Экспертное заключение № 2023-КПМ-0353-1-001

по результатам оценки научных и научно-технических результатов НИР,

достигнутых в рамках реализации проектов и мероприятий ГП НТР

в сфере медицинских наук

**I. Общие сведения о проекте**

Номер проекта: КПМ-0353

Наименование тематики: Экстракорпоральная аутоиммунотерапия хронических заболеваний опорно-двигательного аппарата (остеоартроз; суставная травма; дорсопатия; бурсит; тендинит)

Код-шифр тематики: FURG-2023-0074

Наименование исполнителя: Федеральное государственное бюджетное научное учреждение "Российский научный центр хирургии имени академика Б.В. Петровского"

**II. Оценка результатов проектов**

Вид результата: Лекарственный препарат (средство)

Тип результата: Лекарственный препарат

Вклад результата в решение приоритетных проблем медицины и здравоохранения

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **Приоритетная проблема медицины и здравоохранения** | **Клинический эффект** | **Возможность импортозамещения** |
| Травматология и ортопедия: разработка и производство отечественных медицинских изделий для терапии болезней органов опорно-двигательной системы, которые отсутствуют в Российской Федерации либо нуждаются в совершенствовании, импортозамещении | Снижение инвалидизации в совершеннолетнем возрасте (предотвращение инвалидности, достижение отсрочки в наступлении инвалидности, переход в менее тяжелую группу инвалидности, снятие инвалидности) | Имеется возможность серийного производства в России |
|  |  |  |
|  |  |  |

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

|  |  |
| --- | --- |
| **Задачи** | **Выполнена** |
| Проведен аналитический обзор научной, медицинской, технической литературы по теме | Да |
| Выявлены механизмы возникновения заболевания, определены молекулярные мишени | Да |
| Проведено изучение библиотек данных с целью выбора потенциального кандидата прототипа молекулы | Да |
| Разработан дизайн исследования | Да |
| Подтверждены научные принципы нового ЛС | Да |
| Докинг/скрининг/программное прогнозирование с целью выбора кандидата | Да |
| Предварительно определены целевые показатели качества | Да |
| Определено целевое назначение нового ЛС | Да |
| Подтверждена востребованность нового ЛС | Да |
| Сформулирована общая концепция нового ЛС | Да |
| Сформулирована ожидаемая выгода для заказчика нового ЛС с учетом существующих на рынке аналогов | Нет |
| Сформулирована ожидаемая выгода для возможных потребителей нового ЛС с учетом существующих на рынке аналогов | Да |
| Проведены патентные исследования | Нет |
| Проведены экспериментальные работы, подтверждающие гипотезу | Да |
| Выполнена проверка концепции экспериментальными методами для доказательства эффективности использования идеи | Да |
| Оценена возможность получения действующего вещества с использованием различных сырьевых источников | Нет |
| Начато выявление: критических характеристик исходных материалов, критических параметров процесса, потенциальных характеристик качества готового продукта и выявлены ключевые преимущества технологии | Нет |
| Сформулировано предварительное техническое задание на разработку ЛС (активной фармацевтической субстанции (АФС) и готовой лекарственной формы (ГЛФ) | Нет |
| Получено и идентифицировано активное соединение/фармацевтическая субстанция | Да |
| Разработан проект спецификации на АФС | Нет |
| Имеется акт наработки действующего вещества/ АФС | Нет |
| Подготовлена программа (план) исследования биологической активности соединения/фармацевтической субстанции | Нет |
| Разработан план доклинических исследований | Нет |
| Определены физико-химические свойства (характеристики) действующего вещества /АФС | Нет |
| Определены биофармацевтические, микробиологические, технологические характеристики действующего вещества/АФС | Нет |
| Оценена биологическая активность соединения в системах in vitro и/или in vivo | Нет |
| Определена цитотоксичность и острая токсичность действующего вещества /АФС | Нет |
| Представитель заказчика принял результаты тестирования как достоверные и подтвердил заинтересованность в продукте | Нет |
| Проведены дополнительные патентные исследования | Нет |
| Разработана спецификация на АФС | Нет |
| Разработана лекарственная форма (ГЛФ) | Нет |
| Разработан состав и технология получения лекарственного препарата (ЛП) | Да |
| Разработан лабораторный регламент на ЛП | Да |
| Разработан проект опытно-промышленного регламента (ОПР) на ЛП | Нет |
| Наработаны опытные серии образцов ЛП для изучения стабильности в процессе хранения и проведения доклинических исследований | Нет |
| Имеется акт наработки ЛП | Нет |
| Проведены доклинические исследования специфической активности, хронической токсичности, специфической токсичности, фармакокинетики, фармакодинамики | Нет |
| Разработан ОПР на ЛП | Нет |
| Подобрана система упаковки и укупорки | Нет |
| Разработаны и валидированы методы анализа ЛП | Нет |
| Разработан проект нормативной документации (НД) по качеству на ЛП | Нет |
| Проведено масштабирование технологии с целью переноса на производственную площадку | Нет |
| Разработан дизайн клинических исследования (КИ) | Да |
| Разработан комплект документов для подачи заявления на РКИ: 1) брошюра исследователя; 2) протокол КИ I фазы; 3) информационный листок пациента | Да |
| Подготовлен проект инструкции по медицинскому применению | Да |
| Определена производственная площадка в условиях GMP | Да |
| Выполнен трансфер методик и технологий | Нет |
| Подано заявление о выдаче разрешения на проведение КИ ЛП | Да |
| Наработаны серии ЛП для КИ I и II фазы | Нет |
| Получено разрешение на проведение клинических исследований лекарственного препарата I фазы | Нет |
| Получено разрешение на проведение клинических исследований лекарственного препарата II фазы | Нет |
| Проведены КИ I фазы | Нет |
| Проведены КИ II фазы | Нет |
| Подготовлены отчеты КИ I фазы | Нет |
| Подготовлены отчеты КИ II фазы | Нет |

