

В России зарегистрирован первый орфанный препарат для лечения «детей-бабочек»

Итальянская биофармацевтическая группа Chiesi Farmaceutici зарегистрировала в России гель для наружного применения Фильзувес (экстракт коры березы) для лечения дистрофического и пограничного типов буллезного эпидермолиза.

Фильзувес представляет собой гель, содержащий комплекс природных веществ — тритерпенов (бетулин, бетулиновая кислота, эритродиол, лупеол и олеаноловая кислота), выделенных из экстракта коры березы. Препарат воздействует на ключевые механизмы, препятствующие заживлению ран при буллезном эпидермолизе. Он одобрен для применения у пациентов с дистрофическим и пограничными типами заболевания начиная с 6-месячного возраста.

Препарат уже одобрен в ЕС, США и Великобритании и доступен в 34 странах в качестве специфической патогенетической терапии ран у пациентов с буллезным эпидермолизом в возрасте от 6 мес. Его эффективность и безопасность подтверждены международным клиническим исследованием, в котором участвовали свыше 220 пациентов из 26 стран, включая Россию.

Источник: <https://gxpnews.net/2025/12/v-rossii-zaregistrirovan-pervyj-orfannyj-preparat-dlya-lecheniya-detej-babocek/?amp=1>

<https://farmedinstvo.info/news/v-rossii-startoval-vypusk-pervogo/>

Биоаналог препарата Biomarin от мукополисахаридоза VI типа получил российское регистрационное удостоверение

Биоаналог препарата Naglazyme (галсульфаза) американской Biomarin, предназначенный для лечения мукополисахаридоза VI типа, зарегистрирован в России. Регистрационное удостоверение (РУ) на препарат Реадели получила биотехнологическая компания «Генериум».

Мукополисахаридоз VI типа, или синдром Марото — Лами, — редкое заболевание, вызванное мутацией в гене, который кодирует фермент арилсульфатазы. Лечение мукополисахаридоза VI типа включает в себя ферментозаместительную терапию галсульфазой, которая восполняет недостаток арилсульфатазы. Галсульфаза

входит в список препаратов, закупаемых фондом «Круг добра» для лечения детей.

Согласно Государственному реестру лекарственных средств (ГРЛС), Реадели полностью, включая фарм-субстанцию, производится в России — на мощностях «Генериума» во Владимирской области.

Несколько месяцев назад компания получила РУ на препарат Клотилия (веренафусп альфа) для лечения другой формы мукополисахаридоза — II типа, или синдрома Хантера.

Источник: <https://gxpnews.net/2025/12/bioanalog-preparata-biomarin-ot-mukopolisaharidoza-vi-tipa-poluchil-rossijskoe-ru/?amp=1>

Российские медики освоили интрацеребровентрикулярное введение идурсульфазы бета

В России началась инновационная терапия мукополисахаридоза II типа (синдром Хантера) — интрацеребровентрикулярное введение препарата идурсульфазы бета. Отмечается, что Россия стала второй страной после Японии, где доступна подобная терапия.

Установку специальной порт-системы Оммайя и саму процедуру провели в Российской детской клинической больнице. Интрацеребровентрикулярное введение подразумевает, что необходимый для лечения фермент, расщепляющий сложные углеводы, вводится непосредственно в желудочки головного мозга. Ранее пациенты получали препарат внутривенно.

Синдром Хантера — орфанное наследственное заболевание, вызванное дефицитом определенного фермента (идуронат-2-сульфатазы), что приводит к накоплению в клетках сложных углеводов и, как следствие, тяжелым поражениям внутренних органов и центральной нервной системы.

Как отмечается в сообщении, нау-хау призвано помочь детям с тяжелой формой заболевания, при которой стандартная ферментозаместительная терапия не способна остановить прогрессирующее поражение головного мозга. Причина в том, что при внутривенном введении фермент не может преодолеть барьер между кровью и мозгом.

Идурсульфазы бета в виде раствора для интрацеребровентрикулярного введения входит в список закупаемых фондом «Круг добра» препаратов с июня 2025 г. Препарат под торговым названием Хантеразы Нейро, выпускаемый южнокорейской GK Biopharma Corporation, представляет ее российский партнер «Нанолек».

Источник: <https://gxpnews.net/2025/12/rossijskie-mediki-osvoili-intracerebroventrikulyarnoe-vvedenie-idursulfazy-beta/?amp=1>