

FDA одобрило препарат для лечения кожного зуда, связанного с прогрессирующим семейным внутрипеченочным холестазом

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило препарат одевиксibat (Bylvy, Albireo Pharma, США) — первое средство от зуда, связанного со всеми типами прогрессирующего семейного внутрипеченочного холестаза (ПСВХ).

ПСВХ является генетически детерминированным заболеванием с аутосомно-рецессивным типом наследования и представляет собой группу хронических болезней, сопровождающихся холестазом, которые дебютируют в младенческом возрасте и в исходе которых, как правило, развивается цирроз печени в течение первых 10 лет жизни.

Зуд является наиболее частым проявлением болезни и приводит к серьезному снижению качества жизни. При ПСВХ клетки печени не могут выводить желчные кислоты (ЖК) с желчью, что приводит к накоплению токсичных веществ в печени. Хотя точная причина сильного зуда у пациентов с ПСВХ неизвестна, он может быть связан с повышенным уровнем ЖК в организме и коже.

Одевиксibat — ингибитор транспорта ЖК в подвздошной кишке, действует локально в дистальном отделе подвздошной кишки, уменьшая обратный захват ЖК и увеличивая их клиренс через толстую кишку, тем самым снижая концентрацию ЖК в сыворотке крови.

FDA одобрило препарат на основе исследований III фазы PEDFIC 1 и PEDFIC 2, доказывающих, что он может помочь облегчить зуд и снизить количество ЖК в сыворотке крови пациентов. Пока неизвестно, может ли одевиксibat снизить потребность в трансплантации печени.

В PEDFIC 1 были включены 62 ребенка с ПСВХ и сильным зудом, 20 из которых получали плацебо, а 42 — одевиксibat, принимаемый один раз в день во время еды утром. Одевиксibat соответствовал 2 основным конечным точкам: препарат уменьшал зуд ($p = 0,004$) и уменьшал концентрацию ЖК в сыворотке крови ($p = 0,003$). В PEDFIC 2 — долгосрочном открытом расширенном исследовании — влияние одевиксibата на зуд и ЖК сыворотки сохранялось до 48 нед. Была отмечена хорошая переносимость препарата в обоих случаях, при этом наиболее встречаемыми побочными эффектами со стороны желудочно-кишечного тракта, связанными с лечением, были диарея / частый стул. Серьезных нежелательных явлений, связанных с лечением, не было. FDA сообщило, что детям, принимающим препарат, должны периодически проводить исследования функции печени. Одевиксibat может влиять на всасывание жирорастворимых витаминов, таких как A, D, E и K. Таким образом, пациентов следует контролировать на предмет дефицита жирорастворимых витаминов во время приема препарата.

Medscape, FDA

Новое в лечении сахарного диабета 2-го типа у детей

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило эксенатид пролонгированного действия (Bydureon / Bydureon BCise, AstraZeneca, Великобритания) для использования у детей с сахарным диабетом 2-го типа (СД2) в возрасте от 10 лет и старше.

Ранее одобренный для взрослых, этот инъекционный препарат является вторым агонистом рецепторов глюкагоноподобного пептида-1 (аГПП-1), одобренным для использования при детском СД2 после лираглутида (Victoza, Novo Nordisk, Дания) в 2019 г., и первым, вводимым один раз в неделю.

Два продукта, различающихся конструкцией устройства для доставки препарата и процедурой смешивания, теперь могут быть рекомендованы в дополнение к диете и физической нагрузке для улучшения гликемического контроля у педиатрических пациентов с СД2 в возрасте 10 лет и старше. Необходимо отметить, что эксенатид с пролонгированным высвобождением не рекомендован в качестве терапии первой линии для пациентов, заболевание которых не контролируется с помощью диеты и физических упражнений, также его нельзя применять при сахарном диабете 1-го типа.

Одобрение препарата было основано на 24-недельном двойном слепом плацебо-контролируемом исследовании с участием 82 детей с СД2 в возрасте от 10 лет и старше, рандомизированных для терапии 2 мг эксенатиды с пролонгированным высвобождением один раз в неделю или плацебо. На 24-й нед у пациентов, получавших эксенатид с пролонгированным высвобождением, наблюдалось снижение HbA1c в среднем на 0,25%, тогда как у пациентов, получавших плацебо, отмечалось повышение HbA1c в среднем на 0,45% при общей средней разнице $-0,70\%$ между двумя группами. Побочные эффекты были аналогичны тем, которые наблюдались у взрослых, и включали реакции в месте инъекции, головную боль и дискомфорт в желудочно-кишечном тракте.