Информационные материалы, которые имеются в отчетной документации  
о результатах НИР

|  |  |
| --- | --- |
| **Материалы** | **Наличие** |
| Материалы о механизмах возникновения заболевания в отчете о НИР | Да |
| Материалы о молекулярных мишенях в отчете о НИР | Да |
| Материалы о проведенном докинге/программном прогнозировании для выбора кандидатных молекул в отчете о НИР | Да |
| Публикация о механизмах возникновения заболевания | Да |
| Публикация о молекулярных мишенях | Да |
| Публикация о проведенном докинге/программном прогнозировании для выбора кандидатных молекул | Нет |
| Монография о механизмах возникновения заболевания/ молекулярных мишенях/ проведенном докинге/программном прогнозировании для выбора кандидатных молекул | Нет |
| Экспертное заключение о возможности разработки лекарственного средства | Да |
| Пояснительная записка о возможности разработки лекарственного средства | Да |
| Презентация о механизмах возникновения заболевания/ молекулярных мишенях/ проведенном докинге/программном прогнозировании для выбора кандидатных молекул | Нет |
| Отчет о патентных исследованиях | Нет |
| Материалы о методах синтеза в отчете о НИР | Да |
| Лабораторная технология получения целевых соединений (действующих веществ (химический/микробиологический способ получения) в отчете о НИР | Да |
| Материалы о методах идентификации целевых (биологически активных, действующих) соединений в отчете о НИР | Да |
| Материалы о методах скрининга целевых соединений (действующих веществ) в отчете о НИР | Нет |
| Материалы о результатах скрининга целевых соединений (действующих веществ) в отчете о НИР | Нет |
| Материалы об исследованиях зависимости активности соединения от структуры в отчете о НИР | Нет |
| Публикация, содержащая экспериментальные данные (разработка методов синтеза, лабораторной технологии, проведение скрининга соединений, исследований зависимости активности от структуры) | Да |
| Монография, содержащая экспериментальные данные (разработка методов синтеза, лабораторной технологии, проведение скрининга соединений, исследований зависимости активности от структуры) | Нет |
| Проект технического задания на разработку действующего вещества/активной фармацевтической субстанции (АФС) и готовой лекарственной формы (ГЛФ) | Нет |
| Программа (план) исследования биологической активности соединения/фармацевтической субстанции (в отчете о НИР или в качестве отдельного документа) | Да |
| Лабораторный регламент получения действующего вещества/АФС (в отчете о НИР или в качестве отдельного документа) | Да |
| Методы идентификации действующего вещества/АФС (в отчете о НИР) | Да |
| Описание физико-химических свойств действующего вещества/АФС (в отчете о НИР) | Да |
| Оценка биологической активности действующего вещества/АФС (в отчете о НИР) | Да |
| Оценка острой токсичности действующего вещества/АФС (в отчете о НИР) | Нет |
| Акт наработки действующего вещества/АФС | Нет |
| План (программа) доклинических исследований | Нет |
| Проект спецификации на АФС | Нет |
| Секрет производства (ноу-хау) | Нет |
| Изобретение (заявка на патент, патент) | Нет |
| Отчет о дополнительных патентных исследованиях | Нет |
| Спецификация на АФС | Нет |
| Лабораторный регламент получения готовой лекарственной формы | Нет |
| Проект опытно-промышленного регламента получения готовой лекарственной формы | Нет |
| Протокол исследования стабильности лекарственного препарата | Нет |
| Отчет о доклинических исследованиях, включая данные: - биологической активности (специфической активности); - токсичности (острой, хронической, специфической); - фармакокинетики; - фармакодинамики | Нет |
| Опытно-промышленный регламент на лекарственные препараты | Нет |
| Методы анализа ЛП | Нет |
| Проект нормативной документации | Нет |
| Программа для ЭВМ | Нет |
| База данных | Нет |
| Экспериментальный образец | Нет |
| Брошюра исследователя | Да |
| Информационный листок пациента: - информация о составе лекарственного препарата для медицинского применения (I фаза КИ) | Да |
| Документ, составленный производителем лекарственного препарата для медицинского применения и содержащий показатели (характеристики), а также сведения о лекарственном препарате для медицинского применения, произведенном для проведения клинических исследований | Да |
| Проект инструкции по медицинскому применению | Да |
| Рандомизированное контролируемое испытание I фаза (РКИ I фаза) | Нет |
| Рандомизированное контролируемое испытание II фаза (РКИ II фаза) | Нет |
| Протокол клинического исследования лекарственного препарата | Нет |
| Отчеты клинических исследований (КИ I фазы) | Нет |
| Отчеты клинических исследований (КИ II фазы) | Нет |

