

Ведення хворих на спінальну м'язову атрофію: час для реальних змін

Вирішення проблеми лікування рідкісних нервово-м'язових захворювань (PHM3) та інших орфанних патологій є вкрай важливим для досягнення високого рівня медичної допомоги в Україні та відповідності національної системи охорони здоров'я європейським стандартам. Минулого року наприкінці осені в м. Києві відбувся круглий стіл «Пілотна мережа мультидисциплінарних команд на прикладі спінальної м'язової атрофії. Шлях до інтеграції в європейську мережу референтних центрів (ERN)», у ході якого обговорювали ініціативу щодо створення національної мережі з мультидисциплінарних груп фахівців із PHM3. Участь у заході взяли науковці та лікарі різних спеціальностей, а також представники благодійного фонду «Діти зі спінальною м'язовою атрофією».

СМА — ураження рухових нейронів або мультиорганне захворювання?



Із програмною доповіддю «Спінальна м'язова атрофія (СМА) в Україні: реалії та перспективи» виступив науковий співробітник ДУ «Інститут неврології, психіатрії та наркології НАМН України» (м. Харків), кандидат медичних наук Андрій Валерійович Шатіло.

– У нещодавно виданих міжнародних рекомендаціях із діагностики та лікування СМА (Mercuri E. et al., 2018) це захворювання визначають як складний генетично-детермінований розлад, який має багато різних клінічних аспектів і тому має розглядатися виключно з позицій мультидисциплінарного підходу. Сьогодні парадигма ведення пацієнтів зі СМА істотно змінюється. Якщо ще донедавна родини пацієнтів були змушені самі координувати обстеження дитини та візити до лікарів, то згідно із сучасними рекомендаціями цю функцію має взяти на себе так званий лікар-координатор – зазвичай це дитячий невролог, який глибоко обізнаний із перебігом і потенційними наслідками цієї патології. Це дасть змогу здійснювати моніторинг прогресування різних патологічних процесів у структурі захворювання та своєчасно призначати превентивне лікування, якщо воно, звісно, можливе.

При підозрі на СМА наразі рекомендується обов'язкове виконання молекулярно-генетичного аналізу для верифікації діагнозу. Генетичний дефект (делеція чи мутація) локалізується на хромосомі 5q із залученням SMN1, що кодує білок SMN (survival motor neuron – білок виживаності мотонейронів), у край необхідний для нормального розвитку та функціонування. В основу клінічної класифікації СМА (табл.) покладено вік дебюту та ступінь тяжкості перебігу (Wang C.H. et al., 2007); вона не враховує кореляцію з даними генетичного аналізу. Частіше трапляються 1 та 2 типи захворювання.

Таблиця. Клінічна класифікація СМА			
Тип СМА	Вік дебюту	Максимум рухових функцій	Тривалість життя
I (тяжкий)	0-6 міс	Сидіння ніколи не досягається	<2 років
II (проміжний)	7-18 міс	Стояння ніколи не досягається	>2 років
III (легкий)	>18 міс	Впевнено стоять, часто ходять	Може бути нормальною
IV (доросла форма)	Друга чи третя декада життя	Мало відрізняється від таконого в «здорових»	Нормальна

На сьогодні в реєстрі благодійного фонду «Діти зі СМА» налічується 244 пацієнти. Звісно, це не остаточне число, адже державного реєстру хворих на СМА в Україні немає. Відповідно до даних зазначеного реєстру, 23% українських пацієнтів мають 1 тип СМА, 50% – 2 тип, 18% – 3 тип і в 4% тип не визначено.

Найпоширенішими призначеннями для «лікування» СМА в Україні й досі залишаються полівітаміни групи В, полівітаміни на основі карнітину, нейромідин, АТФ, триметилгідразиній пропіонат, кортексин, іглорефлексотерапія, електростимуляція, масаж тощо. Водночас міжнародні консенсуси з ведення пацієнтів зі СМА рекомендують такі методи немедикаментозної терапії:

• фізична терапія (терапія активними й пасивними рухами);

- інвазивна та неінвазивна вентиляція легень;
- трахео- чи гастростомія для забезпечення безпечного й адекватного нутритивного та водного балансу;
- вакцинація;
- паліативна хірургічна корекція (в тому числі сколіозу), використання ортезів, протезування;
- мобілізація (мотоколяски).

