



FDA одобрило препарат для детей с гемофилией

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило препарат Hymravzi (марстацимаб) для лечения нарушений свертываемости крови у детей. Лекарство предназначено для предотвращения или уменьшения частоты кровотечений у пациентов с гемофилией. Оно стало первой нефакторной терапией, доступной для детей в возрасте от 6 до 11 лет независимо от наличия или отсутствия ингибиторов.

Одновременно FDA расширило применение препарата для пациентов с гемофилией А или В в возрасте 12 лет и старше, у которых есть ингибиторы (тип анти-тел, подавляющих выработку белков, участвующих в свертывании крови). В 2024 г. Hymravzi уже был

одобрен для пациентов 12 лет и старше без таких ингибиторов.

Препарат вводится подкожно с помощью автоинъектора один раз в неделю, что делает его альтернативой внутривенным инфузиям, которые требуются несколько раз в неделю. В ходе финальной стадии клинических исследований он значительно снизил среднюю годовую частоту кровотечений у взрослых и подростков 12 лет и старше с гемофилией А или В с ингибиторами. Наиболее частыми нежелательными явлениями стали реакции в месте инъекции, головная боль, лихорадка и артралгия (боль в суставах).

Источник: <https://gxpnews.net/2026/06/v-ssha-odobrilo-preparat-pfizer-dlya-detej-s-gemofiliej/>

FDA одобрило ингаляционный инсулин для детей

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) одобрило расширение показаний для ингаляционного инсулина Afrezza, позволив применять его у детей и подростков от 6 лет с сахарным диабетом 1-го и 2-го типа. Решение принято спустя 12 лет после первого одобрения препарата для взрослых. Размер ингалятора сопоставим со свистком.

Одобрение расширяет возможности лечения для молодых пациентов, которым требуется частый (несколько раз в день) прием инсулина для контроля диабета. В отличие от подкожных инъекций, которые могут снижать приверженность терапии, особенно у детей, препарат Afrezza вдыхается через небольшое устройство и помогает регулировать уровень сахара в крови во время еды.

В исследовании фазы III INHALE-1 с участием 230 пациентов в возрасте от 4 до 17 лет препарат обе-

спечил сопоставимый контроль глюкозы на протяжении 26 нед и профиль безопасности, аналогичный инъекционным инсулинам. Препарат ассоциировался с меньшим набором массы тела и получил более высокие оценки от пациентов и их родителей.

Главным преимуществом нового препарата считают скорость действия: ингаляционный инсулин можно принимать непосредственно во время еды, тогда как инъекционные обычно вводят за 15 мин до нее. Сдерживающим фактором остается необходимость проведения спирометрии для исключения астмы и хронической обструктивной болезни легких. Еще одной задачей компании станет обучение эндокринологов. По оценке фармкомпании, около 95% специалистов никогда не назначали ингаляционный инсулин.

Источник: <https://gxpnews.net/2026/06/fda-vpervye-za-12-let-odobrilo-detskij-ingalyacziornyj-insulin-ot-mannkind/>

FDA впервые одобрило генную терапию для лечения серповидноклеточной анемии у маленьких детей

Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) расширило применение препарата Casgevy (эксагамглоген аутогенный) для пациентов в возрасте от 2 лет с серповидноклеточной анемией с повторяющимися болевыми кризами или с талассемией, требующей постоянных переливаний крови. Это первое подобное одобрение для данной возрастной группы.

Ранее препарат был разрешен для пациентов 12 лет и старше, теперь возрастной порог значительно снижен. Регулятор одобрил расширенное применение препарата в ускоренном порядке — через 53 дня после подачи заявки в рамках программы приоритетного рассмотрения.

Согласно результатам клинического исследования с участием детей от 5 до 12 лет с серповидноклеточной

анемией, все 8 оцениваемых пациентов не испытывали тяжелых вазоокклюзионных кризов (болевого эпизода) в течение как минимум 12 мес подряд после инфузии. При бета-талассемии 8 из 9 детей достигли независимости от переливаний крови на срок 12 мес и более.

Casgevy — это однократная генная терапия на основе собственных стволовых клеток пациента. С помощью CRISPR/Cas9 клетки редактируются и возвращаются в организм, где стимулируют выработку фетального гемоглобина. Это блокирует образование серповидных эритроцитов и предотвращает болевые кризы.

Препарат, ставший первой в мире терапией на основе технологии CRISPR/Cas9, за разработку которой