Критические 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

|  |  |
| --- | --- |
| **Критическая технология** | **Соответствие** |
| Биомедицинские и когнитивные технологии здорового и активного долголетия | Нет |
| Технологии разработки лекарственных средств и платформ нового поколения (биотехнологических, высокотехнологичных и радиофармацевтических лекарственных препаратов) | Да |
| Технологии персонализированного, лечебного и функционального питания для здоровьесбережения | Нет |
| Технологии разработки медицинских изделий нового поколения, включая биогибридные, бионические технологии и нейротехнологии | Нет |

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:

Соответствует

Вид результата: Метод лечения

Тип результата: Клинические рекомендации

Вклад результата в решение приоритетных проблем медицины и здравоохранения

|  |  |  |
| --- | --- | --- |
| **Приоритетная проблема медицины и здравоохранения** | **Клинический эффект** | **Возможность импортозамещения** |
| Ревматические болезни: разработка и производство отечественных лекарственных препаратов, рекомендованных к применению в соответствии с клиническими рекомендациями | Повышение качества жизни, связанного с состоянием здоровья | Имеется возможность серийного производства в России |
|  |  |  |
|  |  |  |

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

|  |  |
| --- | --- |
| **Задачи** | **Выполнена** |
| Проведен аналитический обзор научной, медицинской, технической литературы | Да |
| Собрана и описана информация по заболеванию или состоянию (группы заболеваний или состояний): этиология и патогенез, эпидемиология, классификация, клиническая картина | Да |
| Подтверждены научные принципы нового продукта | Да |
| Предварительно определены целевые показатели качества | Да |
| Определено целевое назначение продукта | Да |
| Подтверждена востребованность нового продукта | Да |
| Сформулирована общая концепция нового продукта | Да |
| Сформулирована ожидаемая выгода для заказчика | Нет |
| Сформулирована ожидаемая выгода для потребителей | Да |
| Проведены патентные исследования | Нет |
| Выполнена проверка концепции экспериментальными методами для доказательства эффективности использования идеи | Нет |
| Проведены экспериментальные работы, подтверждающие применимость разрабатываемых методов диагностики/лечения/реабилитации/профилактики для включения в клинические рекомендации | Да |
| Методы диагностики/лечения/реабилитации/профилактики, разрабатываемые для включения в клинические рекомендации, стандартизированы | Нет |
| Методы диагностики/лечения/реабилитации/профилактики, разрабатываемые для включения в клинические рекомендации, валидированы | Нет |
| Методы диагностики/лечения/реабилитации/профилактики, разрабатываемые для включения в клинические рекомендации, верифицированы | Нет |
| Имеется акт/протокол верификации метода | Нет |
| Имеется акт/протокол валидации метода | Нет |
| Подготовлена программа апробации методов диагностики/лечения/реабилитации/профилактики | Нет |
| Проведены дополнительные патентные исследования | Нет |
| Выполнен анализ существующих клинических рекомендаций и их качества | Да |
| Выполнен анализ научной обоснованности информации, включаемой в клинические рекомендации | Нет |
| Выполнен анализ достоверности доказательств для методов диагностики, профилактики, лечения, медицинской реабилитации, в том числе основанных на использовании природных лечебных факторов (диагностических, профилактических, лечебных, реабилитационных вмешательств) | Нет |
| Разработан дизайн клинического исследования метода | Да |
| Подготовлен протокол клинического исследования метода | Да |
| Проведено предварительное клиническое исследование метода | Да |
| Сформирован отчет о предварительных результатах исследования метода | Да |
| Проведено клиническое исследование безопасности и эффективности метода | Да |
| Сформирован отчет о результатах клинического исследования безопасности и эффективности метода | Нет |
| Метод доработан на основе результатов клинических исследований | Нет |
| Разработаны предложения по включению метода в клинические рекомендации | Нет |
| Проект клинических рекомендаций размещен в информационно-телекоммуникационной сети "Интернет" и направлен в научные организации, образовательные организации высшего образования, медицинские организации, медицинские профессиональные некоммерческие организации их ассоциаций (союзы) | Нет |
| Получены отзывы на проект клинических рекомендаций | Нет |
| Проект клинических рекомендаций доработан | Нет |