Лікар-координатор, який веде пацієнта зі СМА, координує отримання ним інтенсивної терапії, фармакотерапії, пульмонологічного й ортопедичного лікування, контролює харчування, стан шлунково-кишкового тракту та кісток, нейро-м'язові аспекти реабілітації та визначає пріоритетні дії в разі ураження інших органів (рис.).



Рис. Ведення пацієнтів зі СМА

Стратегія сучасної фармакотерапії спрямована на підвищення рівня білка SMN. Принципово цього можна досягти або шляхом заміни гена з використанням вірусного вектора для доставки в клітини функціонального гена SMN1 (експериментальний препарат AVXS-101), або шляхом модифікації сплайсингу гена SMN2 для посилення синтезу функціонального білка SMN. Другий шлях видається реалістичнішим: наразі у світі вже зареєстрований препарат нусинерсен, який вводиться інтратекально та збільшує рівень SMN у центральній нервовій системі (ЦНС). На фінальних стадіях клінічних досліджень перебуває інший інноваційний препарат – рсідіплам, який на відміну від нусинерсену зумовлює збільшення рівня SMN як у ЦНС, так і на периферії. При цьому рсідіплам являє собою низькомолекулярну сполуку, ключовою перевагою якої є можливість перорального прийому.

Мультиорганне захворювання потребує мультидисциплінарного підходу



Про принципи роботи ERN (European Reference Networks – Європейські довідкові мережі) із лікування рідкісних складних захворювань у форматі відеозвернення учасникам круглого столу розповів член Наглядової ради ERN, директор Інституту рідкісних хвороб Болгарії, професор Румен Стефанов.



– Потреба в створенні експертних центрів із питань рідкісної патології не викликає жодних сумнівів, адже на сьогодні відомо про існування більш ніж 6 тис. таких захворювань. Загалом у Європейському Союзі (ЄС) на рідкісні складні захворювання страждає як мінімум 1 особа з близько 30 млн. При цьому пацієнтів з одним певним рідкісним захворюванням дуже мало й так само мало експертів із саме цієї специфічної патології. Тому в ЄС створена система ERN – це віртуальні мережі за участю медичних працівників по всій Європі. Вони спрямовані на боротьбу зі складними чи рідкісними захворюваннями та станами, що потребують високоспеціалізованого лікування й концентрації знань і ресурсів. Ведення пацієнта в рамках системи ERN являє собою приклад реалізації мультидисциплінарного підходу.

Щоб переглянути діагноз і лікування пацієнта, координатори ERN скликають віртуальні консультативні ради медичних фахівців із різних дисциплін і віддано обговорюють кожний конкретний випадок, використовуючи спеціалізовану ІТ-платформу та засоби телемедицини. Використання сучасних засобів комунікації в поєднанні з можливостями цифрових технологій (eHealth) заощаджують ресурси, дають лікарям змогу краще аналізувати дані, обмінюватися досвідом із питань оптимізації діагностики, лікування та догляду за хворими з фахівцями з різних країн. Це дозволяє пацієнтам отримувати потрібні консультації та лікування без необхідності виїжджати в іншу країну.

Крім того, ERN полегшують обмін знаннями та досвідом, проведення клінічних досліджень, процеси підготовки й підвищення кваліфікації фахівців, складання методичних настанов.

Ініціатива щодо створення та функціонування ERN належить країнам-членам ЄС. Рада країн-членів ЄС є офіційним органом, що уповноважений схвалювати та припиняти членство в мережах. Рада має представників у всіх країнах ЄС і Європейської економічної зони.

Наразі існує вже 24 референтні мережі, котрі спеціалізуються на різних захворюваннях. Загалом мережа ERN включає більш ніж 30 лікарень і 900 відділень. У рамках цієї мережі надана медична допомога тисячам пацієнтів, і організація процесу постійно вдосконалюється. Так, під час IV конференції ERN, що відбулася в м. Брюссель (Бельгія) 21-22 листопада 2018 р., країни-члени прийняли 18 індикаторів якості, що дають змогу здійснювати об'єктивний моніторинг діяльності включених до мережі центрів.



Із пропозицією про утворення осередків, що опікуватимуться наданням хворим мультидисциплінарної допомоги, виступив президент Харківського благодійного фонду «Діти зі СМА» Віталій Миколайович Матюшенко.

– У Європі функціонує Мережа мультидисциплінарних команд, яка надає медичну допомогу пацієнтам із PHM3 (ERN Euro-NMD) і допомагає долати бар'єри на шляху до її отримання. Поряд із лікарями

Продовження на стор. 4.

