

Союз педиатров России информирует о размещении первого релиза МКБ-11

Союз педиатров России информирует о размещении первого релиза русскоязычной версии Международной статистической классификации болезней и проблем, связанных со здоровьем, одиннадцатого пересмотра — МКБ-11.

Приглашаем присоединиться к обсуждению терминологии (терминов, их определений, синонимов, краткого

и полного уточненного наименований и дополнительной информации). Предложения и/или замечания направляйте на адрес электронной почты selimzyanova@pediatr-russia.ru для последующего представления в Минздрав России.

Источник: <https://www.pediatr-russia.ru/news/soyuz-pediatrov-rossii-informiruet-o-razmeshchenii-pervogo-reliza-mkb-11/>

30-й Конгресс Международной педиатрической ассоциации (IPA 2023)

С 20 по 25 февраля 2023 г. в Гандинагаре (Гуджарат, Индия) состоялся 30-й Конгресс Международной педиатрической ассоциации (30th International Pediatric Association Congress).

Российскую делегацию, состоящую из 30 специалистов, возглавила президент Союза педиатров России Лейла Намазова-Баранова. Отечественные детские врачи из различных регионов нашей страны выступили с устными и постерными докладами по актуальным вопросам педиатрии, аллергологии и клинической иммунологии, иммунопрофилактики, редких болезней, доложили собственные результаты научных исследо-

ваний, получивших высокую оценку в ходе обсуждения.

В преддверии важного мероприятия в педиатрии 19 февраля 2023 г. состоялся Пре-конгресс «Катастрофы, связанные с изменением климата, и здоровье детей: больше, чем мы думаем», в рамках которого Лейла Намазова-Баранова выступила с докладом «Инфекционные и респираторные проблемы у детей при катастрофах, связанных с изменением климата».

Источник: <https://www.pediatr-russia.ru/news/30-kongress-mezhdunarodnoy-pediatricheskoj-assotsiatsii-ipa-2023/>

FDA одобрило первый препарат для лечения первичного иммунодефицита APDS

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило первый препарат для лечения редкого генетического заболевания — синдрома активированной фосфоинозитид-3-киназы дельта (Activated phosphoinositide 3-kinase δ syndrome; APDS).

Лениолисиб, который будет продаваться под торговой маркой Joenja, можно будет использовать в терапии пациентов в возрасте от 13 лет. Препарат является селективным ингибитором фосфоинозитид-3-киназы дельта в пероральной форме.

APDS представляет собой первичный иммунодефицит с тяжелой лимфоопролиферацией, инфекциями респираторного тракта, герпесвирусными инфекциями

и специфическими иммунологическими нарушениями. Заболевание является редким и поражает примерно 1–2 человека на миллион.

Одобрение FDA основано на данных исследования, которое показало, что препарат помогает пациентам нормализовать функции иммунной системы. Об этом свидетельствовало значительное увеличение количества В-клеток и уменьшение размера лимфатических узлов у участников исследования. Среди побочных эффектов фиксировались головная боль, синусит и атопический дерматит.

Источники: https://pharmvestnik.ru/content/news/FDA-odobrilo-pervyi-preparat-dlya-lecheniya-odnoi-iz-raznovidnostei-immunodeficit.html?utm_source=https://www.medscape.com/viewarticle/990117

FDA одобрило первое лекарство от синдрома Ретта

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило пероральный раствор трофинетида (Daybue, Acadia Pharmaceuticals) в качестве первого средства

для лечения синдрома Ретта у взрослых и детей в возрасте 2 лет и старше.

Синдром Ретта является редким генетическим нарушением развития нервной системы, симптомы обычно

проявляются в возрасте от 6 до 18 мес, при этом у пациентов наблюдается быстрое ухудшение состояния с потерей мелкой моторики и коммуникативных навыков.

Трофинетид представляет собой синтетический аналог аминоконцевого трипептида инсулиноподобного фактора роста 1 (ИФР-1), который в естественных условиях синтезируется в головном мозге. Препарат предназначен для лечения основных симптомов синдрома Ретта за счет потенциального уменьшения нейровоспаления и поддержки синаптической функции.

