



ОПЕРАТИВНО ПРО ГОЛОВНЕ

В США одобрен первый в своем роде препарат для таргетной РНК-терапии редкого заболевания

10 августа Управление по контролю за качеством продуктов питания и лекарственных средств США (FDA) одобрило инфузионный препарат Онпаттро/Onpattro (патисиран) для лечения периферической полинейропатии, вызванной наследственным транстиретином-опосредованным амилоидозом (hATTR) у взрослых пациентов. Это первое одобренное FDA лечение пациентов с этим редким, изнуряющим и часто смертельным генетическим заболеванием, которое характеризуется накоплением аномального амилоидного белка транстиретина в периферических нервах, сердце и других органах. Это также первое одобрение FDA нового класса лекарственных средств – малой интерферирующей рибонуклеиновой кислоты (siRNA).

hATTR – это состояние, которым страдает около 50 тыс. человек во всем мире. Оно характеризуется накоплением отложений аномального белка амилоида в органах и тканях организма, что мешает их нормальному функционированию. Эти отложения чаще всего встречаются в периферической нервной системе, что может привести к потере чувствительности, боли или неподвижности в руках и ногах. Амилоидные отложения могут также влиять на работу сердца, почек, глаз и желудочно-кишечного тракта. Варианты лечения данной патологии направлены на управление симптомами болезни.

Рибонуклеиновая кислота (РНК) действует как передатчик между клетками организма, переносит данные от дезоксирибонуклеиновой кислоты для контроля синтеза белков. РНК-интерференция – это процесс, который естественным образом происходит внутри клеток человеческого тела для блокировки экспрессии определенных генов. С момента открытия этого феномена в 1998 г. ученые использовали интерференцию РНК в качестве инструмента для исследования функции гена и его вовлечения в процесс поддержания здоровья и развития заболевания. Например, исследователи из Национальных институтов здравоохранения США использовали роботизированные технологии для введения siRNAs в клетки человека, чтобы индивидуально отключить почти 22 тыс. генов.

Новый класс лекарственных средств – siRNAs – вмешивается в участок РНК, связанный с развитием заболевания. Если точнее, то Онпаттро заключает siRNA в липидную наночастицу для доставки препарата непосредственно в печень при инфузионном введении для изменения или блокировки синтеза белков, вызывающих заболевание.

Препарат Онпаттро предназначен для вмешательства в синтез РНК аномального белка транстиретина (TTR). Предотвращая выработку TTR, лекарственное средство может помочь уменьшить накопление отложений амилоида в периферических нервах, смягчить симптоматику и помочь пациентам лучше контролировать заболевание. «Существует необходимость в лечении наследственной амилоидной полинейропатии. Данная таргетная терапия обеспечивает пациентам лечение симптомов, которые непосредственно влияют на причину заболевания», – заявил Билли Данн (Billy Dunn), директор отдела неврологических продуктов Центра оценки и исследования лекарственных средств FDA.

Эффективность препарата доказана в ходе клинического исследования, в котором приняли участие 225 пациентов. Из них 148 рандомизированы в группу получения инфузии данного препарата 1 раз в 3 нед в течение 18 месяцев, а 77 – для приема плацебо с той же периодичностью. У лиц, получавших патисиран, отмечали лучшие результаты по показателям терапии

полинейропатии, включая мышечную силу, чувствительность (боль, температура, онемение), рефлексы и вегетативные симптомы (артериальное давление, сердечный ритм, пищеварение) по сравнению с пациентами, получающими инфузии плацебо. У пациентов, проходивших лечение данным препаратом, также отмечали лучшие показатели походки, состояния питания и способности выполнять элементарные действия по самообслуживанию.

Наиболее частые побочные эффекты при терапии патисираном включают реакции, связанные с инфузией: покраснение, боль в спине, тошноту, боль в животе, одышку и головную боль. Все участники исследования получали премедикацию препаратами кортикостероидов, парацетамолом и антигистаминами для уменьшения количества реакций, связанных с инфузиями. Пациенты могут также иметь проблемы со зрением, такие как сухость глаз, помутнение зрения и плавающие помутнения в стекловидном теле. Прием патисирана ведет к снижению уровня витамина А в сыворотке крови, поэтому пациенты должны дополнительно принимать этот витамин в количестве рекомендуемой суточной дозы.

FDA предоставило данному препарату статус инновационной терапии, ускоренную процедуру рассмотрения и приоритетность заявки на регистрацию. Также Онпаттро получил статус орфанного препарата.

Производит препарат компания Alnylam Pharmaceuticals Inc.

