

## FDA одобрило первый препарат для лечения врожденной атимии

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (Food and Drugs Administration; FDA) одобрило препарат Rethymic (аллогенная приготовленная ткань тимуса e-agdc) компании Enzyvant Therapeutics, Inc. для лечения педиатрических пациентов с врожденной атимией — редким иммунным заболеванием. Дети с этой болезнью обычно умирают в течение первых двух лет жизни и могут иметь повторные, часто опасные для жизни, инфекции.

Одобрённый препарат состоит из аллогенной (донорской) ткани тимуса человека, которая обрабатывается и культивируется, а затем имплантируется больным атимией, чтобы помочь восстановить их иммунитет. Дозировку препарата необходимо подбирать индивидуально в зависимости от площади поверхности тела пациента. Препарат не показан для лечения больных с тяжелым комбинированным иммунодефицитом. Это

первый продукт из ткани вилочковой железы, одобренный в США.

Безопасность и эффективность препарата были установлены в клинических исследованиях с участием 105 пациентов в возрасте от 1 мес до 16 лет, каждый из которых получил однократное введение Rethymic в период с 1993 по 2020 г. Rethymic улучшил выживаемость детей с врожденной атимией, и большинство из них прожили не менее двух лет. Дети, получавшие лечение Rethymic, которые выживали после первого года жизни, обычно выживали в долгосрочной перспективе. Rethymic также снизил частоту и тяжесть инфекций.

Восстановление иммунной функции у пролеченных пациентов занимает 6 мес или больше, поэтому важно, чтобы до восстановления иммунитета пациенты продолжали принимать строгие меры предосторожности для предотвращения инфекций.

Источник: [www.fda.gov](http://www.fda.gov)

## FDA одобрило эволокумаб для лечения семейной гиперхолестеринемии у детей

436

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (Food and Drugs Administration; FDA) одобрило эволокумаб (Repatha, Amgen) — гиполипидемическое средство из группы ингибиторов PCSK9 для лечения семейных форм гиперхолестеринемии (СГ) у детей в возрасте 10 лет и старше.

Положительное решение FDA было основано на результатах нескольких рандомизированных исследований. В первом исследовании (HAUSER-RCT) принимали участие пациенты в возрасте от 10 до 17 лет, имеющие гетерозиготную форму СГ и получающие статины с эзетимибом или без него. Согласно результатам, применение эволокумаба 420 мг в течение 24 нед приводило к снижению холестерина липопротеинов низкой плотности (ЛПНП) в среднем на 38% по сравнению с плацебо.

В другом исследовании, с участием педиатрических пациентов в возрасте 11–17 лет с гомозиготной формой СГ, наблюдалось снижение холестерина ЛПНП в среднем на 14% по сравнению с исходным уровнем у больных, получавших эволокумаб 420 мг ежемесячно подкожно в течение 80 нед.

Наиболее частыми побочными эффектами, связанными с приемом препарата, являются назофарингит, головная боль, боль в горле, а также инфекции верхних дыхательных путей.

Ранее, в 2015 г., эволокумаб был одобрен FDA для использования у взрослых пациентов с гетеро- и гомозиготной СГ, а в 2017 г. — у пациентов с атеросклеротическими сердечно-сосудистыми заболеваниями, не достигших целевых значений холестерина липопротеинов низкой плотности (ЛПНП) на фоне приема статинов и эзетимиба.

Источник: [www.fda.gov](http://www.fda.gov)

## FDA одобрило первый препарат гормона роста длительного действия для детей

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (Food and Drugs Administration; FDA) и Европейское агентство по лекарственным средствам (European Medicines Agency; EMA) одобрило лонапегсоматропин (Skytrofa, Ascendis Pharma) — первый препарат гормона роста для лечения дефицита гормона роста у детей.

Основанием для подобного решения регуляторов стали недавно представленные результаты 3-й фазы исследования heiGHt, в котором эффективность лонапегсоматропина сравнивалась со стандартно применяющимся соматропином.

В открытом рандомизированном исследовании, продолжительность которого составила 52 нед, при-

нял участие 161 ребенок с дефицитом гормона роста. При этом лонапегсоматропину удалось продемонстрировать не только не худший эффект, но и даже некоторое превосходство над соматропином в скорости роста за год (11,2 против 10,3 см/г;  $p = 0,009$ ).

В документе FDA отмечается, что лонапегсоматропин одобрен для лечения детей 1 года и старше, масса тела которых составляет как минимум 11,5 кг, имеющих низкий рост, причиной чего является дефицит секреции эндогенного гормона роста.

С 1987 г. стандартным лечением детей с дефицитом гормона роста являются ежедневные инъекции соматропина (рекомбинантный человеческий гормон роста). Безусловным преимуществом лонапегсоматропина представляется кратность его введения, что может обеспечить лучшую приверженность пациентов лечению. Кроме этого, ожидается, что стоимость препарата окажется даже меньше стоимости стандартно используемого соматропина.

*Источник: [www.medscape.com](http://www.medscape.com), [www.internist.ru](http://www.internist.ru)*