

День муковисцидоза в России

26 ноября 2014 г. в Научном центре здоровья детей состоялось ежегодное мероприятие, посвященное российскому Дню муковисцидоза в рамках Европейской недели муковисцидоза. В НЦЗД это событие было отмечено в 8-й раз. В зале присутствовали дети из всех клинических подразделений Центра с различными заболеваниями, в том числе шесть пациентов с муковисцидозом. Подобные праздничные встречи пациентов с ведущими специалистами в области пульмонологии, представителями общественных организаций, органов здравоохранения и средств массовой информации призваны привлечь внимание общественности к вопросам своевременной диагностики, полноценной и адекватной терапии этого тяжелого наследственного заболевания.

Доброй традицией стало участие в Дне муковисцидоза известных общественных деятелей и звезд эстрады и телевидения. Акцию поддерживали актеры Армен Джигарханян, Михаил Ефремов и Мария Голубкина, телеведущие Рита Митрофанова и Ольга Шелест, певец Сергей Трофимов, соведущий программы «Жить здорово» на 1-м канале центрального телевидения врач-иммунолог Андрей Продеус, актеры Вадим Медведев, Валерия Ланская и Мария Порошина.

В этом году специальным гостем стал участник проекта «Голос» на 1-м канале центрального телевидения певец Методие Бужор. «Участие в благотворительных мероприятиях для детей с такими тяжелыми недугами — святая обязанность каждого артиста, — считает Методие. — Ведь творчество — это не только известность, признание публики и шоу-бизнеса. Многие великие люди, с которыми

я встречался — Муслим Магомаев, Эльдар Рязанов, Александр Ширвиндт, — говорили, что выходя на сцену, ты должен оставить людям частичку своего сердца. Выступая на празднике для таких необыкновенных, смелых, мужественных ребят, нужно вынуть сердце, отдать его и не жалеть об этом».

На современном этапе с учетом достижений современной медицины возможно полноценное развитие ребенка и поддержание качества его жизни при условии доступного лекарственного обеспечения и своевременного оказания помощи.

Однако, многие вопросы еще предстоит решить: не хватает врачей-специалистов, отсутствует система амбулаторной помощи на дому, по-прежнему мало центров и кабинетов помощи взрослым пациентам, недостаточно лекарственное обеспечение.

Доступность специализированной медицинской помощи кардинально улучшает качество и продолжительность жизни больных муковисцидозом. Сегодня в нашей стране люди с этим диагнозом живут в среднем около 27 лет, в то время как в Европе такие пациенты, получая полноценное современное лечение, доживают до 50 и более лет.

Задача Дня муковисцидоза — привлечь внимание государственных деятелей, работников здравоохранения и общественности нашей страны к этой проблеме. Именно сейчас в России всем пациентам, независимо от места их жительства, должны быть доступны жизненно важные лекарства и терапия по европейским стандартам, только так у них будут все шансы прожить полноценную длинную жизнь.



Для маленьких пациентов поет Методие Бужор

ВАКЦИНА ПРОТИВ БОЛЕЗНИ ПАРКИНСОНА

Создана новая вакцина для предотвращения развития болезни Паркинсона. Ученые считают, что в большинстве случаев прогрессирующее неврологическое заболевание возникает вследствие накопления белка альфа-синуклеина в головном мозге, что приводит к его повреждению, гибели нервных клеток, тремору и другим симптомам заболевания. Вакцина «учит» иммунную систему вырабатывать антитела против альфа-синуклеина. Разработчики вакцины — компания AFFiRiS (Австрия) — недавно приступили к III фазе клинического исследования с целью проверки эффективности и безопасности препарата [1].

