

## 5.2.12. СИРОВИНА БІОЛОГІЧНОГО ПОХОДЖЕННЯ ДЛЯ ВИРОБНИЦТВА ЛІКАРСЬКИХ ЗАСОБІВ НА ОСНОВІ КЛІТИН ТА ДЛЯ ГЕННОЇ ТЕРАПІЇ

*Наведена нижче загальна стаття має інформаційний характер.*

*Стаття містить розділи щодо вимог до якості сировини, яку використовують для виробництва лікарських засобів на основі клітин і для генної терапії для застосування людиною. Положення статті не виключають використання інших методів виробництва та контролю. Кваліфікація сировини (доведення придатності для використання за призначенням) відповідно до вимог, наведених у цій загальній статті, є відповідальністю виробника сировини.*

*Проте, загалом, забезпечення придатної якості сировини для конкретного використання є обов'язком її користувача.*

*Якість сировини може розглядатися відповідно до стадії розробки лікарського засобу на основі клітин або для генної терапії, що відображає профіль якості лікарського засобу під час його фармацевтичної та клінічної розробки. Однак безпека пацієнтів має бути забезпечена починаючи з ранньої фази клінічної розробки. Метою є створення відповідної стратегії кваліфікації сировини, яку використовують для виготовлення лікарських засобів на основі клітин / генної терапії. Потрібно зазначити, що зміни сировини протягом життєвого циклу лікарського засобу на основі клітин / генної терапії можуть впливати на якість лікарського засобу, що, отже, вимагає додаткових досліджень для демонстрації порівнянності (еквівалентності).*

*Вплив сировини на якість, безпечність та ефективність лікарського засобу на основі клітин / генної терапії оцінюють за допомогою підходу, який ґрунтується на оцінюванні ризиків. Сировину використовують для того, щоб стабільно отримувати діючу речовину (активну субстанцію) або лікарський засіб визначеної якості з погляду, наприклад, біологічної активності, профілю чистоти / наявності домішок, ризику наявності сторонніх агентів (бактерій, вірусів тощо) і стабільності.*

*З погляду ризиків перевага має віддаватися використанню сировини, вільної від речовин тваринного походження або одержаних від людини.*

*Біологічна природа сировини, яка використовується для виробництва лікарських засобів на основі клітин / генної терапії, зумовлює особливі вимоги до її якості. Ця загальна стаття наводить приклади критичних показників якості, що є специфічними для кожного класу сировини.*

## 1. СФЕРА ЗАСТОСУВАННЯ

Ця загальна стаття поширюється на сировину біологічного походження, яку використовують для виробництва лікарських засобів на основі клітин / генної терапії. Сировина, яку використовують у виробництві діючих речовин (активних субстанцій), не призначена для включення до складу діючої речовини (активної субстанції). Сировина може бути одержана з різних біологічних джерел або виготовлена технологією рекомбінантної ДНК.

Ця загальна стаття поширюється на такі класи сировини:

- сироватки та замінники сироватки;
- протеїни, виготовлені технологією рекомбінантної ДНК, такі як фактори росту, цитокіни, гормони, ферменти й моноклональні антитіла;
- протеїни, виділені з біологічного матеріалу, такі як ферменти та поліклональні антитіла;
- вектори.

Принципи цієї загальної статті також можуть, де це доречно, застосовуватися до інших класів біологічної сировини.

До сфери застосування цієї загальної статті не належать медичні прилади, пластмаси та хімічно синтезована сировина, така як основні живильні середовища (які повністю складаються з хімічних речовин), синтетичні пептиди або синтетичні полінуклеотиди.

## 2. ОЦІНЮВАННЯ РИЗИКІВ

Оцінювання впливу сировини на якість, безпечність та ефективність лікарських засобів на основі клітин / генної терапії має бути проведене користувачем сировини. Жоден окремих захід або комбінація заходів не можуть гарантувати якість, функціональність і безпечність сировини для її цільового використання. Тому оцінювання ризиків повинно враховувати біологічне походження та відстежуваність сировини, застосовані етапи її виробництва й здатність процесу виробництва лікарського засобу контролювати або вилучати сировину з кінцевого лікарського засобу.

Будь-який фактор ризику має бути оцінений відповідно до клінічної користі / ризику лікарського засобу на основі клітин та для генної терапії. Під час оцінювання ризику, спричиненого сировиною для кінцевого лікарського засобу, потрібно враховувати вплив залишкових кількостей сировини на пацієнта з потенційними шкідливими наслідками (наприклад, побічними імунними реакціями) стосовно клінічної користі / ризику лікарського засобу на основі клітин або для генної терапії.