Одобрение трофинетида было подтверждено результатами базового исследования фазы III LAVENDER, в котором исследовали эффективность и безопасность трофинетида по сравнению с плацебо у 187 пациенток с синдромом Ретта в возрасте от 5 до 20 лет.

В общей сложности 93 участника были рандомизированы для перорального приема трофинетида два раза в день, а 94 участника получали плацебо

в течение 12 нед. Через 12 нед трофинетид продемонстрировал статистически значимое улучшение по сравнению с исходным уровнем по сравнению с плацебо как по опроснику поведения при синдроме Ретта (RSBQ), так и по 7-балльной шкале общего клинического впечатления-улучшения (CGI-I). Препарат также превзошел плацебо через 12 нед по ключевой вторичной конечной точке: совокупному баллу по Шкалам общения и символического поведения, профиль развития младенцев и малышей 2-го года жизни (CSBS-DP-IT Social) — шкале, по которой лица, осуществляющие уход, могут рано заподозрить у малышей развитие PAC.

Наиболее частыми побочными эффектами при лечении трофинетидом были диарея и рвота. Почти все эти явления расценивались как легкие или умеренные.

Источник: <https://www.medscape.com/viewarticle/989649>

FDA одобрило первый препарат для лечения атаксии Фридрейха

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило омавелоксолон (Skyclarys, Reata Pharmaceuticals) — первый препарат для лечения нейродегенеративного расстройства атаксии Фридрейха для взрослых и подростков в возрасте 16 лет и старше.

Атаксия Фридрейха — крайне редкое наследственное нейродегенеративное заболевание, от которого страдают примерно 5000 человек в США. Расстройство обычно диагностируется в подростковом возрасте и со временем постепенно ухудшается, вызывая прогрессирующее поражение головного и спинного мозга и периферических нервов.

Предыдущие исследования продемонстрировали, что передача сигналов ядерного фактора эритроидного происхождения 2, связанного с фактором 2 (Nrf2), сильно нарушена у пациентов с этим расстройством. Омавелоксолон является активатором белка Nrf2, защищающего от воспаления.

Одобрение FDA было подтверждено результатами рандомизированного двойного слепого плацебо-контролируемого исследования, включавшего 103 пациента с генетически подтвержденной атаксией Фридрейха и исходными баллами по модифицирован-

ной рейтинговой шкале атаксии Фридрейха (mFARS) от 20 до 80.

Лечение новым лекарственным средством привело к статистически значимым более низким показателям mFARS, что означает меньшее ухудшение состояния, по сравнению с плацебо на 48-й нед. Разница с поправкой на плацебо между двумя группами составила -2,41 балла ($P = 0,0138$).

mFARS — это клиническая оценка, которая измеряет прогрессирование заболевания, а именно глотание и речь, координацию верхних конечностей, координацию нижних конечностей и устойчивость в вертикальном положении.

Пациенты, которые продолжали лечение омавелоксолон в рамках открытого продления на срок до 3 лет, показали лучшие результаты по mFARS по сравнению с соответствующей группой пациентов из исследования естественного течения болезни.

Наиболее распространенными побочными эффектами, наблюдаемыми при лечении, являются повышение уровня ферментов печени (аланинаминотрансферазы и аспаратаминотрансферазы), головная боль, тошнота, боль в животе, утомляемость, диарея и скелетно-мышечная боль.

Источник: <https://www.medscape.com/viewarticle/988938>

Комбинация дабрафениб/траметиниб одобрена для лечения детской глиомы

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило дабрафениб (Тафинлар) с траметинибом (Мекинист) для детей в возрасте 1 года и старше, которым требуется системное лечение глиом низкой степени злокачественности с мутацией BRAF V600E.

Глиомы низкой степени злокачественности являются наиболее распространенными опухолями головного мозга у детей. Мутации BRAF V600 присутствуют в 15–20%.

Они связаны с менее благоприятным ответом на химиотерапию и более низкой выживаемостью.

Дабрафениб/траметиниб является первым системным препаратом, одобренным для передовой терапии низкоккачественных детских глиом с мутацией BRAF.

Комбинация была одобрена в июне 2022 г. для взрослых и детей с нерезектабельными или метастатическими солидными опухолями с мутацией BRAF V600E, но только после предыдущего лечения.