Ведення хворих на спінальну м'язову атрофію: час для реальних змін

Продовження. Початок на стор. 3.

активну участь у роботі цієї мережі беруть і пацієнтські організації, що об'єднують хворих на РНМЗ і членів їхніх родин. Безумовно, такий підхід є раціональним й у випадку СМА. Мультидисциплінарні команди – це колективи експертів із різних сфер, які тимчасово утворюються для забезпечення колегіальності рішень й узгодженості дій під час надання консультаційних послуг, керуючись індивідуальним планом роботи для дітей і дорослих, хворих на СМА. Мета роботи мультидисциплінарних команд полягає в наданні комплексної медичної допомоги хворим на СМА та створенні її пілотної недержавної моделі. Членами такої команди стають працівники лікувальних, наукових, громадських, державних установ, які бажають зробити свій внесок у справу допомоги хворим на СМА. Роботу мультидисциплінарної команди організовує лікар-невролог на підставі комплексної оцінки проблем пацієнта, колегіальності в прийнятті рішень і пріоритетності проблем, які підлягають корекції, використовуючи пацієнт- і проблемно-орієнтований підхід. До складу такої команди також входять педіатр, психолог, фізіотерапевт, дієтолог, ортопед і реаніматолог.

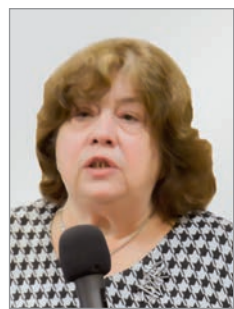
У рамках реалізації пілотної мережі в Україні пропонується створити мережу мультидисциплінарних команд з осередками в Харкові, Києві, Львові, Запоріжжі, Одесі (з подальшим залученням нових членів). Керування роботою мережі та вирішення організаційних питань здійснюватиме експертна комісія, збори якої скликатимуться за потребою. До її складу будуть включені представники благодійного фонду «Діти зі СМА», в тому числі медичної ради та волонтери з числа експертів. Утворити таку мережу в Україні пропонується у 2020 р., а згодом отримати запрошення на співпрацю з ERN Euro-NMD.

Для успішного функціонування мережі мультидисциплінарних команд необхідні такі складові:

- організаційна – наявність ініціативних осередків, однодумців, зацікавлених осіб;
- функціональна – здатність надавати мультидисциплінарну допомогу пацієнтам зі СМА завдяки знанням, досвіду, технічному забезпеченню, доступу до технологій, комунікаційній інтероперабельності (здатність системи взаємодіяти та функціонувати з іншими системами без обмеження доступу й реалізації);
- фінансова – наявність стабільного фінансування для підтримки діяльності базового рівня, розвитку й удосконалення;
- законодавча – забезпечення правової підтримки на місцевому рівні, на рівні держави, а також міжнародна інтеграція для успішного результату.

Українська мережа мультидисциплінарних команд створюється з метою подальшої інтеграції до ERN і розширення доступу пацієнтів та лікарів до інформаційних ресурсів і підвищення ефективності допомоги громадянам України, хворим на СМА й інші РНМЗ.

Мультидисциплінарний підхід починається з точного діагнозу



Про стан діагностики СМА в Україні розповіла **завідувач лабораторії геноміки людини Інституту молекулярної біології та генетики НАН України (м. Київ), доктор біологічних наук, професор Людмила Аврамівна Лівшиць.**

– СМА є генетично детермінованим захворюванням, тому генетична діагностика з точним визначенням мутацій і консультація лікаря-генетика є принципово важливими, особливо в контексті розвитку фармакогенетики та розроблення інноваційних засобів таргетної терапії.

СМА – це захворювання з класичним аутосомно-рецесивним типом успадкування, при якому хворі діти народжуються в абсолютно здорових батьків, у родоводі яких ніколи не було хворих. Здорові батьки

дитини зі СМА є гетерозиготними носіями рецесивного патологічного гена, й ризик повторного народження в них хворої дитини становить 25%. Тому дедалі актуальнішим видається питання про скринінг гетерозиготних носіїв патологічних генів або скринінг новонароджених із метою вчасного лікування.

У середньому 1 людина на 50-60 осіб є гетерозиготним носієм гена СМА. За даними досліджень, проведених на базі відділу геноміки людини Інституту молекулярної біології та генетики НАН України, в нашій країні цей показник сягає 1:31 (2,24% популяції) (Солов'єв О. і соавт., 2013).

