

ВИЛТОЛАРСЕН

Вилтепсо® (Viltepso®)

Viltolarsen · фосфородиамидатный морфолино-олигомер (PMO), пропуск экзона 53 гена DMD · Nippon Shinyaku / NCNP · M09AX12

ПОКАЗАНИЙ В МИРЕ / РФ

1 / 1

МДД с мутацией, поддающейся пропуску экзона 53

КОНКУРЕНТОВ В РФ

1

держатель РУ · воспроизведённых нет

ПРОДАЖИ В РФ, 2025

в полной версии

объём, флаконы, текущий год, позиция в кластере

DAY-1 LAUNCH

в полной версии

расчётные даты для РФ и ЕАЭС с условиями

ПАТЕНТНЫЙ ЛАНДШАФТ РФ/ЕАПВ — СВОДКА УГРОЗ ДЛЯ ВОСПРОИЗВЕДЁННОГО ПРЕПАРАТА



■ Блокирует (3)
 ■ Не блокирует (11)
 ■ Условно (1)

СОСТАВ ПОЛНОЙ ВЕРСИИ ОТЧЁТА — 36 СТРАНИЦ

00	Резюме и методология — сводка угроз по РФ/ЕАПВ, резюме для принятия решения
01	Обзор препарата — молекула, регистрация, статусы (орфанный, ЖНВЛП, ВЗН), производственная цепочка, расчётные даты входа
02	Продажи в Российской Федерации — продажи 2025 и 2026 гг., потребность, позиция в кластере терапии МДД
03	История разработки и регуляторная хронология — научные, патентные, клинические и судебные события
04	Значимость продукта для рынка — доказательная база, ценовое позиционирование, угрозы модели
05	Конкурентное окружение — прямые, косвенные и потенциальные конкуренты в РФ и мире
06	Патентная охрана — РФ / ЕАПВ — реестр из 17 позиций с классификацией угроз, даты вывода продукта, карта правообладателей и лицензионная позиция
07	Оспаривание патентного слоя и правовые споры — основания и перспективность возражений, споры в США, Японии и ЕПВ, делопроизводство в ППС
08	Возможности входа — анализ патентной чистоты — стратегии по субстанции, ГЛФ, режиму введения и экспорту
09	Пути получения субстанции и производство — маршрут синтеза PMO, спецификация АФС, ГЛФ, масштаб

Фрагмент демонстрирует структуру и оформление отчёта. Расчётные даты Day-1 Launch, продажи в РФ, оценка блокирующих патентов, основания и перспективы оспаривания, анализ патентной чистоты и лицензионной позиции приводятся в полной версии. Отчёт носит аналитический характер и не является юридическим заключением.

00

Резюме и методология

Вилтоларсен (NS-065/NCNP-01) — антисмысловой фосфородиамидатный морфолино-олигомер (РМО) из 21 звена, вызывающий пропуск экзона 53 пре-мРНК гена дистрофина при мышечной дистрофии Дюшенна (МДД). Референтный продукт — Vilterso® (Nippon Shinyaku Co., Ltd. совместно с NCNP, Япония): первое одобрение — Япония, 25.03.2020; в США — ускоренное одобрение FDA 12.08.2020. В Российской Федерации «Вилтепсо®» зарегистрирован 07.08.2024 в условном порядке (держатель РУ — АО «Р-Фарм»), имеет орфанный статус и закупается для фонда «Круг добра». Отчёт объединяет коммерческий профиль российского рынка с верифицированным патентным анализом PCT GURU по РФ и ЕАПВ, разбором стратегии оспаривания и оценкой возможностей входа для воспроизведённого препарата. Рыночные показатели — по данным внутренней аналитики PCT GURU на 26.08.2026; регистрационные сведения — по ГРЛС и реестру предельных отпускных цен ЖНВЛП; правовые статусы, пошлины, извещения и продление срока — по Государственному реестру изобретений РФ, реестрам ЕАПВ и Палаты по патентным спорам (сентябрь 2026 г.); зарубежные споры — по судебным актам и отчётности сторон.

[ОФИЦ.] Верифицировано: ГРЛС, реестр предельных цен ЖНВЛП, Государственный реестр изобретений, реестры ЕАПВ и ППС, FDA/PMDA, судебные акты	[АНАЛИТ.] Внутренняя аналитика PCT GURU, данные аудита рынка и отраслевые источники	[ПРЕДПОЛ.] Оценочно, без официальной валидации	[НЕТ ДАННЫХ] Данные публично не подтверждены
--	---	--	--

Содержание полной версии

00 · Резюме и методология — сводка угроз по РФ/ЕАПВ, резюме для принятия решения.

01 · Обзор препарата — молекула, регистрация, статусы (орфанный, ЖНВЛП, ВЗН), производственная цепочка, расчётные даты входа.

02 · Продажи в Российской Федерации — продажи 2025 и 2026 гг., потребность, позиция в кластере терапии МДД.