Таким образом, в настоящее время единственным пероральным препаратом, одобренным для лечения детского СД2, является метформин, в то время как из инъекционных препаратов доступны инсулин и два препарата аГПП-1. Продолжаются исследования III фазы у педиатрических пациентов для целого ряда пероральных сахароснижающих препаратов, включая ингибиторы натрий-глюкозного котранспортера 2-го типа (дапаглифлозин и эмпаглифлозин), а также ингибиторы дипептидилпептидазы-4 (алоглиптин и линаглиптин). Результаты ожидаются в ближайшие 1–2 года.

Medscape, FDA

Одобен первый пероральный препарат для лечения детей с рассеянным склерозом

Европейская комиссия одобрила препарат терифлуноמיד (Aubagio, Sanofi, Франция) в качестве первого перорального препарата первой линии для детей и подростков в возрасте от 10 до 17 лет с рецидивирующим/ремиттирующим рассеянным склерозом (РС).

По существующим показаниям препарат разрешен для взрослых в возрасте 18 лет и старше. При этом ранее FDA отклонило результаты как недостаточные и обязало провести еще одно испытание средства на детях.

Одобрение терифлуномида для группы педиатрических пациентов основано на данных TERIKIDS — многоцентрового рандомизированного двойного слепого плацебо-контролируемого исследования с параллельными группами, в котором приняли участие 166 педиатрических пациентов с ремиттирующим РС в 22 странах мира. Исследование включало период скрининга (до 4 нед) с последующим периодом двойного слепого лечения (до 96 нед после рандомизации). В настоящее время продолжается открытая расширенная часть исследования III фазы TERIKIDS.

Хотя терифлуноמיד не достиг первичной конечной точки в исследовании, не сумев показать значительного улучшения по сравнению с плацебо в снижении клинических рецидивов, в количественном отношении препарат снизил этот показатель на 34%. Компания заявила, что на исследование повлияло большее, чем ожидалось, количество пациентов, переходящих с основной двойной слепой части исследования на открытую расширенную фазу, что снизило мощность его статистических критериев. При этом вторичные конечные точки показали, что терифлуноמיד значительно уменьшал количество поражений T1 с усилением гадолинием, а также новых и увеличивающихся поражений T2 при МРТ-сканировании. В исследовании были зарегистрированы хорошие профили переносимости и безопасности препарата.

До одобрения Aubagio единственными вариантами для лечения детей с РС были инъекционные методы, такие как β -интерфероны и глатирамера ацетат.

Pharmvestnik

В Российской Федерации зарегистрирован первый в мире препарат для лечения синдрома короткой кишки

В России 24 июня был зарегистрирован препарат тедуглутид (Гэттестив, Такеда Россия) — первый в мире лекарственный препарат, одобренный для лечения пациентов с синдромом короткой кишки с кишечной недостаточностью (СКК-КН) в возрасте от 1 года и старше.

СКК-КН — снижение функциональности тонкой кишки в результате резекции или врожденных пороков, приводящее к хронической кишечной недостаточности и нарушению адекватного роста и развития пациента. Заболевание встречается с частотой от 1 до 5 человек на 1 млн, летальность при синдроме короткой кишки составляет от 11 до 37,5%. Пациентам с СКК-КН необходимо поддерживать жизнедеятельность с помощью парентерального питания (ПП) и инфузионной терапии (ИТ) на протяжении всей жизни. До сегодняшнего дня ПП/ИТ оставалась единственным вариантом терапии для поддержания жизни пациента, однако проявления СКК-КН и полная зависимость от парентерального питания могут приводить к развитию серьезных осложнений и заболеваний.

Тедуглутид имитирует действие природного гормона — глюкагоноподобного пептида-2, стимулируя адаптацию кишечника и увеличивая абсорбционную способность слизистой оболочки кишки. Впоследствии это может привести к сокращению и полному отказу от ПП/ИТ.

Одобрение препарата основано на 24-недельном рандомизированном многоцентровом двойном слепом исследовании с участием 59 пациентов в возрасте от 1 года до 17 лет, зависимых от ПП/ИТ. Результаты исследования продемонстрировали стойкую эффективность препарата в динамике с постоянным снижением потребности пациентов в ПП/ИТ: к 24-й нед применения необходимый объем ПП/ИТ снизился на 41,57%, а необходимая длительность ПП/ИТ — на 26,09%. Три пациента к 24-й нед применения препарата достигли независимости от парентерального питания. Схожие результаты исследований и отсутствие нежелательных реакций было отмечено и у взрослых пациентов. В Европейском Союзе тедуглутид был одобрен в 2012 г., Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США впервые одобрило тедуглутид для взрослых в 2012 г., а в мае 2019 г. разрешило его применение у детей с СКК в возрасте от 1 года.

В России, по данным ежегодного бюллетеня Экспертного совета по орфанным заболеваниям, на 2019 г. числился 161 ребенок с СКК. В начале июня СКК был включен в перечень заболеваний, терапию которых (тедуглутид) будет финансировать фонд «Круг добра».

Vademec.ru