Слід зазначити, що Україна була однією з перших країн, у якій було започатковано дослідження та діагностика СМА. Зокрема, в рамках наукових досліджень на базі Інституту молекулярної біології та генетики НАН України проводилася пренатальна діагностика СМА з використанням аналізу делеції 7-го екзону гена telSMN (у матеріалі плода) та встановлення гетерозиготного носійства мутантного гена. Згодом були розроблені модифіковані методики аналізу кількості копій гена SMN2 з використанням кількісної полімеразно-ланцюгової реакції (ПЛР) у реальному часі, що має значення для прогнозу перебігу захворювання. Наразі одним із найперспективніших методів генетичного аналізу при СМА можна вважати високочутливу методику мультиплексної лігазозалежної зондової ампліфікації (MLPA), що дає змогу визначити делеції та копійність генів SMN1 і SMN2. Методику MLPA сьогодні широко використовують за кордоном, особливо з метою скринінгу СМА: такі пілотні проекти вже реалізуються в США, Ізраїлі, Німеччині та Росії. В Україні вже працюють лабораторії ДНК діагностики, у яких виконується практично весь комплекс молекулярно-генетичних досліджень, доцільних у ході діагностики СМА.

Отже, генетичне дослідження є золотим стандартом у діагностиці СМА. Визначення специфічної мутації має важливе значення для прогнозу перебігу СМА, з'ясування статусу носійства, пренатальної та перимплантаційної діагностики в родині хворого та вибору засобів терапії.



Досвідом генетичних досліджень при підозрі на СМА поділилася **керівник лабораторії генетичних досліджень, провідний науковий співробітник ДУ «Інститут спадкової патології НАМН України» (м. Львів), доктор біологічних наук Галина Василівна Макух.**

– СМА є однією з найчастіших причин дитячої смертності від спадкових захворювань, однак останніми роками завдяки значним успіхам у фармакогенетиці в цих пацієнтів з'явилася надія на лікування. Поширеність СМА в Україні загалом зіставна з такою у світі: в середньому з цим захворюванням народжується 1 дитина на 6-11 тис. Як відомо, СМА зумовлена мутаціями чи делеціями в гені SMN1, які призводять до недостатнього вироблення функціонально активного білка SMN, що має критичне значення для виживаності мотонейронів, а також впливає на периферичні органи та тканини. Наразі відзначається висока затребуваність дородової діагностики СМА в родинях, у яких уже були випадки народження дітей із цим захворюванням.

Нами було проведено дослідження з молекулярно-генетичним визначенням частоти гомозиготних делецій 7-го та 8-го екзонів гена SMN у пацієнтів високого ризику СМА (n=480). За результатами молекулярно-генетичного дослідження, делеція 7-го та 8-го екзонів гена SMN1 була виявлена у 29,4% випадків, делеція 7-го екзону гена SMN1 – у 3,1%, делеція 7-го та 8-го екзонів гена SMN2 – у 4,5% пацієнтів. У 219 пацієнтів делецій виявлено не було. Завдяки молекулярно-генетичному аналізу, що підтвердив наявність гомозиготних делецій екзонів 7-го та 8-го гена SMN1, удалося верифікувати діагноз СМА в 172 пацієнтів різних вікових категорій.

СМА – дуже гетерогенне захворювання, його перебіг може бути нетиповим. Багато в чому це залежить від кількості копій гена SMN2 у конкретного пацієнта: «залишкова» кількість білка SMN, що ними виробляється, зумовлює легший перебіг захворювання. Білок SMN міститься в усіх клітинах організму. Знижений рівень білка SMN у ЦНС і периферичних тканинах є основою патогенезу СМА. Проте доведено, що рівень білка SMN також знижується й у скелетних м'язах, клітинах крові (тромбоцитах, ретикулоцитах, еритроцитах, гранулоцитах, мононуклеарах) і фібробластах у пацієнтів зі СМА порівняно зі здоровими особами в групах контролю. Використання інноваційних препаратів, які підвищують рівень білка SMN у різних органах і системах організму, відкриває нові підходи до комплексного лікування пацієнтів зі СМА.



