

## Правительство утвердило порядок помощи детям за счет средств фонда «Круг добра»

Премьер-министр РФ Михаил Мишустин утвердил порядок лекарственного обеспечения и оказания медпомощи детям с тяжелыми и редкими заболеваниями за счет средств фонда «Круг добра». Финансирование направят на оплату лекарств и медицинских изделий, в том числе незарегистрированных, при необходимости будет оплачиваться лечение детей за рубежом.

Согласно документу, средства могут направляться на оплату дорогостоящих и уникальных методов лечения с доказанной эффективностью, в частности клеточной и генной терапии. Порядок устанавливает, что в случае необходимости тяжелобольные дети будут получать лекарства и медицинские изделия, не зарегистрированные в России, но имеющие одобрение регулирующих органов Евросоюза (EMA) или США (FDA). Также прописана возможность оплаты лечения за рубежом, включая покрытие расходов на транспорт и проживание.

Решение по каждому случаю будет принимать экспертный совет фонда на основании эпикриза и рекомендаций, подготовленных медицинской организацией, где проводилось лечение.

Правилами предусматриваются условия включения заболевания в перечень: оно должно иметь орфанный статус, относиться к хроническим болезням с тяжелым течением, отсутствие патогенетического лечения может приводить к выраженным нарушениям жизненных функций или летальному исходу в детском возрасте. Перечень пересматривается не реже одного раза в два года.

Также правительство утвердило критерии, при которых лекарства будут исключаться из перечней для заку-

пок. Один из них — включение в перечни альтернативных препаратов «преимущественно отечественного производства» с доказанными клиническими или клинико-экономическими преимуществами.

Действие постановления распространяется на правоотношения, возникшие с февраля 2021 г. Это связано с тем, что фонд уже начал выполнять свою миссию.

Михаил Мишустин также подписал распоряжение об утверждении состава совета фонда. В него вошли представители Аппарата Правительства, Минздрава, Минфина, Минтруда, ФНС, а также уполномоченный при Президенте по правам ребенка.

Экспертный и попечительский советы фонда утвердили несколько незарегистрированных лекарств, необходимых для лечения редких болезней. В их числе — препарат генной терапии Золгенсма (онасемноген абепарвовек) для лечения спинальной мышечной атрофии, Карзиба (динутуксимаб бета) от нейроblastомы. Они пока не закупились из-за отсутствия нужных регламентов.

«Круг добра» финансируется за счет отчислений от повышенной ставки НДФЛ, которая действует для доходов свыше 5 млн рублей в год, — эти средства поступают в федеральный бюджет. Всего на 2021 г. в федеральном бюджете на эти цели предусмотрено 60 млрд рублей, на 2022 г. — 64 млрд рублей, на 2023 г. — 68,5 млрд рублей. Первый транш в 10 млрд рублей был направлен в феврале. Почти все эти средства уже израсходованы на приобретение зарегистрированных лекарств.

<http://government.ru/news/42283/>

<https://vademec.ru/news/2021/05/22/>

## EMA рекомендует разрешить генный препарат для терапии редкого наследственного заболевания

Европейское агентство по лекарственным средствам (European Medicines Agency; EMA) рекомендовало предоставить компании из США «bluebird bio» разрешение на маркетинг генного препарата Skysona (Скисона, эливалдоген аутоотемцел) для лечения детей с церебральной адренолейкодистрофией (ЦАЛД) — тяжелой формой редкого наследственного неврологического заболевания.

ЦАЛД — наиболее распространенная форма адренолейкодистрофии (АЛД) — редкой патологии, которая поражает примерно 1 из 21 000 новорожденных мальчиков. Это тяжелое прогрессирующее неврологическое заболевание вызвано мутациями в гене *ABCD1*, кодирующем пероксисомный транспортный белок ALDP (белок адренолейкодистрофии). Он необходим для расщепления в организме жирных кислот с очень длинной цепью. Поскольку пациенты с ЦАЛД не могут расщеплять эти вещества, они постепенно накапливаются в клетках мозга, что приводит к воспалению и разрушению миелина.

У 40% мальчиков с диагнозом АЛД, как правило, в детстве развивается ЦАЛД. Для заболевания характерно, что после кажущегося нормальным развития в раннем детстве наступает быстрая неврологическая дегенерация в возрасте 4–10 лет, приводящая в конечном итоге к летальному исходу. При отсутствии лечения почти половина пациентов с ЦАЛД умирает в течение 5 лет после появления симптомов.