НОВОСТИ FDA

FDA одобрило первую генерическую версию аутоинъектора EpiPen для экстренной помощи при аллергических реакциях

16 августа FDA одобрило первую генерическую версию оригинального аутоинъектора EpiPen и EpiPen Jr (эпинефрин) для экстренной помощи при аллергических реакциях, которые включают анафилактический шок, у взрослых и детей (с массой тела не меньше 14 кг). Одобрение на продажу своего генерического аутоинъектора эпинефрина получила компания Teva Pharmaceuticals USA. Препарат будет доступен в дозе 0,3 мг и 0,15 мг.

Опасные для жизни аллергические реакции могут быть спровоцированы укусами насекомых, пищевыми продуктами, лекарствами, латексом и другими веществами. Анафилаксия встречается у 1 из 50 американцев и требует немедленной медицинской помощи. EpiPen автоматически вводит дозу эпинефрина в бедро человека, чтобы остановить аллергическую реакцию.

Наиболее распространенными побочными эффектами, связанными с инъекцией адреналина, являются тревога, беспокойство, тремор, слабость, головокружение, потливость, сердцебиение, бледность, тошнота, рвота, головная боль и проблемы с дыханием. Также сообщалось о редких случаях возникновения серьезных воспалительных процессов на коже и в мягких тканях после использования препарата. У пациентов с заболеваниями сердца инъекция адреналина может вызывать стенокардию или желудочковую аритмию. Поэтому после применения препарата пациенты должны немедленно обратиться за медицинской помощью. Эпинефрин нельзя вводить внутривенно.

Официальный адрес FDA: www.fda.gov

Подготовила **Ольга Татаренко**

Швидкорозчинні шипучі таблетки

Блемарен®

- Знижує ризик рецидивів каменеутворення в 7,5 раза
- Оптимізує рівень рН сечі, що сприяє розчиненню конкрементів
- Підвищує ефективність літотрипсії, полегшує відходження уламків



ЗОЛОТИЙ СТАНДАРТ ЦИТРАТНОЇ ТЕРАПІЇ

 www.esparma.com.ua

ДАЙДЖЕСТ

Эффективность цитратной терапии у пациентов с мочекаменной болезнью

Мочекаменная болезнь (МКБ) – одно из самых распространенных урологических заболеваний. Цитратная терапия представляет собой научно обоснованный подход к лечению уратного нефролитиаза, а также является высокоэффективным методом метафилактики. Цитратный препарат Блемарен представляет собой буферную систему, в которую входят лимонная кислота и ее трехзамещенные соли – цитрат натрия и цитрат калия. В результате гидролиза соли сильного основания и слабой кислоты происходит ощелачивающее действие данного препарата, создающее повышенную концентрацию ионов натрия и калия в моче. Целью данного исследования было изучить эффективность назначения цитратного препарата Блемарен пациентам с МКБ.

Методы. Оценка эффективности литолитической терапии проведена 35 пациентам (18 женщинам и 17 мужчинам) с уратными камнями почек. Средний возраст участников составил 48±6,4 года. Размеры конкрементов колебались в пределах от 0,4 до 3,7 см. Цитратная терапия препаратом Блемарен проводилась в течение 4 мес. Наряду с Блемареном всем больным

назначали курс лечения, который включал симптоматическую медикаментозную терапию, диетотерапию с ограничением продуктов с большим содержанием уратов, питьевой режим (2,0-2,5 л жидкости в сутки).

Результаты. У пациентов с нефролитиазом, которым назначался Блемарен, через 4 мес наблюдалась значительная динамика растворения камней. У 54,3% больных уратным нефролитиазом при контрольном обследовании констатировано полное растворение камней. Особенно высокая эффективность цитратной терапии отмечена в группе с резидуальными камнями почек после оперативного лечения. У 34,2% больных размеры камней уменьшились, что подтверждено результатами ультразвукового исследования с перспективой их дальнейшего растворения при продлении сроков литолитической терапии. Нежелательные явления, связанные с приемом Блемарена, наблюдались у 3 (8,6%) пациентов. После 1-2-дневного перерыва в приеме Блемарена нежелательные явления не возобновлялись и не требовали отмены препарата.

Выводы. Назначение препарата Блемарен является высокоэффективным неинвазивным методом лечения и метафилактики МКБ. Цитратная терапия Блемареном может использоваться в комплексе с другими методами лечения (дистанционной литотрипсией, чрескожной нефролитотрипсией), а также применяться в качестве монотерапии.

Шпоть Е.В., Султанова Е.А. Цитратная терапия мочекаменной болезни. Медицинские аспекты здоровья мужчины, № 3 (18) 2015

Подготовил **Игорь Кравченко**