Під час роботи круглого столу були заслухані численні виступи науковців і клініцистів, а також відбулися активні професійні дискусії. Учасники заходу висловили думки з приводу створення та різних аспектів функціонування майбутньої мережі мультидисциплінарних команд із ведення пацієнтів зі СМА. Так, **Валентин Олександрович Рогозинський від імені колективу кафедри дитячої хірургії та ортопедії Національного медичного університету ім. О.О. Богомольця (м. Київ)** представив доповідь, присвячену спінальній патології (зокрема, сколіозу) в пацієнтів зі СМА, що пересуваються на інвалідних візках, розкривши її на конкретних клінічних прикладах. **Завідувач Центру надання паліативної допомоги м. Києва, лікар-анестезіолог Ігор Петрович Трофімов** порушив важливе питання про наладження паліативної допомоги пацієнтам зі СМА та співпрацю з їхніми сім'ями. **Завідувач кафедри дитячої неврології та медико-соціальної реабілітації Національної медичної академії післядипломної освіти (НМАПО) ім. П.Л. Шупика (м. Київ), директор ДЗ «Український медичний центр реабілітації дітей з органічними ураженнями нервової системи», кандидат медичних наук Володимир Юрійович Мартинюк** висловився з приводу законодавчих підстав функціонування мережі. **Доцент кафедри дитячої неврології НМАПО ім. П.Л. Шупика, кандидат медичних наук Вікторія Олександрівна Свистильник** підкреслила важливість державного фінансування сучасної медичної допомоги дітям зі СМА та навчання лікарів особливостям лікувальної роботи з цими пацієнтами, а також розповіла про підготовленість до участі в роботі мережі мультидисциплінарних команд колективу Київської міської дитячої клінічної лікарні № 1. **Провідний науковий співробітник відділення психоневрології для дітей із перинатальною патологією й органічними захворюваннями ДУ «Інститут педіатрії, акушерства і гінекології ім. О.М. Лук'янової НАМН України» (м. Київ), кандидат медичних наук Олександр Олександрович Мірошніков** висловив від імені керівництва закладу готовність приєднатися до такої мережі, а також поділився досвідом міждисциплінарного ведення та реабілітації дітей із тяжкими РНМЗ, зокрема зі СМА.

Підготувала **Ангела Томічева**

Матеріал підготовлено за сприяння ТОВ «Рош Україна», м. Київ, 04070, вул. П. Сагайдачного, 33.
Тел.: +380 (44) 354 30 40,
факс: +380 (44) 354 30 40.
www.roche.ua

UA/RISD/2001/0002

РЕЗОЛЮЦІЯ круглого столу «Пілотна мережа мультидисциплінарних команд на прикладі СМА. Шлях до інтеграції в ERN»

25 жовтня 2019 року, м. Київ

Учасники круглого столу – медичні працівники, профільні спеціалісти, науковці, представники Комітету Верховної Ради України з питань здоров'я нації, медичної допомоги та медичного страхування, інші зацікавлені сторони та представники пацієнтської організації «Діти зі СМА», що репрезентує пілотний проект мультидисциплінарної команди для лікування СМА, ставлять за мету об'єднати творчий потенціал для поглиблення знань, обміну досвідом, практичного впровадження найсучасніших методів лікування, діагностики та профілактики СМА й інших РНМЗ.

Заслухавши доповіді міжнародних і вітчизняних експертів, лікарів, представників пацієнтської організації, органів законодавчої влади, а також зацікавлених сторін.

Враховуючи чинне законодавство та міжнародні зобов'язання України, задекларований рух нашої держави до ЄС, пропозиції учасників круглого столу.

Беручи до уваги рекомендації Ради Європи та послання Європейської Комісії до Європейського Парламенту щодо рідкісних захворювань, досвід чинної європейської мережі референтних центрів (ERN) і мультидисциплінарних команд.

Спираючись на:

- наявний в Україні досвід медичної допомоги пацієнтам зі СМА й іншими РНМЗ і профілактики

спадкової патології, індивідуалізації засобів первинної, вторинної та третинної медичної допомоги та профілактики;

- усвідомлення, що соціальний ефект виникне лише при поєднанні зусиль усіх – учених і лікарів, батьків і, найголовніше, держави, котрі вкладуть свої знання та сили у створення мережі для подолання кризової ситуації у сфері допомоги пацієнтам зі СМА й іншими РНМЗ;
- сучасний етап реалізації пілотного проекту «Мультидисциплінарна команда для СМА».

Визнаючи необхідність створення мережі мультидисциплінарних команд, які враховують потреби пацієнтів із РНМЗ, а також розроблення державної політики (програми) медичної допомоги пацієнтам зі СМА й іншими РНМЗ, у тому числі для подальшої інтеграції України в ERN.