Поскольку раннее выявление АЛД и установление диагноза ЦАЛД имеет решающее значение для прогноза заболевания, очень полезен соответствующий скрининг новорожденных, который из европейских стран внедрило только Нидерланды. В настоящее время нет лекарств, одобренных для лечения этого заболевания. В лечении X-сцепленной адренолейкодистрофии с 90-х годов XX в. применяется аллогенная трансплантация гемопоэтических клеток от здорового донора. Однако она эффективна лишь на очень ранней стадии заболевания, сопряжена с опасностью реакции «трансплантат против хозяина»,

с токсичностью режима подготовки к трансплантации (миелоабляции) и со сложностью подбора донора.

Генетически модифицированные аутологичные клетки CD34+ для последующего введения пациентам после проведения миелоабляционной терапии — это и есть препарат эливальдоген аутоцемел (Скисона). Для его получения незрелые клетки костного мозга, взятые у пациента, генетически модифицируют *ex vivo* с помощью лентивирусного вектора, кодирующего *ABCD1* дикого типа, а затем повторно вводят пациентам, прошедшим полную миелоабляцию и лимфодеплецию. Когда модифицированные гемопоэтические стволовые клетки возвращают пациенту путем внутривенной капельной инфузии, они приживаются в костном мозгу и распределяются по всему организму, включая периферические ткани и центральную нервную систему, будучи постоянным эндогенным источником недостающего белка *ABCD1*. Тем самым замедляется прогрессирование этого метаболического заболевания.

Рекомендация ЕМА для получения разрешения на маркетинг основана на данных клинического исследования с участием 32 пациентов мужского пола с ЦАЛД в возрасте 17 лет и младше. Для сравнения использо-

вали результаты другого исследования, в котором 59 пациентам была проведена трансплантация стволовых клеток (от брата или сестры). Все пациенты основного клинического исследования были включены в долгосрочное катамнестическое исследование.

Анализ, проведенный через 24 мес после инфузии с участием 30 участников, показал, что у 27 из них (90%) лечение препаратом позволило сохранить двигательную функцию и коммуникативную способность, а также улучшило выживаемость по сравнению с нелечеными пациентами на ранней стадии церебрального заболевания.

Наиболее серьезной побочной реакцией была панцитопения. Добавление нового гена в стволовые клетки теоретически может вызвать рак крови. Это не было замечено во время клинических исследований, но после лечения пациенты должны в динамике контролировать анализы крови на наличие каких-либо признаков лейкозов.

Рекомендация ЕМА является промежуточным шагом на пути препарата к пациентам, еще не одобренного к применению ни в одной из стран. Решение о разрешении на маркетинг будет принимать Европейская комиссия.

[www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu), [www.apteka.ua](http://www.apteka.ua)

## Минздрав РФ одобрил применение препарата секукинумаб для детей с псориазом

NEWS

276

НОВОСТИ

Минздрав России одобрил лекарственный препарат секукинумаб (Коззентикс, Новартис Фарма АГ, Швейцария) для лечения бляшечного псориаза средне-тяжелой и тяжелой степени тяжести у детей в возрасте старше 6 лет и подростков, которым показана системная терапия или фототерапия. Ранее препарат был одобрен для лечения псориаза у взрослых пациентов.

Секукинумаб — это первый полностью гуманизированный биологический препарат, разработанный для подавления IL-17A, цитокина, связанного с системным воспалением при таких заболеваниях, как бляшечный псориаз, псориатический артрит и др.

Одобрение лекарственного препарата в показании «псориаз у детей» было основано на результатах двух международных клинических исследований III фазы, в которых приняли участие дети и подростки в возрасте от 6 до 18 лет с бляшечным псориазом умеренной и тяжелой степени.

В первом — рандомизированном двойном слепом плацебо-контролируемом исследовании с участием 162 детей — оценивалась эффективность и безопасность ингибитора IL-17A в течение 52-недельного периода. Было показано, что как низкие, так и высокие дозы секукинумаба способствовали уменьшению проявления кожных симптомов и улучшению качества жизни пациентов по сравнению с плацебо. Скорость и выраженность очищения кожных покровов оценивалась с помощью индекса распространенности и тяжести псориаза PASI: значение 100 соответствует полностью чистой коже. На 12-й нед индекса PASI 75 достигли 55% пациентов, получавших низкие дозы препа-

рата, по сравнению с 10% в группе плацебо и 86% детей в группе приема 150 мг секукинумаба против 19% детей, получавших плацебо. У 32% пациентов, получавших 75 мг секукинумаба, и у 81%, получавших 150 мг препарата, кожа стала чистой (0 по шкале IGA (Investigator's Global Assessment — Общая оценка заболевания исследователем); у 81% детей в группе 75 мг — практически чистой (1 по шкале IGA), когда в контрольной группе этот показатель составил лишь 5% в обоих случаях.

