

Расширение перечня заболеваний фонда «Круг добра»

Благотворительный фонд «Круг добра» включил церебротендинозный ксантоматоз (ЦТК, дефицит стерол-27-гидроксилазы) в перечень тяжелых и редких заболеваний. Члены экспертного совета также решили включить хенодзоксиколовую кислоту (ТН «Ледиант») в перечень лекарственных препаратов, медицинских изделий, технических средств реабилитации, закупаемых фондом, и предложили это решение на утверждение попечительскому совету фонда.

Церебросухожильный ксантоматоз — редкое ауточномно-рецессивное нарушение обмена холестерина и желчных кислот, связанное с геном стерол-27-гидроксилазы CYP27A1. Болезнь характеризуется варьирующим возрастом начала, прогрессирующим течением, широким спектром неврологических и экстракраниальных симптомов.

На заседании экспертный совет фонда «Круг добра» также одобрил расширение перечня заболеваний за счет хронической реакции «трансплантат против хозяина» (РТПХ) и атрофии зрительного нерва Лебера. Совет фонда вынес на утверждение попечительским советом фонда «Круг добра» препараты Резурок (МНН белумосудил) для терапии РТПХ и Раксон (МНН идебенон) для терапии атрофии зрительного нерва Лебера.

РТПХ — это иммуноопосредованное заболевание, возникающее после 100-го дня с момента трансплантации гемопоэтических стволовых клеток (ТГСК). Часто оно поражает несколько органов, что значительно снижает качество жизни и приводит к инвалидизации. По данным экспертов, в 2022 г. количество ТГСК у детей в России составило 860, в свою очередь, по статистике, РТПХ может развиваться у 30–40% всех реципиентов алло-ТГСК.

Резурок (МНН белумосудил) — первый зарегистрированный в мире таблетированный препарат, не имею-

щий аналогов. Он не зарегистрирован в Российской Федерации, однако рекомендован для третьей линии терапии хронической РТПХ. В связи с тем, что у пациентов часто имеются сопутствующие заболевания, длительность терапии зависит от результата. Эффект от терапии, как правило, достигается через полгода. Данный препарат следует начать незамедлительно применять у пациентов, что влечет за собой перспективу необходимости формирования его резерва на территории России.

Атрофия зрительного нерва Лебера — наследственное митохондриальное заболевание, характеризующееся атрофией зрительного нерва и потерей зрения. Оно может манифестировать в возрасте от 12 до 35 лет.

Данное заболевание входит в перечень редких (орфанных) заболеваний Министерства здравоохранения Российской Федерации и встречается в одном случае на 27–45 тыс. населения. Без терапии инвалидность наступает в 100% случаев. В России выявлено более 140 пациентов, в том числе более 50 — дети до 18 лет, которым может быть показана терапия таргетным препаратом с действующим веществом идебенон в корректной дозировке. По оценкам экспертов, за ближайшие 10 лет количество таких пациентов может составить 750 человек.

Источник: <https://xn--80abfdb8athfre5ah.xn--p1ai/%d0%b2-%d0%bf%d0%b5%d1%80%d0%b5%d1%87%d0%b5%d0%bd%d1%8c-%d0%b7%d0%b0%d0%b1%d0%be%d0%bb%d0%b5%d0%b2%d0%b0%d0%bd%d0%b8%d0%b9-%d1%84%d0%be%d0%bd%d0%b4%d0%b0-%d0%b2%d0%ba%d0%bb%d1%8e%d1%87%d1%91%d0%bd/>

<https://gxpnews.net/2024/02/krug-dobra-vklyuchil-v-spisok-zabolevanij-hronicheskuyu-reakciyu-transplantat-protiv-hozyaina-i-atrofiyu-zritel'nogo-nerva-lebera/>

Европейская комиссия одобрила новую вакцину для защиты детей от пневмококковой инфекции

Европейская комиссия выдала регистрационное удостоверение на 20-валентную конъюгированную пневмококковую вакцину Prevenar для иммунизации младенцев и детей в возрасте от 6 нед до 18 лет компании Pfizer. Препарат предотвращает пневмонию и острый средний отит, которые могут быть вызваны *Streptococcus pneumoniae*.

Prevenar обеспечивает самый широкий охват серотипов среди педиатрических конъюгированных пневмококковых вакцин, помогая защитить младенцев и детей от 20 серотипов, ответственных за большинство циркулирующих в настоящее время пневмококковых заболеваний в ЕС и во всем мире.

Разрешение последовало за недавним положительным заключением Комитета по лекарственным

препаратам для медицинского применения (CHMP) Европейского агентства по лекарственным средствам (EMA). Разрешение действительно во всех 27 государствах — членах ЕС, а также в Исландии, Лихтенштейне и Норвегии. В 2023 г. применение препарата для вакцинации детей было одобрено в США, Канаде, Австралии и Бразилии.

Весной 2023 г. глава ФМБА России Вероника Скворцова заявила о планах по проведению клинических исследований 16-валентной вакцины от пневмококковой инфекции, которая содержит штамм В, отсутствующий в международных вакцинах.

Источник: <https://gxpnews.net/2024/03/ek-odobrila-vakzinu-prevenar-ot-pfizer-dlya-zashchity-detej-ot-pnevmonokokkovoj-infekcii/>