

Новый препарат в лечении синдрома Леннокса – Гасто

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило пероральный раствор фенфлурамина (Fintepla) — лекарственное средство для лечения судорог, связанных с синдромом Леннокса – Гасто (СЛГ) — редкой формой детской эпилепсии. Препарат уже одобрен в США для лечения судорог, связанных с синдромом Драве, у пациентов в возрасте от 2 лет и старше.

Одобрение FDA было подтверждено данными глобального рандомизированного плацебо-контролируемого клинического исследования III фазы с участием 263 пациентов с СЛГ о безопасности и эффективности

препарата. Исследование показало, что фенфлурамин в дозе 0,7 мг/кг/сут значительно снижал частоту дроп-атак по сравнению с плацебо ($p = 0,0037$): почти у 25% детей, принимавших препарат, наблюдалось снижение частоты дроп-атак как минимум на 50% в течение 28 дней; 18% имели снижение от более 50% до менее 75%, а 6% имели снижение более чем на 75%. Частыми побочными реакциями у детей, получавших фенфлурамин, были диарея, снижение аппетита, утомляемость, сонливость и рвота. Препарат Fintepla доступен только в рамках программы ограниченного распространения лекарств в США.

<https://www.medscape.com/viewarticle/971158>

Представлен список заболеваний для лечения препаратами off-label

Министерство здравоохранения Российской Федерации подготовило проект перечня заболеваний, при которых врачи смогут назначать пациентам препараты off-label (вне инструкции).

30 декабря 2021 г. президент Российской Федерации Владимир Путин утвердил закон о возможности оплаты за счет средств системы ОМС препаратов off-label. В документе не перечисляются конкретные заболевания, при лечении которых разрешается применять препараты вне инструкции (перечень болезней как раз должен был сформировать Минздрав России).

Согласно представленному проекту постановления Правительства Российской Федерации, проходить лечение препаратами off-label смогут не только дети с онкологическими и онкогематологическими заболеваниями (как предполагалось в первоначальной версии документа), но и взрослые — с болезнями нервной системы, органов дыхания и пищеварения, глаза и его придаточного аппарата, уха, системы кровообращения. Кроме того, в списке присутствуют психические расстройства, болезни костно-мышечной системы и соединительной

ткани, инфекционные и паразитарные заболевания, врожденные аномалии и пр.

Из финансово-экономического обоснования к представленному Минздравом России перечню следует, что включение off-label-препаратов в стандарты оказания медпомощи по тому или иному заболеванию потребует увеличения тарифа и, следовательно, приведет к увеличению расходов Федерального фонда ОМС. Например, увеличение числа лекарственных средств в стандартах медпомощи по онкологическим заболеваниям у детей за счет включения в них препаратов off-label, по предварительным подсчетам, увеличит стоимость лечения на 386,9 тыс. руб.

Минздрав в апреле также представил на общественное обсуждение список заболеваний, при которых достигшие совершеннолетия пациенты смогут наблюдаться в детских медорганизациях до достижения 21 года. В него вошли онкологические и онкогематологические заболевания.

<https://vademec.ru/news/2022/04/08/predstavlen-sписок-zabolevaniy-dlya-lecheniya-preparatami-off-label/>

Стартовал пилотный проект массового неонатального скрининга на СМА и первичные иммунодефициты

Первыми регионами, присоединившимися к пилотному проекту «Массовый неонатальный скрининг на спинальную мышечную атрофию (СМА) и первичные иммунодефициты (ПИД)», стали Владимирская и Рязанская области. В Медико-генетический научный центр имени академика Н.П. Бочкова (МГНЦ) уже поступило в общей сложности более 4500 образцов для исследований.

В настоящий момент в большинстве регионов России массовый неонатальный скрининг проводится только на 5 заболеваний: фенилкетонурию, адрено-

генитальный синдром (дисфункция коры надпочечников), врожденный гипотиреоз, галактоземию и муковисцидоз. Чтобы выявить эти тяжелые заболевания на досимптоматической стадии, у всех новорожденных берут кровь из пятки на 4-й или 7-й день после рождения.

С апреля 2022 г. всех новорожденных Владимирской и Рязанской областей дополнительно будут проверять на СМА и ПИД. Установить точный диагноз до проявления первых симптомов крайне важно для успешного лечения.