

ЕМА одобрило первый препарат для людей с синдромом Прадера – Вилли

Европейское агентство по лекарственным средствам (ЕМА) одобрило заявку на получение регистрационного удостоверения на первое лекарство от неутолимого голода (гиперфагии), связанного с редким генетическим заболеванием — синдромом Прадера – Вилли (СПВ), для взрослых и детей от 4 лет. Речь идет о диазоксиде холина, разработанном американской компанией Soleno Therapeutics.

В марте препарат под торговой маркой Vykat XR одобрило также Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA). Это стало не только одним из самых долгожданных разрешений от американского регулятора, но и важной вехой в исследовании заболевания, которое ранее было сложно лечить.

Синдром Прадера – Вилли — редкое генетическое заболевание, характеризующееся гиперфагией (чувством сильного, постоянного голода), поведенческими проблемами, когнитивными нарушениями, низким

мышечным тонусом, низким ростом (если не проводится лечение гормоном роста), накоплением избыточного жира, задержками развития и неполным половым развитием.

СПВ обычно лечат с помощью поддерживающей терапии и гормона роста человека для наращивания мышечной массы и снижения уровня жира в организме. Иногда пациентам назначают противосудорожный препарат топирамат, чтобы снизить аппетит. Однако до сих пор не было одобрено ни одной другой лекарственной терапии. Это связано отчасти со множеством проявлений заболевания, а также с не до конца изученной его генетикой. С момента одобрения гормона роста человека 25 лет назад каждый препарат, достигший фазы III исследований, терпел неудачу или был отклонен регулирующими органами.

Источник: <https://gxpnews.net/2025/06/ema-odobrilo-pervyj-preparat-dlya-lyudej-s-sindromom-pradera-villi/>

Новый препарат для профилактики РСВ

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило моноклональное антитело клесровимаб-cfor (Enflonsia) для профилактики респираторно-синцитиального вирусного (РСВ) заболевания нижних дыхательных путей у новорожденных. Решение регулятора позволит выпустить препарат перед началом сезона РСВ, который обычно начинается осенью и зимой и длится всю весну.

Одобрение было частично основано на результатах исследования фазы IIb/III, в котором одна доза клесровимаба снизила связанные с РСВ инфекции нижних дыхательных путей, требующие медицинского вмешательства, на 60,5% в течение 5 мес по сравнению с плацебо. Это, в свою очередь, снизило госпитализацию на 84,3% за этот же период. Наиболее частыми нежелательными явлениями, связанными с клесровимабом, были эритема в месте инъекции, отек в месте инъекции и сыпь.

Клесровимаб — второе моноклональное антитело, одобренное для профилактики РСВ-инфекции в США. В 2023 г. FDA одобрило нирсевимаб. В отличие от нирсевимаба, дозировка которого рассчитывается по весу, клесровимаб имеет фиксированную дозу, не зависящую от веса младенца.

«Заболевание РСВ является одной из основных причин госпитализации младенцев и может привести к серьезным респираторным заболеваниям, таким как бронхиолит и пневмония. Enflonsia сочетает в себе удобство дозирования с убедительными клиническими данными, показывающими значительное снижение заболеваемости и госпитализаций, что делает его многообещающим новым вмешательством для защиты младенцев от РСВ», — сказал в пресс-релизе доктор Октавио Рамильо, главный исследователь компании Merck.

Источник: <https://life4me.plus/ru/news/rsv-13335/>

Новый препарат в лечении наследственного ангионевротического отека

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило препарат Andembry (garadacimab-gxii) для профилактики приступов наследственного ангионевротического отека (НАО) у пациентов 12 лет и старше. Это первое и единственное средство, блокирующее фактор XIIa — ключевой белок плазмы крови, участвующий в развитии отеков при НАО.

Andembry — это активированный ингибитор фактора XII (FXIIa) (моноклональное антитело), предназначенный для самостоятельного подкожного введения с помощью автоинжектора. Препарат подавляет верхнюю часть каскада НАО, воздействуя на фактор XIIa, и обеспечивает устойчивую защиту от приступов. Препарат вводится один раз в месяц, процедура занимает менее 15 с. Отсутствие цитрата в составе снижает раздражение при инъекции.

Эффективность Andembry подтверждена в ходе клинического исследования третьей фазы, в котором:

- 62% пациентов не испытывали приступов в течение 6 мес терапии;
- частота приступов НАО снизилась на 99% и более по сравнению с плацебо;
- необходимость в симптоматической терапии снизилась в среднем на 88%, а число умеренных и тяжелых приступов — на 90%.

Наиболее частыми нежелательными явлениями были назофарингит и боль в животе ($\geq 7\%$ пациентов).

НАО — редкое, хроническое и потенциально опасное для жизни генетическое заболевание, характеризую-

щееся повторяющимися и непредсказуемыми отеками, которые могут возникать в различных частях тела, включая кожу, подкожную клетчатку, слизистые оболочки и внутренние органы.

Основными причинами НАО являются генетически обусловленный дефицит или нарушение функции белка, называемого ингибитором C1-эстеразы, который играет важную роль в регуляции системы комплемента. Приступы НАО часто болезненны и встречаются примерно у одного из 50 тыс. человек.

Источник: <https://www.healthday.com/healthpro-news/allergies/fda-approves-once-monthly-andembry-for-hereditary-angioedema>

FDA одобрило первый FcRn-блокатор для лечения миастении гравис

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило препарат Imaavu (nirxolimab) компании Johnson & Johnson (J&J) для лечения генерализованной миастении у людей старше 12 лет.

Это первое средство, подавляющее активность неонатального Fc-рецептора (FcRn) — белка, который защищает иммуноглобулин G (IgG) от распада. При аутоиммунных болезнях вырабатываются патологические IgG-аутоантитела, атакующие собственный организм. В случае миастении под удар попадают рецепторы в нервно-мышечных соединениях, что нарушает передачу нервных сигналов к мышцам и ведет к их ослаблению. Imaavu блокирует FcRn-рецепторы, в результате чего аутоантитела быстрее разрушаются.

Лекарство разрешено использовать при наличии положительных антител к ацетилхолиновому рецептору или мышечно-специфической киназе — маркеров миастении. Эти белки чаще всего выступают мишенями для IgG-аутоантител при заболевании.

Клинические исследования показали значимое улучшение состояния участников, получавших Imaavu в сочетании со стандартной терапией на протяжении полугода. При этом эффект сохранялся в течение 20 мес. Указывается, что препарат снижает уровень аутоантител на 75% с первой инъекции.

Источник: <https://pharmvestnik.ru/content/news/FDA-odobrilo-pervyi-FcRn-blokator-dlya-lecheniya-miastenii-gravis.html>