НИЗКИЕ БАЛЛЫ ПО ШКАЛЕ APGAR: ПРЕДИКТОРЫ СМЕРТНОСТИ У НОВОРОЖДЕННЫХ И МЛАДЕНЦЕВ ПЕРВОГО ГОДА ЖИЗНИ

Шкала APGAR с 1953 г. используется для оценки клинического состояния новорожденного или ответа на реанимационные мероприятия в течение первых минут после родов. Точность метода была подтверждена исследованием показателей смертности детей, рожденных в Шотландии в 1992–2010 гг. Линейный регрессионный анализ показал, что значения по шкале APGAR ≤ 3 на пятой минуте (норма от 7 до 10) были связаны с 300-кратным увеличением риска ранней неонатальной смерти (от рождения до 7 дней жизни), 30-кратным увеличением риска поздней неонатальной смерти (от 7 до 28 дней жизни) и 50-кратным увеличением младенческой смертности (до одного года жизни) [2].

СРАВНЕНИЕ БЛОКАТОРОВ РЕЦЕПТОРОВ АНГИОТЕНЗИНА II С β -БЛОКАТОРАМИ ПРИ СИНДРОМЕ МАРФАНА

Результаты исследования среди пациентов с синдромом Марфана и аневризмой аорты продемонстрировали, что применение блокаторов рецепторов ангиотензина II может быть гораздо более эффективным, чем терапия β -блокаторами для профилактики дальнейшего расширения аорты. В то же время рандомизированное исследование, в котором сравнивали эффективность лозартана и атенолола у 608 детей и взрослых с синдромом Марфана и расширением корня аорты, не обнаружило существенных различий между двумя группами лечения в течение трех лет.

Таким образом, пациентам с синдромом Марфана и расширением корня аорты в качестве терапии рекомендуется использование как β -блокаторов, так и блокаторов рецепторов ангиотензина II [3].

ГРУДНОЕ ВСКАРМЛИВАНИЕ И РИСК РАЗВИТИЯ ЦЕЛИАКИИ

Эпидемиологические исследования прошлых лет показали, что риск развития целиакии у ребенка может быть уменьшен посредством введения glutena:

постепенно, в течение 4–6 мес, в идеале — во время кормления грудью. Эта гипотеза была опровергнута двумя новыми рандомизированными исследованиями, результаты которых не подтвердили никакой связи между сроками и способом введения glutena и риском развития целиакии. Одно из исследований объединяло 8 европейских стран и включало 944 ребенка с высоким риском развития целиакии по генетическому профилю. Среди младенцев, получавших небольшое количество glutena ежедневно с 16-й по 24-ю нед жизни, не наблюдали различий в частоте развития целиакии к 3 годам жизни по сравнению с группой плацебо, при этом распространенность патологии не зависела от типа вскармливания. Во втором исследовании, проведенном в Италии, приняли участие 832 ребенка с высоким риском развития целиакии: дети были рандомизированы в 2 группы — 6 и 12 мес — для диетического введения glutena. Раннее введение glutena было связано с повышенным риском развития целиакии в течение последующих двух лет, но эта разница между группами исчезла через 5 лет, при этом также не отмечено ни одной ассоциации с грудным вскармливанием [4, 5].

ИВАКАФТОР ДЛЯ ПАЦИЕНТОВ С МУКОВИСЦИДОЗОМ

Ивакафтор является препаратом, который восстанавливает функцию мутантного ионного канала у пациентов с муковисцидозом (G551D мутация). В первых же рандомизированных исследованиях положительные эффекты ивакафтора значительно превысили результативность любых других назначений при лечении данной патологии. Недавнее многоцентровое продольное исследование продемонстрировало улучшение легочной функции и увеличение массы тела пациентов, уменьшение колонизации синегнойной палочки в течение 6 мес от начала лечения, а также снижение числа госпитализаций.

Ивакафтор предназначен для лечения муковисцидоза у пациентов в возрасте 6 лет и старше. В январе 2012 г. Агентство по контролю за продуктами питания и лекарственными средствами (FDA) одобрило расширение показаний к применению препарата для лечения пациентов хотя бы с одной копией мутации гена регулятора трансмембранной проводимости G551D, а также при наличии одной из восьми следующих мутаций: G178R, S549N, S549R, G551S, G1244E, S1251N, S1255P и G1349D. В конце 2012 г. препарату был предоставлен статус принципиально нового лекарственного средства.

