

Первый препарат для лечения детей с ахондроплазией

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (Food and Drugs Administration; FDA) одобрило первый препарат для лечения детей с ахондроплазией в возрасте 5 лет и старше — восоритид (Voxzogo, BioMarin Pharmaceutical, США). Препарат показан тем пациентам, у которых есть ахондроплазия и открытые эпифизы (пластины роста), означающие, что у них все еще имеется потенциал для роста. Препарат уже был одобрен Европейской комиссией в августе 2021 г.

Ахондроплазия вызывается мутацией гена рецептора фактора роста фибробластов 3 (FGFR3), что приводит к ингибированию минерализации хондроцитов (хрящевых клеток) в пластинке роста. Заболевание характеризуется укорочением конечностей в сочетании с нормальной длиной туловища. Особенности ахондроплазии являются низкий рост (менее 130 см), изогнутый вперед позвоночник, относительно большая голова с выступающими лобными буграми, седловидный нос. Заболевание возникает у одного из 20 тыс. новорожденных, при этом женщины страдают чаще мужчин.

Инновационный препарат представляет собой биологический аналог натрийуретического пептида

типа С — мощного стимулятора эндохондральной оссификации, который предотвращает ингибирование минерализации хондроцитов, обусловленное мутацией гена FGFR3.

Препарат зарегистрирован в рамках ускоренной процедуры одобрения FDA на основании данных двойного слепого плацебо-контролируемого исследования III фазы с участием 121 ребенка в возрасте 5–17 лет с открытыми эпифизами. Пациенты были рандомизированы для получения инъекций восоритида или плацебо. Те, кто получал препарат, выросли в среднем на 1,57 см по сравнению с контрольной группой.

Наиболее частыми побочными эффектами были реакции в месте инъекции, рвота и снижение артериального давления.

Теперь компания должна будет провести постмаркетинговое исследование для оценки окончательного роста взрослого человека.

У разработчика пока нет данных о том, помогает ли препарат предотвратить потерю слуха, апноэ во сне и жизнеугрожающие проблемы со скелетом, которые могут возникнуть в результате карликовости.

<https://www.medscape.com/viewarticle/963412>

Новое показание для секукинумаба

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило секукинумаб (Cosentyx, Novartis, Швейцария) для лечения энтезит-ассоциированного артрита (ЭАА) у детей в возрасте от 4 лет и старше. Согласно пресс-релизу от 22 декабря, FDA также расширило показания секукинумаба для лечения псориазического артрита (ПсА), включив в него детей в возрасте 2 лет и старше.

Секукинумаб — первый и единственный полностью человеческий биологический препарат, который напрямую ингибирует IL-17A, цитокин, участвующий в воспалении ПсА, умеренном и тяжелом бляшечном псориазе, анкилозирующем спондилите и нерадиографическом аксиальном спондилоартрите. Ранее в этом году препарат был одобрен в качестве системного средства первой линии для лечения педиатрического псориаза.

Одобрение FDA было основано на данных фазы III исследования JUNIPERA, двухлетнего трехчастного двойного слепого плацебо-контролируемого рандоми-

зированного исследования с отменой препарата, в котором участвовали 86 детей и подростков в возрасте от 2 до 17 лет с подтвержденным диагнозом ЭАА или ПсА. Исследования показали, что пациенты с активным ПсА ($n = 34$; средний возраст 12,2 лет), получавшие секукинумаб, имели значительно более длительное время до обострения, показывая снижение на 85% в риске обострений ($p < 0,001$) по сравнению с плацебо.

Исследование также показало, что пациенты с активным ЭАА ($n = 52$; средний возраст 13,7 лет), получавшие секукинумаб, имели более длительное время до обострения, что показало снижение риска обострения на 53% по сравнению с плацебо.

Наиболее частыми побочными эффектами являются симптомы простуды, диарея и инфекции верхних дыхательных путей. Новые случаи воспалительного заболевания кишечника или обострения могут возникать при приеме секукинумаба.

<https://www.medscape.com/viewarticle/965486>