Вирішили:

1. Організувати національну мережу з мультидисциплінарних груп фахівців зі СМА шляхом утворення насамперед осередків у Києві, Львові, Одесі, Запоріжжі, котрі мають стати основою для створення відповідної державної програми, підписавши меморандум про наміри.
2. Створити Наглядову раду зазначеної мережі.
3. Узяти за основу положення про мультидисциплінарні команди терміном на 1 рік або

до виникнення суттєвих зауважень (внесення правок за методом узгодження сторонами).

4. За участю представників усіх зацікавлених сторін – органів державної влади, науковців, міжнародних і пацієнтських організацій, бізнесу, незалежних експертів – визначити шляхи фінансування, функціонування, стабільність, законодавчу й адміністративну підтримку та до 01.12.2019. узгодити дорожню карту створення та розвитку мережі.

5. Внести на розгляд Міністерства охорони здоров'я України пропозиції щодо затвердження та впровадження системи надання допомоги пацієнтам із РНМЗ на прикладі СМА для задоволення потреб пацієнтів із цими захворюваннями на максимальному рівні сучасних знань.

6. Внести пропозицію до Комітету Верховної Ради України з питань здоров'я нації, медичної допомоги та медичного страхування про зміни до законодавства України в частині гармонізації із законодавством ЄС, що дасть змогу приєднатися до ERN.

7. Презентувати напрацювання харківської мультидисциплінарної команди на тренінгу 02.11.2019 в Харкові.

8. Резолюцію направити всім зацікавленим сторонам і докласти зусиль для її виконання.

Прийнято більшістю на засіданні круглого столу.



ОПЕРАТИВНО ПРО ГОЛОВНЕ

НОВОСТИ FDA

FDA одобрило препарат для лечения HER2-положительного прогрессирующего рака грудной железы

23 декабря 2019 г. Управление по контролю качества продуктов питания и лекарственных средств США (The U.S. Food and Drug Administration – FDA) выдало разрешение на маркетинг по ускоренной процедуре препарата Энхерту/Enhertu (фам-трастузумаб дерукстефан-пхкі) для лечения взрослых с неоперабельным или метастатическим HER2-положительным раком грудной железы (РГЖ), получивших лечение двумя или более предшествующими схемами терапии на основе направленных на рецепторы эпидермального фактора роста человека (HER2) препаратов.

Энхерту – это конъюгат антитела, нацеленный на HER-2 и ингибиторы топоизомеразы. Препарат избирательно связывается с рецепторами HER-2, обуславливающими рост и распространение злокачественного новообразования, и доставляет раковым клеткам токсичный для них ингибитор топоизомеразы.

HER2-положительный РГЖ – это тип РГЖ, который дает положительный результат теста на белок, называемый рецептором эпидермального фактора роста человека-2 (HER-2), способствующим росту раковых клеток. Приблизительно в каждом 5-м случае РГЖ имеется мутация гена в раковых клетках, вызывающая избыток белка HER-2. HER2-положительный РГЖ – это агрессивный тип РГЖ.

Утверждение препарата было основано на результатах клинического испытания, в котором приняли участие 184 пациентки с HER2-положительным неоперабельным и/или метастатическим РГЖ, получившие ≥2 анти-HER2 препарата. До начала приема Энхерту пациентки получали от 2 до 17 препаратов для лечения рака. В клиническом испытании пациентки получали Энхерту каждые 3 нед, исследование опухоли методами визуализации проводили каждые 6 недель. Общий уровень ответа в клиническом исследовании с участием 184 женщин с HER2-положительным РГЖ составил 60,3% при средней продолжительности ответа 14,8 мес.

Наиболее частыми побочными эффектами для принимающих Энхерту были тошнота, усталость, рвота, алопеция, запор, снижение аппетита, анемия, снижение количества нейтрофилов, диарея, лейкопения, кашель и снижение количества тромбоцитов. Последнее является потенциально серьезным и распространенным побочным эффектом, как описано в руководстве по лечению. Пациенты, получающие Энхерту, могут подвергаться повышенному риску развития дисфункции левого желудочка, которая возникает, когда сердце не может эффективно перекачивать кровь в организм, как это было видно с другими HER2-направленными методами лечения РГЖ. Препарат производит компания Daiichi Sankyo.

Официальный адрес FDA: www.fda.gov

показателей профилактики холеры и борьбы с ней в основных очагах этого заболевания в мире, таких как Гаити, Сомали и Демократическая Республика Конго (ДРК).

