

Резолюция Совета экспертов по вопросу критериев перевода пациентов детского возраста с гемофилией В на препарат албутрепенонаког альфа

19 марта 2024 г. в онлайн-режиме состоялось совещание экспертов по вопросу критериев перевода пациентов детского возраста с гемофилией В на препарат албутрепенонаког альфа.

Совещание прошло в следующем составе:

Председатель:

Новичкова Галина Анатольевна,

доктор медицинских наук, профессор, главный внештатный детский специалист онколог-гематолог Министерства здравоохранения Российской Федерации, генеральный директор ФГБУ «Национальный медицинский исследовательский центр детской гематологии, онкологии и иммунологии им. Дмитрия Рогачева» Минздрава России, Москва

Модератор:

Жарков Павел Александрович,

доктор медицинских наук, заведующий отделом патологии гемостаза ФГБУ «Национальный медицинский исследовательский центр детской гематологии, онкологии и иммунологии им. Дмитрия Рогачева» Минздрава России, Москва

Эксперты:

Бабаева Татьяна Николаевна,

кандидат медицинских наук, ассистент кафедры терапии, гематологии и трансфузиологии ФГБОУ ВО «Новосибирский государственный медицинский университет» Минздрава России, Новосибирск

Вдовин Владимир Викторович,

врач-гематолог высшей квалификационной категории ГБУЗ г. Москвы «Морозовская детская городская клиническая больница Департамента здравоохранения г. Москвы», Москва

Лаврентьева Инна Николаевна,

врач-гематолог высшей квалификационной категории, заведующая гематологическим отделением ГБУЗ г. Москвы «Морозовская детская городская клиническая больница Департамента здравоохранения г. Москвы», Москва

Лебедев Владимир Вениаминович,

кандидат медицинских наук, заведующий отделением онкологии и гематологии с химиотерапией ГБУЗ «Детская краевая клиническая больница» Министерства здравоохранения Краснодарского края, Краснодар

Шиллер Екатерина Эдуардовна,

врач-гематолог высшей квалификационной категории, главный внештатный специалист детский гематолог Московской области, Москва

Несмотря на значительный прогресс в терапии гемофилии, достигнутый за последнее время, в лечении пациентов с данным заболеванием сохраняется ряд нерешенных проблем. К ним относятся недостаточный контроль кровотечений, прогрессирование артропатии, слож-

ности с проведением частых внутривенных инфузий [1].

У пациентов детского возраста эти проблемы стоят особенно остро, так как частые кровотечения в суставы у них могут привести к существенному поражению опорно-двигательного аппарата и, соответственно, к снижению способ-

ности к самообслуживанию вплоть до инвалидизации [2].

Для пациентов с гемофилией В ситуация осложняется очень ограниченным набором доступных терапевтических опций: в рамках программы высокочрезвычайных нозологий для них доступны только плазматические препараты фактора свертывания IX (FIX) и рекомбинантный препарат со стандартным периодом полувыведения [3].

При этом в России зарегистрирован один из представителей группы препаратов FIX с увеличенным периодом полувыведения – албутрепенаког альфа [4]. Этот препарат позволяет существенно сократить количество необходимых инфузий в режиме профилактики и в то же время повысить эффективность контроля кровотечений [5].

В связи с этим мы полагаем необходимым рассмотреть вопрос о возможности обеспечения пациентов детского возраста с гемофилией В препаратом FIX с увеличенным периодом полувыведения албутрепенаког альфа.

Относительно определения того, какие пациенты детского возраста могут быть переведены на албутрепенаког альфа, предлагаем следующий подход.

Ранее леченные пациенты с неингибиторной формой гемофилии В, получающие адекватное профилактическое лечение препаратом FIX и отвечающие одному из следующих критериев:

- сохранение более 2 эпизодов спонтанных гемартрозов в год;
- появление признаков хронического синовита или прогрессирование артропатии;
- возникновение жизнеугрожающих кровотечений.

Или невозможность проведения адекватной профилактики по месту жительства (из-за сложностей с венозным доступом, удаленностью от лечебного учреждения и других объективных причин).

Рекомендуемый профилактический режим дозирования:

- дети младше 12 лет: 35–50 МЕ/кг массы тела 1 раз/нед;
- дети 12 лет и старше: стартовый режим 35–50 МЕ/кг массы тела 1 раз/нед. Некоторые пациенты, у которых достигнут хороший контроль над кровотечениями при введении препарата 1 раз/нед, могут быть переведены на режим 75 МЕ/кг с интервалом в 10 или 14 дней.

Литература

1. Зозуля Н.И., Дмитриева О.С. Нерешенные вопросы лечения взрослых пациентов с гемофилией А. Терапевтический архив 2022; 94 (1): 77–82. DOI: 10.26442/00403660.2022.01.201321
2. Клинические рекомендации. Гемофилия. ID: 127. 2023. Рубрикатор клинических рекомендаций МЗ РФ. [Электронный ресурс] URL: https://cr.minzdrav.gov.ru/recomend/127_2 (дата обращения 02.02.2024).
3. Перечень лекарственных препаратов, предназначенных для обеспечения лиц, больных гемофилией, муковисцидозом, гипофизарным нанизмом, болезнью Гоше, злокачественными новообразованиями лимфоидной, кроветворной и родственной им тканей, рассеянным склерозом, гемолитико-уремическим синдромом, юношеским артритом с системным началом, мукополисахаридозом I, II и VI типов, апластической анемией неуточненной, наследственным дефицитом факторов II, VII, X, лиц после трансплантации органов и тканей.
4. Инструкция по медицинскому применению лекарственного препарата Идельвион®, ЛП-007569, дата государственной регистрации 01.11.2021.
5. Kenet G., Chambost H., Male C., Lambert T., Halimeh S., Chernova T., et al. Long-acting recombinant fusion protein linking coagulation factor IX with albumin (rIX-FP) in children. Results of a phase 3 trial. *Thromb Haemost* 2016; 116: 659–68.