018). The ethics of clinical applications of germline genome modification: a systematic review of reasons. *Human Reproduction*, 33(9), 1777–1796. <https://doi.org/10.1093/humrep/dey257>

REFERENCES

- Abashidze, A.Kh., Malichenko, V.S (2020). Orphan drug regulation in various regions of the world. *Courier of Kutafin Moscow State Law University (MSAL)*, (5), 26–41. (In Russ.). <https://doi.org/10.17803/2311-5998.2020.69.5.026-041>
- Anagnostou, T., Riaz, I.B., Hashmi, S.K., Murad, M.H., Kenderian, S.S. (2020). Anti-CD19 chimeric antigen receptor T-cell therapy in acute lymphocytic leukaemia: a systematic review and meta-analysis. *The Lancet Haematology*, 7(11), e816–e826. [https://doi.org/10.1016/S2352-3026\(20\)30277-5](https://doi.org/10.1016/S2352-3026(20)30277-5)
- Carvalho, M., Martins, A.P., Sepodes, B. (2019). Hurdles in gene therapy regulatory approval: a retrospective analysis of European Marketing Authorization Applications. *Drug Discovery Today*, 24(3), 823–828. <https://doi.org/10.1016/j.drudis.2018.12.007>

- Fermaglich, L.J., Miller, K.L. (2023). A comprehensive study of the rare diseases and conditions targeted by orphan drug designations and approvals over the forty years of the Orphan Drug Act. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 18(1), 163–169. <https://doi.org/10.1186/s13023-023-02790-7>
- Gildeeva, G.N., Kartavtsova T.V. (2014). Legal regulation of the life cycle of orphan drugs. *Problems of Social Hygiene, Public Health and History of Medicine*, 22(3), 37–42. (In Russ.).
- Gusev, A.B., Yurevich, M.A. (2023). The sovereignty of Russia in the area of pharmaceuticals: challenges and opportunities. *Terra Economicus*, 21(3), 17–31. (In Russ.). <https://doi.org/10.18522/2073-6606-2023-21-3-17-31>
- Malichenko, V.S. (2022). International legal regulation of access to health technologies in the activities of specialized UN agencies. *Issues of Russian and International Law*, 12(5A), 400–407. (In Russ.).
- Marks, P., Gottlieb, S. (2018). Balancing safety and innovation for cell-based regenerative medicine. *New England Journal of Medicine*, 378(10), 954–959. <https://doi.org/10.1056/NEJMs1715626>
- Ncube, B.M., Dube, A., Ward, K. (2021). Establishment of the African Medicines Agency: progress, challenges and regulatory readiness. *Journal of Pharmaceutical Policy and Practice*, 14(1), 29–33. <https://doi.org/10.1186/s40545-020-00281-9>
- Nikolaeva, A.V. (2021). The single market of medicines of the EAEU: problems and prospects. *International Journal of Humanities and Natural Sciences*, 2-2(53), 183–185. (In Russ.).
- Ponomareva, D.V., Nekoteneva, M.V. (2024). Medicine in the Digital Era: Legal Aspects of the Use of Cell and Gene Therapy in Foreign Countries. *Actual Problems of Russian Law*, 19(7), 122–137. (In Russ.). <https://doi.org/10.17803/1994-1471.2024.164.7.122-137>
- Van Dijke, I., Bosch, L., Bredenoord, A. L., Cornel, M., Repping, S., Hendriks, S. (2018). The ethics of clinical applications of germline genome modification: a systematic review of reasons. *Human Reproduction*, 33(9), 1777–1796. <https://doi.org/10.1093/humrep/dey257>
- Vilgonenko, I.M., Slepёnok, Yu.N., Stankevich, G.V. (2022). State regulation of circulation of medicines in the consumer market of the Russian Federation. *Moscow Juridical Journal*, (4), 83–93. (In Russ.). <https://doi.org/10.18384/2310-6794-2022-4-83-93>
- Volkov, A.K., Ryzhkov, A.A. (2013). The influence of European Union law on the regulation of national pharmaceutical markets of Member States. *Law. Journal of the Higher School of Economics*, (2), 116–133. (In Russ.).
- Vorona, A.A., Gubina, M.A. (2022). Pharmaceutical market of the EAEU: trends and development prospects. *Eurasian Integration: Economics, Law, Politics*, (4), 43–54. (In Russ.). <https://doi.org/10.22394/2073-2929-2022-04-43-54>
- Zaremba, A.G., Rychikhina, E.M. (2023). Analysis of the Provisions of National and EAEU Legislation Regulating Pharmaceuticals before and after 1 January 2026. *Bulletin of the Scientific Center for Expertise of Medical Products. Regulatory Research and Medicine Evaluation*, (4), 586–600. (In Russ.). <https://doi.org/10.30895/1991-2919-2023-13-4-586-600>

ИНФОРМАЦИЯ ОБ АВТОРЕ:

Дарья В. Пономарёва, кандидат юридических наук, доцент, заместитель заведующего кафедрой практической юриспруденции, Университет имени О.Е. Кутафина (МГЮА), Москва, Российская Федерация

INFORMATION ABOUT THE AUTHOR:

Daria V. Ponomareva, Candidate of Science (Law), Associate Professor, Deputy Head of the Department of Legal Practice, Kutafin Moscow State Law University (MSAL), Moscow, Russian Federation