

АНАЛИЗ ПРИМЕНЕНИЯ ТАРГЕТНОЙ ТЕРАПИИ ДЕТЕЙ И ПОДРОСТКОВ ОМСКОГО ЦЕНТРА МУКОВИСЦИДОЗА

© Беликова Дарья Александровна

Научный руководитель: д.м.н., доцент Павлинова Е.Б.

Кафедра госпитальной педиатрии с курсом ДПО

Омский государственный медицинский университет

Контактная информация: Беликова Дарья Александровна,

E-mail: dariabel7@gmail.com

Ключевые слова: муковисцидоз, таргетная терапия.

Актуальность исследования: муковисцидоз (МВ) — это аутосомно-рецессивное наследственное заболевание, характеризующееся поражением всех экзокринных желёз, и, как следствие, жизненно важных органов и систем. В настоящее время основным направлением терапии МВ является применение модуляторов белка муковисцидозного трансмембранного регулятора проводимости в респираторной и желудочно-кишечной системах [1, 2, 3, 4, 5]. С ноября 2021г на базе Омского Центра Муковисцидоза пациенты начали получать препараты таргетной терапии: ивакафтор/лумакафтор и элексакафтор/ивакафтор/тезакафтор.

Цель исследования: анализ эффективности препаратов таргетной терапии в лечении МВ за трехмесячный период.

Материалы и методы: в исследование было включено 11 пациентов с МВ. Больные были разделены в зависимости от получаемого препарата таргетной терапии на две группы: ивакафтор/лумакафтор (n=6), элексакафтор/ивакафтор/тезакафтор (n=5). Всем пациентам на 84 день терапии проводили оценку физического развития, анализ функции внешнего дыхания, определяли уровень хлоридов пота. Статистический анализ результатов исследования проводили с использованием программы Jamovi 1.6.23. Анализ зависимых переменных проводился с помощью критерия Вилкоксона.

Результаты: в ходе исследования мы наблюдали динамику изменения объема форсированного выдоха за первую секунду (ОФВ1) у пациентов, получавших препараты таргетной терапии. Так, в первой группе отмечался незначительный рост функции внешнего дыхания на 3,7%, статистической значимости выявлено не было (p=0,66). Во второй группе уровень ОФВ1 повысился на 24%, что являлось статистически значимым (p=0,048). Применение препаратов таргетной терапии способствует нормализации темпов физического развития. Установлено, что в первой группе ИМТ не превышает такого до лечения (p=0,8). Во второй группе значимой динамики роста ИМТ установлено не было (p=0,06). Одним из диагностических критериев МВ является повышение уровня хлоридов пота. Так, на фоне таргетной терапии в первой группе отмечалось незначительное снижение уровня хлоридов пота на 22,5%, (p=0,058). В противовес этому, в первой группе было зафиксировано статистически значимое уменьшение показателя хлоридов пота на 43,8% (p=0,03).

Выводы: на фоне применения таргетной терапии препаратом ивакафтор/лумакафтор у детей, больных МВ, не отмечалось значимого улучшения функции внешнего дыхания и уровня хлоридов пота. Во второй группе пациентов, принимавших элексакафтор/ивакафтор/тезакафтор наблюдалось значимое увеличение ОФВ1 и хлоридов пота. В обеих группах не было установлено положительной динамики ИМТ.

Литература

1. Heijerman H. G., McKone E. F., Downey D. G. Efficacy and safety of the elxacaftor/tezacaftor/ivacaftor combination regimen in people with cystic fibrosis homozygous for the F508del mutation: a double-blind, randomised, phase 3 trial. // Lancet. 2019;394(10212): 1940–1948.
2. Allan K. M., Farrow N., Donnelley M. Treatment of Cystic Fibrosis: From Gene- to Cell-Based Therapies. Front. Pharmacol. 2021; 12:639475.
3. Роль *Staphylococcus aureus* в инфекциях верхних дыхательных путей у детей с муковисцидозом / А. В. Радеева, И. А. Балаганский, П. Э. Лазарев [и др.] // Forcipe. — 2020. — Т. 3. — № S1. — С. 477–478. — EDN DWTIHH.

4. Лазарев, П. Э. Современные аспекты антибиотикотерапии при муковисцидозе на примере клинических случаев центра лечения муковисцидоза ДГКБ им. Св. Ольги / П. Э. Лазарев, Е. А. Лебеденко, С. С. Пюрвеев // Forcipe. — 2020. — Т. 3. — № S1. — С. 813–814. — EDN ZPPHPZ.
5. Мирная, А. С. Белок Cftg и его роль при муковисцидозе / А. С. Мирная // Forcipe. — 2021. — Т. 4. — № S1. — С. 185. — EDN FWDGIK.