03 · История разработки и регуляторная хронология — научные, патентные, клинические и судебные события.

04 · Значимость продукта для рынка — доказательная база, ценовое позиционирование, угрозы модели.

05 · Конкурентное окружение — прямые, косвенные и потенциальные конкуренты в РФ и мире.

06 · Патентная охрана — РФ / ЕАПВ — реестр из 17 позиций с классификацией угроз, даты вывода продукта, карта правообладателей и лицензионная позиция.

07 · Оспаривание патентного слоя и правовые споры — основания и перспективность возражений, споры в США, Японии и ЕПВ, делопроизводство в ППС.

08 · Возможности входа — анализ патентной чистоты — стратегии по субстанции, ГЛФ, режиму введения и экспорту.

09 · Пути получения субстанции и производство — маршрут синтеза РМО, спецификация АФС, ГЛФ, масштаб.

Объём полной версии — 36 страниц. Каждый факт снабжён статусом источника.

01

Обзор препарата

Фрагмент раздела: идентификация молекулы и регуляторный статус. Производственная цепочка, продажи, патентный слой и даты входа — в полной версии.

Параметр	Значение	Статус
МНН	Вилтоларсен; лат. Viltolarsenum; англ. Viltolarsen. CAS 2055732-84-6. Коды разработчика: NS-065/NCNP-01	[ОФИЦ.]
Модалность	Олигонуклеотидный препарат — антисмысловой олигомер подкласса фосфородиамидатных морфолино-олигомеров (PMO). 21 звено; последовательность оснований 5'-CCTCCGGTTCTGAAGGTGTC-3', комплементарна нуклеотидам 36-56 экзона 53 пре-мРНК гена дистрофина (DMD). Брутто-формула C244H381N113O88P20, молекулярная масса 6 924,82 Да. Остов электронейтрален: рибоза заменена шестичленным морфолиновым кольцом, фосфат — фосфородиамидатной связью (20 связей, каждая с хиральным атомом фосфора). Вещество химически синтезируется, биотехнологических стадий нет; воспроизведение идёт по правилам воспроизведённого препарата. Последовательность совпадает с 21 концевым основанием голодирсена (25-мер, Sarepta)	[ОФИЦ.]
Фармакологическая группа	Другие средства для лечения заболеваний костно-мышечной системы. АТХ: M09AX12. В справочнике «Видаль» клинико-фармакологическая группа обозначена как «генотерапевтический препарат, применяемый при мышечной дистрофии Дюшенна»; по регуляторной природе это химически синтезированный олигонуклеотид	[ОФИЦ.]
Механизм действия	Модификатор сплайсинга пре-мРНК. Связываясь с экзоном 53 пре-мРНК дистрофина, стерически блокирует его распознавание сплайсосомой и вызывает исключение экзона из зрелой мРНК. У пациентов с делециями, при которых пропуск экзона 53 восстанавливает рамку считывания (делеции экзонов 43-52, 45-52, 47-52, 48-52, 49-52, 50-52, 52 и др.), синтезируется внутренне укороченный, частично функциональный дистрофин. РНКазы не активируются	[ОФИЦ.]
Референтный продукт	Viltepso® (Nippon Shinyaku Co., Ltd.; в США — NS Pharma, Inc.), разработан совместно с National Center of Neurology and Psychiatry (NCNP, Япония). Первое в мире одобрение — Япония, 25.03.2020 (условное раннее одобрение, статус SAKIGAKE); США — ускоренное одобрение FDA 12.08.2020 (NDA 212154). Далее — Казахстан (11.06.2024) и РФ (07.08.2024), в обоих случаях держатель АО «Р-Фарм». В ЕС не зарегистрирован: заявка на регистрацию не подавалась, есть только орфанный статус EU/3/20/2282 от 04.06.2020	[ОФИЦ.]
Лекарственные формы	Только раствор для инфузий. Состав: вилтоларсен 50 мг/мл (250 мг во флаконе 5 мл) в 0,9% растворе натрия хлорида, pH 7,0-7,5 (0,1 н. хлороводородная кислота и/или 0,1 н. натрия гидроксид), вода для инъекций; консервантов и буферной системы нет. Флакон из боросиликатного стекла I типа, пробка из хлорбутилкаучука I типа, колпачок flip-off 20 мм. Хранение 2-8 °С, срок годности ГЛФ 3 года (АФС — 4 года). Перед введением доза разводится 0,9% раствором натрия хлорида до 100 мл; при объёме дозы 100 мл и более вводится без разведения	[ОФИЦ.]
Количество показаний — в мире	1: мышечная дистрофия Дюшенна (МДД) у пациентов с подтверждённой мутацией гена DMD, поддающейся пропуску экзона 53 (FDA). В Японии формулировка уже: МДД с делецией в гене дистрофина, поддающейся терапии пропуском экзона 53. Одобрение FDA ускоренное — по приросту дистрофина с 0,6% до 5,9% от нормы; сохранение показания зависит от подтверждающего исследования	[ОФИЦ.]
Количество показаний — в РФ	1: лечение МДД у взрослых и детей с подтверждённой мутацией гена DMD, поддающейся пропуску экзона 53 (например, делеции экзонов 43-52, 45-52, 47-52, 48-52, 49-52, 50-52, 52), с момента постановки диагноза. Безопасность и эффективность у детей до 4 лет не установлены. Единственное противопоказание — гиперчувствительность. С июля 2026 г. вилтоларсен включён в клинические рекомендации Минздрава РФ по МДД (ID 773_2); в редакции 2023 г. (ID 773) из патогенетической терапии были только аталурен и преднизолон	[ОФИЦ.]
Статус: орфанный	Да. В РФ: решение о возможности рассматривать лекарственный препарат как орфанный принято 20.03.2025 (ГРЛС); механизма орфанной рыночной эксклюзивности в РФ нет. За рубежом: FDA — орфанный статус с 01.2017, орфанная рыночная эксклюзивность ODE-280 до 12.08.2027; Япония — орфанный статус № 440 от 20.08.2019, период повторной экспертизы 10 лет (расчётно до 03.2030); ЕС — орфанный статус EU/3/20/2282 без регистрации препарата	[ОФИЦ.]