Основой для одобрения препарата стали результаты рандомизированного плацебоконтролируемого клинического исследования III фазы. Для участия в исследовании были отобраны 39 пациентов с муковисцидозом, имеющих одну из девяти мутаций гена регулятора трансмембранной проводимости. Согласно получен-

ным результатам, использование препарата позволяет добиться значимых улучшений легочной функции по сравнению с плацебо [6].

УНИВЕРСИТЕТ ПЕНСИЛЬВАНИИ ЗА ДИЗАЙН ПЕРСОНАЛИЗИРОВАННОЙ КЛЕТОЧНОЙ ТЕРАПИИ ПРИ ЛЕЙКЕМИИ ПОЛУЧИЛ ОТ FDA ПОЧЕТНЫЙ ЗНАК «ПРОРЫВ В ЛЕЧЕНИИ»

В Университете Пенсильвании была разработана персонализированная иммунотерапия рецидивирующего острого лимфобластного лейкоза, которая получила статус принципиально нового метода лечения. Решение о присвоении важного статуса было принято экспертами Агентства по контролю за продуктами питания и лекарствами США (FDA). Экспериментальный метод CTL019 стал первой клеточной терапией, классифицированной FDA как инновационная, в лечении онкологических заболеваний.

Статус принципиально нового лекарственного средства (Breakthrough Therapy Designation) позволяет ускорить одобрение препарата на территории США. Статус предоставляется лекарственным средствам, доказавшим эффективность в терапии серьезных и жизнеугрожающих заболеваний.

Клинические исследования CTL019 при участии 27 человек (из них пятеро взрослых и 22 ребенка) показали, что применение клеточной терапии приводит к полной ремиссии у 89% пациентов, не ответивших

на лечение стандартными препаратами. «Наши первые результаты показывают, что терапия чрезвычайно перспективна для отчаянной группы пациентов, многие из которых были возвращены к нормальной жизни в школе и на работе после получения этой новой, персонализированной иммунотерапии», — сказал руководитель исследовательской группы.

В 2012 г. Университет Пенсильвании подписал с фармацевтической компанией Novartis соглашение об исследовании и коммерциализации персонализированной терапии на основе Т клеток пациента.

Суть метода заключается в CTL019-терапии, мишенью которой является поверхностный белок CD19. На долю В-клеточного лимфобластного лейкоза приходится примерно 80–85% всех острых случаев, на долю Т-клеточного — 15–20%, а CTL019-терапия направлена на лечение В-клеточного лейкоза.

CD19 экспрессируется на всех В лимфоцитах и предшественниках В клеток человека, но не встречается на плазматических клетках. CD19 также есть на мембранах фолликулярных дендритных клеток (клетки иммунной системы, находящиеся в первичных и вторичных фолликулах лимфатической ткани, происходящие от мезенхимальных предшественников). И самое важное, что делает возможным применение технологии, — это уникальный для злокачественных опухолей факт, что CD19 экспрессируется всеми опухолевыми клетками острого В-клеточного лейкоза.

СПИСОК ЛИТЕРАТУРЫ

1. URL: <http://www.rd.com/slideshows/news-from-the-world-of-medicine/#ixzz3Q7BKIVDw>
2. Iliodromiti S., Mackay D.F., Smith G.C. et al. Apgar score and the risk of cause-specific infant mortality: a population-based cohort study. *Lancet*. 2014; 384: 1749.
3. Lacro R.V., Dietz H.C., Sleeper L.A. et al. Atenolol versus losartan in children and young adults with Marfan's syndrome. *N Engl J Med*. 2014; 371: 2061.
4. Vriezinga S.L., Auricchio R., Bravi E. et al. Randomized feeding

- intervention in infants at high risk for celiac disease. *N Engl J Med*. 2014; 371: 1304.
5. Lionetti E., Castellaneta S., Francavilla R. et al. Introduction of gluten, HLA status, and the risk of celiac disease in children. *N Engl J Med*. 2014; 371: 1295.
6. Rowe S.M., Heltshe S.L., Gonska T. et al. Clinical mechanism of the cystic fibrosis transmembrane conductance regulator potentiator ivacaftor in G551D-mediated cystic fibrosis. *Am J Respir Crit Care Med*. 2014; 190: 175.