

Большинство современных подходов к лечению МДД направлены на устранение симптомов заболевания, а не на его основную генетическую причину.

Одобрённый препарат — Elevidys (деландистроген моксепарвовек) — представляет собой рекомбинантную генную терапию. Для доставки функциональной копии целевого гена, под контролем которого синтезируется укороченная форма дистрофина, используется аденоассоциированный вирус. Препарат вводят однократно внутривенно, что приводит к выработке микродистрофина. Белок микродистрофин необходим пациентам с МДД, поскольку их организм сам его не вырабатывает. Недостаток белка приводит к прогрессирующей потере мышечной силы.

Elevidys был одобрен по ускоренной схеме, которая применяется в отношении препаратов, предназначенных для лечения серьезных или опасных для жизни заболеваний с неудовлетворенной медицинской потребностью. Одобрение основано на данных рандомизированного клинического исследования, в ходе которого было установлено, что препарат увеличивает экспрессию микродистрофина у лиц в возрасте от 4 до 5 лет с МДД. FDA пришло к выводу, что эта суррогатная конечная точка с достаточной вероятностью может предсказывать клиническую пользу препарата.

Главным противопоказанием для применения препарата являются наличие делеции экзона 8 и/или экзона 9 в гене *DMD*, а также высокие титры предрасполагающих антител против вектора AAV rh74.

Несмотря на некоторые сомнения в отношении препарата со стороны FDA, агентство последовало решению консультативного комитета, который проголосовал в поддержку терапии (8 «за» и 6 «против»). Сомнения тех, кто голосовал против одобрения препарата, обусловлены данными клинических исследований по поводу его безопасности. Так, у 13 из 85 испытуемых зафиксированы серьезные побочные эффекты, однако это не стало поводом для прекращения терапии либо причиной смерти.

Компания Sarepta проводит фазу III клинических исследований на 126 пациентах для подтверждения эффективности препарата и должна показать результаты к концу 2023 г. В случае положительного исхода исследование станет поводом для получения традиционного одобрения от FDA.

Источник: <https://pharm.reviews/novosti/novosti-meditsiny/item/8495-v-ssha-odobrena-gennaya-terapiya-myshechnoj-distrofii-dyushenna-u-detej-4-5-let>
<https://www.medscape.com/s/viewarticle/993572>

Препарат для восполнения нехватки гормона роста получил одобрение в США

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило препарат Ngenla (соматрогон) от компании Pfizer для лечения дефицита гормона роста у детей, разработанный совместно с OPKO Health. Инъекции Ngenla разрешены к применению у детей в возрасте трех лет и старше. Препарат необходимо вводить еженедельно.

Дефицит гормона роста — редкое заболевание, которое встречается у одного из 3,5–10 тыс. детей и характеризуется недостаточной секрецией гормона роста, что приводит к очень низкому росту во взрослом возрасте и задержке полового созревания в случае отсутствия лечения.

В течение многих лет стандартом лечения были ежедневные инъекции гормона роста, но в последние годы

фармпроизводители сосредоточились на лечении заболевания препаратами длительного действия. В ходе исследований Ngenla показал такую же эффективность, как и гормон роста Genotropin (Pfizer), предназначенный для ежедневного применения.

Препарат Ngenla уже одобрен для детей в разных странах, включая Канаду, Японию и страны Европы. С выходом на рынок США разработка Pfizer будет конкурировать с Skytrofa (лонапегсоматропин) от Ascendis Pharma и Sogroya (сомапацитан) от Novo Nordisk, применяемыми аналогично — раз в неделю.

Источник: <https://gxpnews.net/2023/06/preparat-pfizer-dlya-vospolneniya-nehvatki-gormona-rosta-poluchil-odobrenie-v-ssha/>