По данным, полученным от 34 стран, в 2018 г. холерой заболело 499 447 человек, умерло – 2990. Собранные ВОЗ данные говорят о том, что, хотя в ряде стран продолжают возникать вспышки холеры, в целом динамика заболеваемости позволяет говорить о заметной тенденции снижения уровня передачи инфекции. Эта тенденция продолжилась и в 2019 году.

В 2018 г. в 11 стран было отправлено почти 18 млн доз пероральной вакцины против холеры (ПВХ). После создания глобального запаса ПВХ в 2013 г. в разные страны мира было поставлено почти 60 млн доз. «ГАВИ, Альянс по вакцинам» предоставил финансирование для закупки вакцин и проведения глобальных кампаний за вакцинацию.

В октябре 2017 г. Глобальная целевая группа по борьбе с холерой приступила к реализации глобальной дорожной карты для эффективной долгосрочной борьбы с холерой и ее элиминации. Поставлена цель к 2030 г. сократить смертность от холеры на 90% и прекратить передачу в 20 странах. Стратегия задает ориентиры для разработки национальных планов действий по трем ключевым направлениям борьбы с холерой:

- раннее выявление и оперативные действия в связи со вспышками для ограничения их распространения;
- многосекторальный подход, объединяющий такие аспекты, как эпиднадзор, вакцинация, мобилизация местного населения, а также водоснабжение, санитария и гигиена, для профилактики холеры в проблемных районах эндемичных стран;
- эффективный механизм координации усилий по технической поддержке, мобилизации ресурсов и налаживанию партнерств на местном и глобальном уровнях.

В новом докладе отмечается, что ряд стран, в том числе Замбия, Южный Судан, Танзания, Сомали, Бангладеш и Нигерия, значительно продвинулись в разработке национальных планов действий в рамках стратегии глобальной дорожной карты.

Совместно с партнерами ВОЗ оказывает министерствам здравоохранения поддержку в осуществлении незамедлительных и долгосрочных мер по борьбе с холерой, в том числе в области эпиднадзора, мер реагирования на вспышки и профилактических мероприятий, таких как ПВХ и информирование о риске.

В 2018 г. страновые бюро ВОЗ экстренно реагировали на крупные вспышки в таких странах, как ДРК, Нигерия, Уганда, Йемен, Замбия и Зимбабве. ВОЗ также помогла Гаити, Объединенной Республике Танзания (Занзибар) и Замбии в переходе от реагирования на вспышки к долгосрочной работе по контролю и элиминации холеры.

Холера – это острая диарейная инфекция, возникающая при употреблении пищевых продуктов или воды, зараженных бактерией *Vibrio cholerae*. Холера поражает как детей, так и взрослых и при отсутствии лечения может привести к смертельному исходу за считанные часы. По оценкам ВОЗ, ежегодно от 1 до 4 млн человек заражаются холерой и порядка 143 тыс. человек становятся жертвой этой болезни.

