

Базисная и клиническая фармакология орфанных лекарственных средств

Семенчук Полина Игоревна, Малашкевич Артем Александрович

Белорусский государственный медицинский университет, Минск

Научный(-е) руководитель(-и) – доктор медицинских наук, профессор Бизунок Наталья Анатольевна, Белорусский государственный медицинский университет, Минск

Орфанные (редкие) заболевания – это врожденные (наследственные) или приобретенные заболевания, частота которых не превышает определенного числа, установленного законодательствами различных стран. Орфанное лекарственное средство – лекарственное средство, предназначенное для диагностики, медицинской профилактики, лечения и медицинской реабилитации пациентов с орфанными заболеваниями.

Целью настоящей работы было проанализировать и обобщить современные требования к разработке и испытанию орфанных лекарственных средств, а также актуальные аспекты их клинического применения.

Работа выполнена с использованием материалов законодательных баз Республики Беларусь и иных стран, касающихся разработки, испытания, регистрации орфанных лекарственных средств, а также материалов рецензируемых периодических научных изданий, обнаруженных по изучаемой проблеме в электронных текстовых базах научных публикаций e-Library и PubMed, глубина поиска – более 30 лет.

Орфанные лекарственные средства называются также «сиротскими», потому что в условиях рыночной экономики фармацевтические компании не заинтересованы в разработке и продаже малых партий лекарств, предназначенных для небольшого числа больных. Принятие законов, регламентирующих положение орфанных лекарственных средств, позволяет выделить их в отдельную группу, что облегчает доступ к ним, их производство и клинические исследования. Статус орфанного присваивается лекарственному средству на любом этапе разработки при условии, что разработчики смогут представить надлежащее научное обоснование, оправдывающее его применение для лечения редких заболеваний. Несмотря на то, что в Республике Беларусь не производится большинство орфанных лекарственных средств, законодательством регламентирован их ввоз в страну по упрощенной схеме, однако, отсутствие законодательно закрепленных мер регулирования оборота орфанных лекарственных средств, снижает их доступность для пациентов. В странах ЕС и США существует как коммерческая поддержка (организации EURORDIS и NORD соответственно), так и содействие со стороны государственной системы здравоохранения в отношении производства, клинических испытаний и внедрения орфанных средств в клиническую практику. В Российской Федерации доступность орфанных лекарственных средств ниже, чем в ЕС и США, однако законодательством предусмотрена ускоренная процедура регистрации импортных орфанных средств.

Наиболее значимыми проблемами организации и проведения клинических испытаний орфанных лекарственных средств являются такие как сложность поиска участников с диагностированными орфанными заболеваниями, особые требования к оснащению исследовательских центров.