



«Круг добра» будет закупать препарат для лечения детей с синдромом Ларона

18 апреля экспертный совет государственного благотворительного фонда «Круг добра» рассмотрел внесение синдрома Ларона в перечень заболеваний фонда.

Синдром Ларона — наследственное заболевание, характеризующееся низким ростом, обусловленное дефектами гена рецептора соматотропного гормона (ген *GHR*), приводящими к нечувствительности периферических тканей к действию гормона роста. Для лечения синдрома Ларона назначается препарат Инкрелекс (мекасермин) — рекомбинантный инсулиноподобный

фактор роста 1. Введение мекасермина ускоряет темп роста в течение года в среднем на 8 см, позволяет уменьшить в крови уровни липопротеинов и увеличить концентрацию андрогенов.

Эксперты одобрили категории детей и внесли лекарственный препарат мекасермин в перечень лекарственных препаратов, закупаемых фондом. После уточнения возможностей поставки новый перечень отправят на утверждение попечительскому совету.

Источник: <https://фондкругдобра.рф/эксперты-решили-внести-в-перечень-заб/>

FDA одобрило не относящийся к стимуляторам жидкий препарат от СДВГ

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило препарат Onyda XR (клонидина гидрохлорид) для лечения синдрома дефицита внимания и гиперактивности (СДВГ), сообщает производитель препарата Tris Pharma. Это первый одобренный нестимулирующий препарат в виде суспензии для борьбы с этим заболеванием.

Суспензия с пролонгированным высвобождением действующего вещества, принимаемая один раз в день, может использоваться самостоятельно или в качестве дополнительной терапии к одобренным FDA стимулирующим препаратам у пациентов в возрасте от 6 лет.

«Людам с СДВГ требуется целый ряд терапевтических опций, разработанных с учетом их индивидуальных потребностей, поскольку не каждое лекарство или вид терапии подходит каждому пациенту. Одобрение Onyda XR, первого жидкого нестимулирующего препарата

для лечения СДВГ с ночной дозировкой, которая меняет профиль высвобождения, является удобным вариантом для пациентов, нуждающихся в лучшем контроле СДВГ», — заявила Энн Чайлдресс, доктор медицины, психиатр и президент Центра психиатрии и поведенческой медицины в Лас-Вегасе.

Onyda XR противопоказан пациентам с гиперчувствительностью к клонидину. Препарат также может вызывать дозозависимое снижение артериального давления и частоты сердечных сокращений. У пациентов, входящих в группу риска, следует часто контролировать показатели жизнедеятельности. В исследованиях таблеток с пролонгированным высвобождением отмечались сонливость и седативный эффект.

Источник: <https://gxpnews.net/2024/05/fda-odobrilo-ne-otnosyashhijsya-k-stimulyatoram-zhidkij-preparat-ot-sdvg/?amp=1>

FDA одобрило первую терапию нейроэндокринных опухолей у детей

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило радиолигандную терапию (Radioligand therapies; RLT) Lutathera (дотатат лютеция Lu 177; lutetium Lu 177 dotatate) для лечения гастроэнтеропанкреатических нейроэндокринных опухолей (gastroenteropancreatic neuroendocrine tumors; GEP-NET) у детей 12 лет и старше с диагнозом «позитивный рецептор соматостатина» (SSTR+). Это первая терапия, специально одобренная для детей с этим редким видом опухолей.

Решение принято на основании данных исследования NETTER-P, в которое были включены 11 пациентов в возрасте 12–18 лет с нейроэндокринными опухолями надпочечников и парасимпатических ганглиев (пара-

ганглиома). Компания не раскрыла подробные данные, но отметила, что профиль безопасности соответствовал результатам исследования, в котором изучались взрослые пациенты.

В компании также отметили, что «расчетная поглощаемая доза радиации у педиатрических пациентов находилась в пределах установленных органных порогов для внешнего пучкового облучения и была сопоставима с таковой у взрослых».

GEP-NET считаются орфанным заболеванием и обычно растут медленно, но часто могут быть агрессивными, и их трудно лечить, если не обнаружить на ранней стадии. Эти опухоли известны тем, что их диагностируют на поздних стадиях, что усложняет лечение. По послед-

ним данным, около 10–20% пациентов детского возраста уже имеют метастазы на момент постановки диагноза.

Lutathera — это пептид-рецепторная радионуклидная терапия, которая использует высокодозное излучение для поражения и уничтожения раковых клеток.

