## Экспертное заключение № 2023-Лаб-2022-35-1-001 по результатам оценки научных и научно-технических результатов НИР, достигнутых в рамках реализации проектов и мероприятий ГП НТР в сфере медицинских наук

## І. Общие сведения о проекте

Номер проекта: Лаб-2022-35

Наименование тематики: Создание прототипа генотерапии гемофилии Б на базе

аденоассоциированных векторов.

Код-шифр тематики: FSMG-2022-0022

Наименование исполнителя: федеральное государственное автономное образовательное

учреждение высшего образования "Московский физико-технический институт

(национальный исследовательский университет)"

## **II.** Оценка результатов проектов

Вид результата: Новые знания о предмете исследования (орган, клетка, молекула, геном)

Тип результата: Иное

Вклад результата в решение приоритетных проблем медицины и здравоохранения

Приоритетная проблема медицины и здравоохранения	Клинический эффект	Возможность импортозамещения
Растущая смертность от	Снижение инвалидизации в	Имеется возможность
болезней системы	несовершеннолетнем	серийного производства в
кровообращения	возрасте (предотвращение	России
	инвалидности, достижение	
	отсрочки в наступлении	
	инвалидности, снятие	
	инвалидности)	

Задачи, полностью решенные к моменту завершения НИР или данного этапа НИР в рамках достижения УГТ оцениваемого научного результата

Задачи	Выполнена
Проведен аналитический обзор технической, научной, медицинской и	Нет
маркетинговой литературы по теме	1101

Выявлены новые закономерности, принципы, статистические явления в сфере медицины и здравоохранения	Нет
Определена проблема медицины и здравоохранения, на решение которой направлен результат исследования/разработки	Да
Сформулирована идея решения проблемы и общая концепция получения результата исследования/разработки	Да
Подтверждены научные принципы результата исследования/разработки	Нет
Подтверждена востребованность результата исследования/разработки	Нет
Сформулирована ожидаемая выгода для заказчика результата исследования/разработки с учетом существующих на рынке продуктов и (или) технологий	Нет
Сформулирована ожидаемая выгода для возможных потребителей результата исследования/разработки с учетом существующих на рынке продуктов и (или) технологий	Нет

Информационные материалы, которые имеются в отчетной документации о результатах НИР

Материалы	Наличие
Аналитическая записка	Нет
Пояснительная записка	Нет
Презентация	Нет
Материалы в отчете о научно-исследовательской работе	Да
Справка	Нет
Экспертное заключение	Нет
Монография	Нет
Публикация	Нет

Критические технологии, отмеченные в указе Президента Российской Федерации от 18 июня 2024 года № 529 «Об утверждении приоритетных направлений научнотехнологического развития и перечня важнейших наукоемких технологий, к которым относится результат проекта

Критическая технология	Соответствие
Биомедицинские и когнитивные технологии здорового и активного долголетия	Нет

Технологии разработки лекарственных средств и платформ нового		
поколения (биотехнологических, высокотехнологичных и	Да	
радиофармацевтических лекарственных препаратов)		
Технологии персонализированного, лечебного и функционального	Нет	
питания для здоровьесбережения	1101	
Технологии разработки медицинских изделий нового поколения,	Нет	
включая биогибридные, бионические технологии и нейротехнологии		

Сквозные технологии, отмеченные в указе Президента Российской Федерации от 18 июня 2024 года № 529 «Об утверждении приоритетных направлений научно-технологического развития и перечня важнейших наукоемких технологий, к которым относится результат проекта

Сквозная технология	Соответствие
Технологии, основанные на методах синтетической биологии и генной инженерии	Да
Технологии создания новых материалов с заданными свойствами и эксплуатационными характеристиками	Нет
Технологии производства малотоннажной химической продукции, включая особо чистые вещества, для фармацевтики, энергетики и микроэлектроники	Нет
Биотехнологии в отраслях экономики	Нет

Соответствие достигнутого научного результата НИР ожидаемым результатам, которые указаны в проекте тематики научного исследования:

Частично соответствует

## III. Вывод:

Промежуточный этап работы, связанный с оценкой наиболее пригодных при генотерапии гемофилии В аденовирусных систем. Отчет очень небольшой, не ясно Не ясно, происхождение двух рисунков в отчете. Не ясно также, какую конкретно версию кДНК гена фактора планируется использовать для генотерапии.

Эксперт _	П.А.	Сломинский