

Новое в лечении серповидноклеточной анемии

FDA в ускоренном режиме одобрило препарат вокселотор/voxelotor (Оксбрита/Oxbryta) компании «Глобал Блад Терапьютикс» (Global Blood Therapeutics, GBT, США), предназначенный для лечения серповидноклеточной анемии у взрослых и детей в возрасте от 12 лет и старше. По данным FDA, в мире от этого заболевания страдают около 20 млн человек.

Серповидноклеточная анемия — это наследственное заболевание крови, при котором происходит синтез аномального гемоглобина S. В условиях гипоксии он склонен к полимеризации, образуя длинные тяжи внутри эритроцитов, в результате чего они приобретают серповидную форму. Такая структура приводит к закупорке капилляров и мелких сосудов, блокируя нормальный ток крови к органам.

Вокселотор — ингибитор дезоксигенированной полимеризации серповидного гемоглобина, который усили-

вает его аффинность к кислороду (оксигенированный HbS не полимеризуется, поэтому восстанавливается нормальная форма эритроцитов).

Одобрение препарата основано на результатах клинического исследования с участием 274 пациентов с серповидноклеточной анемией. Согласно дизайну, 90 пациентов получали исследуемый препарат в дозе 1500 мг, 92 — в дозе 900 мг, 92 — плацебо. У 51,1% пациентов, принимавших вокселотор в дозе 1500 мг, увеличилась частота ответа гемоглобина, тогда как в группе плацебо этот показатель составил 6,5%. Среди побочных эффектов, связанных с приемом вокселотора, отмечены головная боль, диарея, боль в животе, тошнота, усталость, сыпь и лихорадка (<https://www.fda.gov/news-events/press-announcements/fda-approves-novel-treatment-target-abnormality-sickle-cell-disease>).