Радиолигандная терапия представляет собой передовой рубеж в лечении рака, сочетая целевые радиоактивные изотопы с молекулами, которые могут специфически связываться с опухолевыми клетками. Этот метод позво-

ляет напрямую доставлять радиацию к раковым клеткам, минимизируя повреждение окружающих здоровых тканей. Lutathera действует путем влияния на клетки, экспрессирующие рецепторы соматостатина, которые преобладают во многих GEP-NET. Связавшись с этими рецепторами, меченая радиоактивным изотопом молекула доставляет летальное излучение непосредственно к опухолевым клеткам.

Источник: <https://chemrar.ru/fda-odobrilo-pervuyu-terapiyu-nejroendokrinnyx-opuxolej-u-detej-ot-novartis/>

FDA одобрило первый препарат против редкого иммунного заболевания

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило пероральный препарат Xolremdi (мавориксафор) для пациентов в возрасте 12 лет и старше с синдромом WHIM. Это крайне редкое генетическое заболевание, при котором иммунная система организма не функционирует должным образом. Так, в частности, оно вызывает рецидивирующие инфекции легких и провоцирует появление бородавок, связанных с вирусом папилломы человека.

Название синдрома происходит от симптомокомплекса: W (warts) — бородавки, H (hypogammaglobulinemia) — гипогаммаглобулинемия, I (infections) — инфекции и M (myelokathexis) — миелокатексис.

При синдроме WHIM снижается количество зрелых нейтрофилов и лимфоцитов, циркулирующих в организме. Как утверждает производитель — американская биофармацевтическая компания X4 Pharmaceuticals, препарат работает за счет того, что увеличивает количество зрелых нейтрофилов и лимфоцитов.

«Хотя информация о симптомах разнится, считается, что пациенты с синдромом WHIM могут иметь рецидивирующие инфекции, включая пневмонию, синусит

и кожные инфекции. Также они подвержены риску опасных для жизни бактериальных и вирусных инфекций», — говорится на сайте FDA.

По данным агентства, WHIM встречается примерно у одного из 5 млн новорожденных. В медицинской литературе описано всего около 60 случаев заболевания.

Эффективность Xolremdi была оценена в 52-недельном рандомизированном двойном слепом плацебо-контролируемом исследовании, в котором принял участие 31 человек. За этот период времени препарат снизил количество инфекций на 40% по сравнению с плацебо, однако не справился с бородавками.

Среди побочных реакций наблюдались тромбоцитопения, сыпь, ринит, эпистаксис (кровотечение из носа), рвота и головокружение. Кроме того, известно, что препарат может нанести вред внутриутробному ребенку, поэтому женщинам с детородным потенциалом следует рекомендовать использовать эффективные средства контрацепции при лечении.

Источник: <https://gxpnews.net/2024/05/fda-odobrilo-pervyj-lp-protiv-redkogo-immunnogo-zabolevaniya-sindroma-whim/?amp=1>

FDA присвоило статус RMAT генной терапии синдрома Ретта

Американская компания Taysha Gene Therapies получила от Управления по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) сертификат передовой терапии регенеративной медицины (RMAT) для своего генотерапевтического препарата TSHA-102, предназначенного для лечения синдрома Ретта.

TSHA-102 — это генная терапия, которая предполагает использование вируса AAV9 для доставки гена *MECP2* непосредственно в центральную нервную систему для лечения основной причины синдрома Ретта — редкого генетического заболевания, вызванного мутациями в гене *MECP2*, которые влияют на развитие мозга. Оно встречается преимущественно у девочек и приводит к тяжелым умственным и физическим недостаткам.

Программа присвоения статуса RMAT предназначена для ускорения разработки и рассмотрения регенеративных терапий, направленных на лечение, модификацию или полное излечение серьезных заболеваний. Решение FDA о присвоении RMAT препарату подкреплено первичными результатами клинических исследований у взрослых и детей.

В августе 2023 г. FDA присвоило разработке TSHA-102 статус Fast Track Designation. Эта программа способствует ускоренной разработке и рассмотрению новых лекарств или биологических препаратов, которые предназначены для лечения серьезных или жизнеугрожающих состояний и при этом демонстрируют потенциал.

Источник: <https://gxpnews.net/2024/05/fda-prisvoilo-status-rmat-gennoj-terapii-sindroma-retta-kompanii-taysha/?amp=1>