
**Генотерапевтические
лекарственные препараты**

**ОФС.1.9.1.0001.18
Вводится впервые**

Настоящая общая фармакопейная статья распространяется на генотерапевтические лекарственные препараты (ГенЛП), относящиеся к биологическим лекарственным препаратам (БЛП).

Генотерапевтические лекарственные препараты – лекарственные препараты, фармацевтическая субстанция которых является рекомбинантной нуклеиновой кислотой или включает в себя рекомбинантную нуклеиновую кислоту, позволяющую осуществлять регулирование, репарацию, замену, добавление или удаление генетической последовательности. ГенЛП, полученные с помощью ряда биотехнологических процессов, предназначены для доставки терапевтического гена, производимого *in vivo* или *ex vivo*, в клетки человека или животных с последующей экспрессией *in vivo*. Нуклеиновая кислота в ГенЛП используется для модификации генетического материала клетки в соответствии с системой доставки. Перенос гена, представляющего собой участок ДНК, осуществляется носителем - вектором вирусного или невирусного происхождения, который может быть включен в клетку человека или животного.

Принцип действия генотерапевтических препаратов заключается в доставке нового генетического материала в клетки-мишени с помощью вектора - системы, переносящей генетический материал. Для переноса генов используются два основных типа векторов:

- бактериальная плазмидная ДНК – природная или синтезированные нуклеиновые кислоты или они связаны с носителем или адъювантом, или в