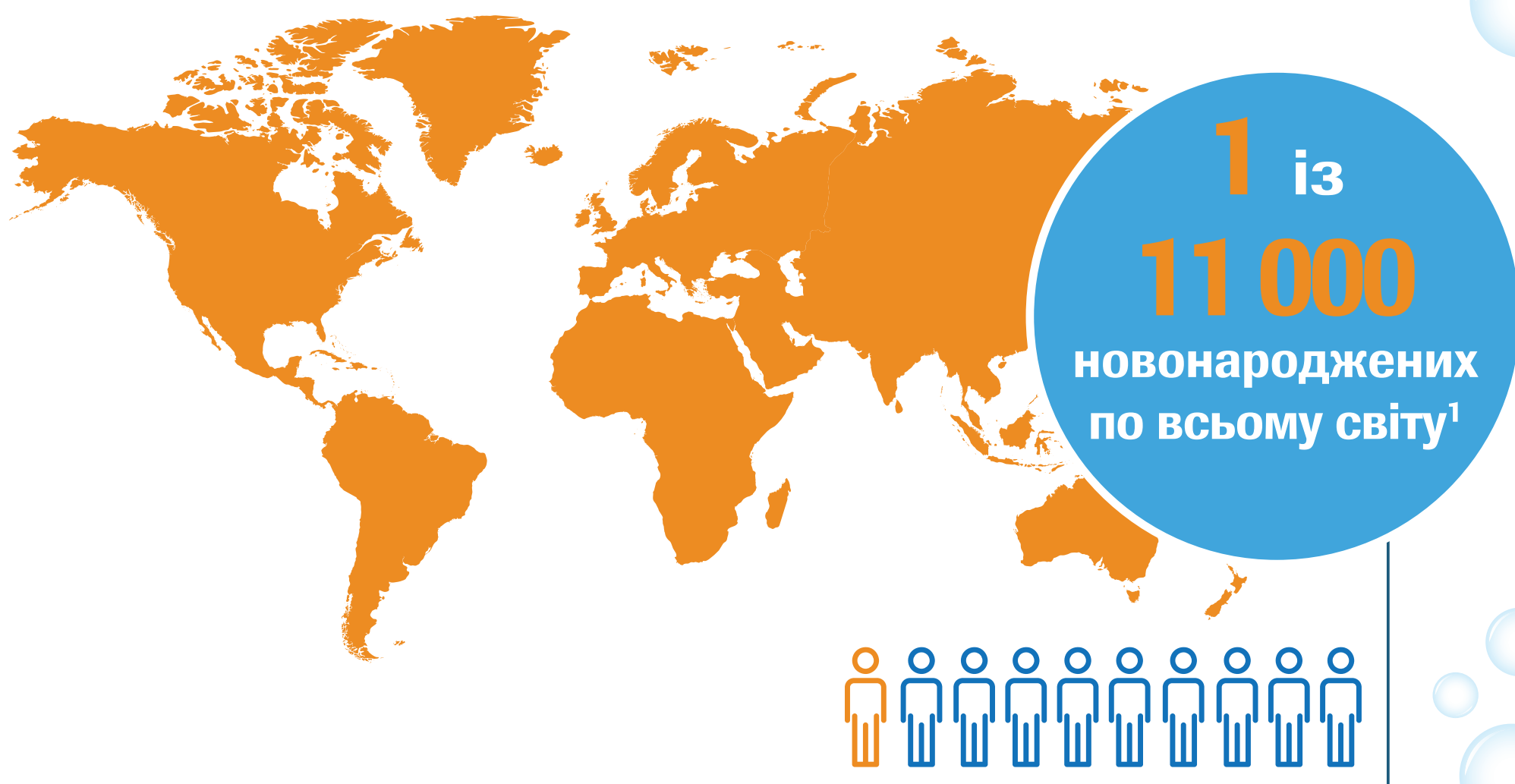
Официальный адрес ВОЗ: www.who.int

Подготовила **Ольга Татаренко**

Що нам відомо про спінальну м'язову атрофію?

Спінальна м'язова атрофія (СМА) – це найчастіша причина дитячої смертності від спадкових захворювань¹⁻²

СМА вражає приблизно...



СМА зазвичай діагностується у дитячому віці та протікає з порушенням руху, дихання, ковтання, функцій інших органів та систем¹⁻⁸

СМА — захворювання всього тіла¹⁻⁸

Література: 1. Belter L. et al. Journal of Neuromuscular Diseases 5, 2018;167-176. 2. Bowerman et al. Disease Models & Mechanisms, 2017;(10):943-954. 3. Артеменко В. Ю., Плотная Е. В. Journal of Perioperative Medicine, Jan. 2018, Vol. 1, № 1. 4. C. Simone et al. Cell. Mol. Life Sci. (2016) 73:1003-1020. 5. S. Rudnik-Schoë Neborn et al. Muscle Nerve 42: 144-147, 2010. 6. G. Hamilton & T.H. Gillingwater. Trends in Molecular Medicine, Jan. 2013, Vol. 19, № 1. 7. F. C. Nery et al. Neurol Genet 2019;5:e353. 8. E. Mercuri et al. Neuromuscular Disorders 28 (2018) 103-115.

Інформація для професійної діяльності медичних і фармацевтичних працівників. Для розміщення в спеціалізованих виданнях, призначених для медичних закладів або спеціалістів охорони здоров'я. Повідомити про побічні явища під час лікування препаратом ТОВ «Рош Україна» або поскаржитися на якість препарату ви можете за контактними реквізитами офісу або на електронну адресу ukraine.safety@roche.com. Запит медичної інформації про продукти ТОВ «Рош Україна» ви можете надіслати на електронну адресу: ukraine.medinfo@roche.com

ТОВ «Рош Україна», м. Київ, 04070, вул. П. Сагайдачного, 33. Тел.: +380 (44) 354 30 40, факс: +380 (44) 354 304. www.roche.ua

Roche