06 Патентная охрана — РФ / ЕАПВ

Фрагмент раздела: сводка угроз и пример карточки объекта. Полный реестр из 17 позиций, оценка блокирующих патентов и даты вывода продукта — в полной версии.

3	11	1
Блокирует производство и оборот в РФ	Не блокирует (отозваны, прекратили действие, не относятся либо не действуют в РФ/ЕАПО)	Условно — заявка на экспертизе либо ограниченная применимость

Колонка «Угроза»: X — блокирует производство/оборот продукта в РФ; V — не блокирует (истёк, отозван, прекратил действие, не относится либо не действует на территории РФ/ЕАПО); «-» — условно (заявка на экспертизе либо ограниченная применимость). Статусы, пошлины и извещения — по карточкам Государственного реестра изобретений РФ и реестра ЕАПВ (сентябрь 2026 г.). Расчётный срок = дата подачи + 20 лет. Для патентов США срок — по Orange Book.

Иная мишень (экзон 44)

RU 2695430 C2 действует · до 16.06.2035

V Не блокирует

АНТИСМЫСЛОВЫЕ НУКЛЕИНОВЫЕ КИСЛОТЫ (семейство WO 2015194520)
НИППОН СИНЯКУ КО., ЛТД. (JP); НЭШНЛ СЕНТЕР ОФ НЬЮРОЛОДЖИ ЭНД САЙКАЙЭТРИ (JP)
Заявка: 2017101172 · Приоритет: 17.06.2014 (JP 2014-124157); подача 16.06.2015 · Расчётный срок: 16.06.2035
СУТЬ ОХРАНЫ. П. 1. Антисмысловой олигомер длиной от 15 до 30 оснований для пропуска 44 экзона в гене дистрофина человека, содержащий последовательность SEQ ID NO: 7, 55, 8, 9, 106 или 6
ОЦЕНКА PCT GURU. Действует; пошлина учтена за 15-й год — по 16.06.2030. Выдан 23.07.2019. Формула на олигомер длиной 15–30 оснований для пропуска экзона 44 (концепция бродигирсена). К вилтоларсену не относится.

Химия остова (морфолино) — прекратил действие

EA 035030 B1 прекратил действие 16.11.2021

V Не блокирует

МОДИФИЦИРОВАННЫЕ МОРФОЛИНОВЫЕ АНАЛОГИ ОЛИГОНУКЛЕОТИДОВ
САРЕПТА ТЕРАПЬЮТИКС, ИНК. (US)
Заявка: 201490994 · Приоритет: 18.11.2011 (US 61/561,806); подача 15.11.2012
СУТЬ ОХРАНЫ. Олигомер с морфолиновыми субъединицами, в котором по меньшей мере одна межсубъединичная связь содержит заместитель, отличный от диметиламиногруппы
ОЦЕНКА PCT GURU. Выдан 20.04.2020. Не действует: досрочно прекращён за неуплату пошлины во всех государствах (AM, AZ, BY, KG, KZ, RU, TJ, TM) с 16.11.2021 (ММ4А, бюллетень 2022-7). Кроме того, формула требует межсубъединичной связи с заместителем, отличным от диметиламино, и на вилтоларсен не читается.

В полной версии раздела

- Карточки всех 17 позиций реестра: действующие российские патенты оригинатора на продукт, дополнительный патент (продление срока) и режим дозирования; заявка на состав; евразийские заявки и патенты третьих лиц; семейства на способы синтеза и зарубежные члены семейств.
- Краткое заключение с датами возможного вывода продукта в РФ и ЕАЭС и условиями их наступления.
- Карта правообладателей, лицензионная позиция держателя РУ и её значение для входа на рынок.