Новый препарат против СДВГ

Американская биофармацевтическая компания Supernus Pharmaceuticals, специализирующаяся на разработке средств для лечения заболеваний центральной нервной системы, объявила об одобрении Управлением по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) препарата Qelbree (капсулы с пролонгированным высвобождением виллоксазина) для лечения синдрома дефицита внимания и гиперактивности (СДВГ) у детей от 6 до 17 лет.

Qelbree стал первым препаратом против СДВГ, одобренным регулятором за последние 10 лет. Он не является стимулятором, поэтому исключает риск зависимости, в отличие от многих других средств против СДВГ.

Эффективность Qelbree подтверждена данными четырех клинических исследований III фазы, в которых участвовали более 1000 детей в возрасте от 6 до 17 лет. В декабре 2020 г. компания также объявила о положительных результатах исследования III фазы у взрослых.

«СДВГ — одна из наиболее распространенных проблем психического здоровья в США. Правильное лечение является важным для детей и подростков, поскольку именно в этот период жизни закладываются основы для социализации. Новый препарат не является стимулятором и удобен в использовании», — отметил доцент кафедры психиатрии в Медицинском университете северной части штата Университета штата Нью-Йорк (Сиракузы, Нью-Йорк) Эндрю Дж. Катлер.

<https://www.medscape.com/>

FDA одобрило препарат Amondys 45 (казимерсен) против миодистрофии Дюшенна

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило препарат Amondys 45 (казимерсен) компании Sarepta Therapeutics, Inc. для лечения мышечной дистрофии Дюшенна (МДД) у пациентов с подтвержденной мутацией гена *DMD*, характеризующейся пропуском экзона 45. Около 8% пациентов с МДД имеют мутацию этого типа.

Агентство одобрило казимерсен на основании доказательств увеличения выработки дистрофина — белка, который помогает сохранить неповрежденными мышечные клетки, — в скелетных мышцах, наблюдаемой у пациентов, получавших терапию. Это первое целевое лечение, одобренное FDA для пациентов с мутациями данного типа.

Казимерсен — это третий м-РНК препарат компании Sarepta для лечения МДД с пропуском экзона, одобренный в США. Его еженедельное применение оценивали в двойном слепом плацебо-контролируемом исследовании с участием 43 пациентов, рандомизированных в соотношении 2:1. У этих мальчиков в возрасте от 7 до 20 лет отмечали генетически подтвержденную мутацию гена *DMD*. По сравнению с пациентами, получавшими плацебо, уровень дистрофина у получавших

казимерсен повысился на 0,59%. Таким образом, доказательства пользы всех трех целевых препаратов компании Sarepta для лечения МДД (Exondys 51 (этеплирсен), Vyondys 53 (голодирсен), а теперь еще и Amondys 45 (казимерсен)) слабые и базируются на достижении суррогатных конечных точек, что позволяет только предположить возможную клиническую пользу. Препарат получил ускоренное одобрение, а окончание клинических исследований ожидается в 2024 г.

МДД — редкое генетическое заболевание, для которого характерны прогрессирующее разрушение мышц и слабость. Это наиболее распространенный тип мышечной дистрофии. МДД вызывают мутации в гене *DMD*, приводящие к отсутствию дистрофина. У многих пациентов ген дистрофина содержит мутировавшие экзоны (кодирующие последовательности гена). Эти мутации препятствуют прочтению гена и искажают синтез дистрофина, который остается функциональным только частично. В настоящее время проводится несколько исследований препаратов антисмысловых олигонуклеотидов — малых молекул, нацеленных на эти мутации. Некоторые из них уже одобрены в США, но все еще проходят клинические исследования в Европе.

<https://www.fda.gov/> <https://www.clinvest.ru/>

Адалимумаб одобрен для лечения язвенного колита у детей до 5 лет

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило применение препарата Хумира (адалимумаб) производства AbbVie для лечения язвенного колита умеренной или выраженной активности у детей до 5 лет. Агентство выдало одобрение на основе III фазы исследо-

вания ENVISION I, в которое были включены дети в возрасте 4–17 лет. Исследование показало, что адалимумаб достиг сопутствующих первичных конечных точек клинической ремиссии по частичной шкале Мейо на 8-й нед, и у таких пациентов клиническая ремиссия сохранялась по полной шкале Мейо в течение года (52 нед).