Изменения в качестве жизни оценивались с применением индекса качества жизни дерматологических пациентов детского возраста (Children's Dermatology Life Quality Index; CDLQI). В группе детей с бляшечным псориазом среднетяжелой степени, получавших низкую дозу препарата, уже на 12-й нед 50% детей сообщили, что больше не испытывают негативного влияния симптомов псориаза на качество жизни. Среди детей с бляшечным псориазом тяжелой степени, получавших низкую дозу лекарственного средства, к 12-й нед такой ответ дали 44,7% пациентов, а к 52-й нед число таких пациентов составляло 60,6%.

Во втором рандомизированном открытом исследовании оценивалась безопасность препарата через 208 нед приема у 84 детей в возрасте от 6 лет и старше с бляшечным псориазом от умеренной до тяжелой степени. Профили безопасности, представленные в двух исследованиях, соответствовали профилю безопасности, описанному в исследованиях бляшечного псориаза у взрослых, новых нежелательных реакций не наблюдалось.

<https://www.mdedge.com>

# Новый препарат для лечения ВИЧ у детей в возрасте от 6 лет и старше

Препарат Биктарви® (тенофовира алафенамид, эмтрицитабин, биктегравир) теперь доступен для лечения инфекции ВИЧ-1 не только у взрослых, но и детей в возрасте от 6 лет и старше с массой тела не менее 25 кг при отсутствии каких-либо мутаций, связанных с резистентностью к препаратам класса ингибиторов интегразы, эмтрицитабину или тенофовиру. Министерство здравоохранения Российской Федерации официально обновило инструкцию по медицинскому применению препарата 19 мая 2021 г.

В феврале 2018 г. препарат был одобрен для лечения инфекции ВИЧ-1 у взрослых пациентов в США, а затем, в июне 2018 г., и в Европейском Союзе. В России препарат был зарегистрирован Минздравом России в январе 2020 г. для лечения ВИЧ-инфекции у взрослых. Это один из самых современных препаратов с инновационным режимом лечения, который призван повысить приверженность терапии за счет ее простоты и удобства: лекарство следует принимать всего один раз в день, независимо от графика приема пищи и режима сна.

В клинических исследованиях у взрослых была продемонстрирована эффективность препарата, в том числе у пациентов с высокой вирусной нагрузкой и низким уровнем клеток CD4. Препарат не повышает сердечно-сосудистый риск у пациентов с ВИЧ и имеет благоприятный профиль переносимости в отношении функ-

ции почек, в частности, в клинических исследованиях не было зафиксировано случаев прерывания лечения из-за развития нежелательных явлений со стороны почек и мочевыводящих путей.

Препарат обладает высоким барьером резистентности (в ходе клинических исследований не было зарегистрировано ни одного случая ее развития) и хорошей переносимостью (прерывание терапии вследствие нежелательных явлений, связанных с приемом препарата составило менее 2%) [1].

Пациенты, участвовавшие в клинических исследованиях, отмечали меньшее количество нежелательных реакций, таких как тошнота, нарушение сна и нейропсихические расстройства, в сравнении с режимами терапии, содержащими долутегравир [2].

Наиболее часто регистрируемыми нежелательными реакциями в клинических исследованиях были головная боль (5%), диарея (5%) и тошнота (4%).

Эффективность и безопасность препарата у пациентов младше 6 лет с массой тела менее 25 кг не установлена.

1. Workowski K, et al. vCROI 2021. Poster 415
2. Gilead Announces 96-Week Results From Phase 3 Study of Biktarvy® for the Treatment of HIV-1 in Adults New to HIV, Oct. 3 2018

[www.npjtoday.com](http://www.npjtoday.com)

## ВАКЦИНЫ И ИММУНОПРОФИЛАКТИКА СОВРЕМЕННОМ МИРЕ. РУКОВОДСТВО ДЛЯ ВРАЧЕЙ

Под редакцией: Намазовой-Барановой Л.С., Брико Н.И., Фельдблюм И.В.  
М.: ПедиатрЪ, 2021. — 648 с.

В монографии представлены новые сведения о роли иммунопрофилактики в программировании и сохранении здоровья человека, описаны иммунобиологические препараты для активной и пассивной иммунизации детей и взрослых разных возрастных групп и разного состояния здоровья. Особое внимание уделено описанию инфекционных болезней, предотвратимых с помощью вакцинации. Отдельная глава посвящена новой коронавирусной инфекции COVID-19, в том числе, принципам плановой вакцинации в период пандемии, описаны новые препараты для защиты от SARS-CoV-2.

Монография адресована специалистам, занимающимся проблемами вакцинации — педиатрам, терапевтам, хирургам, акушерам-гинекологам, гериатрам, эпидемиологам, врачам других специальностей, преподавателям высшей школы и колледжей по медицинским и биологическим специальностям, студентам медицинских и фармацевтических вузов и колледжей, а также ординаторам и аспирантам.