Информационные материалы, которые имеются в отчетной документации  
о результатах НИР

|  |  |
| --- | --- |
| **Материалы** | **Наличие** |
| Отчет о НИР, содержащий: - материалы о заболевании или состоянии (группе заболеваний или состояниях); - этиология и патогенез, эпидемиология, классификация, клиническая картина. | Да |
| Медико-экономическое обоснование разработки методов диагностики/лечения/реабилитации/профилактики для включения в клинические рекомендации | Да |
| Презентация | Нет |
| Отчет о патентных исследованиях | Нет |
| Публикация, содержащая экспериментальные данные, о разработке методов диагностики/лечения/реабилитации/профилактики | Да |
| Пояснительная записка | Да |
| Экспертное заключение | Нет |
| Монография, содержащая экспериментальные данные о разработке методов диагностики/лечения/реабилитации/профилактики | Нет |
| Отчет о НИР, включающий: - материалы о целевых областях применения методов диагностики/лечения/реабилитации/профилактики | Да |
| Экспериментальные данные, подтверждающие работоспособность и применимость разрабатываемых методов | Да |
| Стандартизированный и (или) валидированный и (или) верифицированный: - метод диагностики; - метод лечения; - метод реабилитации; -метод профилактики | Нет |
| Проект технического задания на разработку активной фармацевтической субстанции (АФС) и готовой лекарственной формы (ГЛФ) | Нет |
| Секрет производства (ноу-хау) | Нет |
| Изобретение | Нет |
| Полезная модель | Нет |
| Программа для ЭВМ | Нет |
| База данных | Нет |
| Стандартные операционные процедуры (в рамках системы менеджмента качества) | Нет |
| Отчет о дополнительных патентных исследованиях | Нет |
| Обзор существующих клинических рекомендаций и оценка их качества | Нет |
| Критическая оценка научной обоснованности, включаемой в клинические рекомендации информации | Нет |
| Оценка уровней достоверности доказательств для методов диагностики, профилактики, лечения, медицинской реабилитации, в том числе основанных на использовании природных лечебных факторов (диагностических, профилактических, лечебных, реабилитационных вмешательств) | Нет |
| Уведомление о начале разработки клинических рекомендаций | Нет |
| Проект клинических рекомендаций | Нет |
| Отзывы на проект клинических рекомендаций | Нет |
| Доработанный проект клинических рекомендаций | Нет |

Критические 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

|  |  |
| --- | --- |
| **Критическая технология** | **Соответствие** |
| Биомедицинские и когнитивные технологии здорового и активного долголетия | Да |
| Технологии разработки лекарственных средств и платформ нового поколения (биотехнологических, высокотехнологичных и радиофармацевтических лекарственных препаратов) | Нет |
| Технологии персонализированного, лечебного и функционального питания для здоровьесбережения | Нет |
| Технологии разработки медицинских изделий нового поколения, включая биогибридные, бионические технологии и нейротехнологии | Нет |

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:

Соответствует

**III. Вывод:**

Состав и содержание исследований соответствует заявленной тематике. Создан новый лечебный препарат ОЭС (обогащенная экзовезикулярная сыворотка) для терапии хронических воспалительных заболеваний опорно-двигательного аппарата. Показана его эффективность, подготовлен комплект документов для клинических исследований и направлена заявка на их проведение.

Эксперт \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_(Ю.В. Вахитова)