

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>