

FDA одобрило два препарата генной терапии для лечения серповидноклеточной анемии

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило Casgevy и Lyfgenia — два препарата генной терапии для лечения серповидноклеточной анемии среди пациентов в возрасте от 12 лет и старше.

Примечательно, что Casgevy стал первым препаратом для реализации метода лечения на основе технологии редактирования генома CRISPR/Cas9, который был зарегистрирован FDA. Препарат был совместно разработан Vertex Pharmaceuticals и CRISPR Therapeutics.

Lyfgenia — это препарат, который использует лентивирусный вектор в качестве средства доставки генов в клетки. Его разработчиком выступила компания Bluebird Bio. С помощью этого метода лечения стволовые клетки крови пациента генетически модифицируются для производства в организме HbA^{T87Q}. Так называется гемоглобин, полученный с помощью генной терапии, который функционирует аналогично гемоглобину, вырабатываемому в организме здорового взрослого человека.

Безопасность и эффективность препаратов оценивались в ходе многоцентровых исследований среди взрослых и подростков, в анамнезе которых было несколько эпизодов вазоокклюзионного криза. В рамках двухгодичного наблюдения Casgevy смог купировать новые проявления криза у 93,5% пациентов (29 из

31 участника) в течение 12 мес. Ни у одного пациента не наблюдалось реакции отторжения трансплантата. В то время как эффективность Lyfgenia составила 88%: у 28 из 32 пациентов не отмечалось эпизодов криза на протяжении 6–18 мес.

Наиболее распространенными нежелательными явлениями при применении каждого из препаратов генной терапии были тромбоцитопения и лейкопения, изъязвление слизистой оболочки полости рта, тошнота, боли в спине и животе, рвота, фебрильная нейтропения (высокая температура, сопровождающаяся низким количеством лейкоцитов в крови). У пациентов, получавших Lyfgenia, наблюдались гематологические злокачественные новообразования (опухоли системы крови). Пациенты, получающие препарат, должны находиться под пожизненным наблюдением на предмет наличия заболеваний системы кроветворения.

В прошлом месяце препарат Casgevy получил также одобрение от британского регулятора в качестве средства от серповидноклеточной анемии. Великобритания стала первой в мире страной, разрешившей применение препарата, разработанного с помощью технологии CRISPR.

Источник: <https://pharmvestnik.ru/content/news/FDA-odobrilo-dve-gennye-terapii-dlya-lecheniya-serpovidnokletochnoi-anemii.html>

FDA одобрило дупилумаб для педиатрического лечения заболеваний пищевода

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило использование Dupixent (дупилумаб) для лечения эозинофильного эзофагита у детей в возрасте от одного года до 11 лет и массой тела не менее 15 кг.

Впервые препарат был одобрен для лечения этого заболевания у взрослых и детей 12 лет и старше с массой тела не менее 40 кг в мае 2022 г., что сделало его первым лекарственным средством для лечения иммунного заболевания в США.

При эозинофильном эзофагите в пищеводе накапливаются эозинофилы, что приводит к повреждению и воспалению, которые могут повлиять на способность принимать пищу. Хотя около 21 000 детей в возрасте 11 лет и младше в США проходят лечение от этой патологии, реальная распространенность может быть выше, поскольку симптомы часто ошибочно принимают за другие состояния.

Основанием для одобрения послужили данные исследования EoE KIDS фазы III. Исследование показало,

что через 16 нед 66% детей, получавших более высокие дозы препарата при многоуровневых режимах дозирования в зависимости от массы тела, достигли гистологической ремиссии заболевания (не более 6 эозинофилов в поле зрения при большом увеличении), что является первичной конечной точкой, по сравнению с 3% в группе пациентов, получавших плацебо.

На 52-й нед гистологическая ремиссия была сохранена у 17 из 32 детей (53%), получавших дупилумаб; гистологическая ремиссия также была достигнута у 8 из 15 детей (53%), перешедших на дупилумаб с плацебо. На 16-й нед, согласно отчетам лиц, осуществляющих уход, наблюдалось большее снижение доли дней с одним или несколькими признаками эозинофильного эзофагита у детей, получавших препарат, по сравнению с группой, получавшей плацебо.

Источник: <https://investor.regeneron.com/news-releases/news-release-details/dupixent-dupilumab-fda-approved-first-and-only-treatment>