

Знать и применять: возможности хелаторной терапии

Вопросы эффективной помощи пациентам с редкими гематологическими заболеваниями были подняты в рамках научной конференции «Хелаторная терапия: вчера, сегодня, завтра». Речь шла о современных технологиях и средствах лечения больных, страдающих от вторичной перегрузки железом в результате переливаний эритроцитной массы, которая как у детей, так и у взрослых ведет к тяжелым последствиям. Однако сегодня уже широко доступен препарат, способный эффективно выводить избыток железа из организма, предотвращая и купируя осложнения перегрузки железом, — пероральный хелатор железа Эксиджад.

Одна из причин образования избыточного количества железа — неоднократные переливания эритроцитов (гемотрансфузии). По оценкам, вторичная перегрузка железом вследствие регулярной заместительной терапии трансфузиями эритроцитной массы может развиваться у 500 больных детей и 2000 взрослых в России. Заменить гемотрансфузию зачастую нечем — пациенты с различными формами наследственных, врожденных и вторичных анемий, как правило, находятся в стойкой зависимости от постоянных переливаний компонентов крови. К числу подобных заболеваний можно отнести редкие, но все же встречающиеся в РФ талассемии и другие гемоглобинопатии, врожденные и вторичные апластические анемии, сидеробластную анемию и миелодиспластические синдромы (МДС). Все эти заболевания признаны Orphanet* редкими (орфанными**).

Диагноз врожденных и наследственных анемий, как правило, устанавливается вскоре после рождения, и уже к двум годам пациенты не могут обходиться без регулярных гемотрансфузий. Перегрузка организма железом приводит к ранней инвалидизации детей и их ранней гибели — уже к 10 годам. Причинами смерти часто становятся осложнения лечения основного заболевания, связанные с перегрузкой железом, — сердечная недостаточность и кардиомиопатии (60% всех летальных исходов), цирроз печени, печеночная недостаточность, сахарный диабет.

Однако при правильном, адекватном и своевременном лечении продолжительность жизни пациента увеличивается до 50–60 лет. Единственная возможность, дающая шанс если не излечить, но стабилизировать основное заболевание, — активное удаление избытка железа из организма. Своевременное назначение лечения, направленного на элиминацию избыточного железа (хелаторная терапия) позволяет предотвращать или уменьшать его накопление в тканях и органах. Тот же способ — удаление избытка железа из организма — высоко эффективен в лечении друго-

го редкого заболевания — наследственного гемохроматоза, как правило, выявляемого у взрослых.

Настоящим прорывом в лечении посттрансфузионной перегрузки железом стало создание и внедрение в практику в 2005 г. первого перорального хелатора железа для однократного суточного приема — препарата Эксиджад (деферазирокс).

«Эксиджад относится к группе лекарств-комплексонов, — пояснил д.м.н., член-корреспондент РАМН директор Федерального научно-клинического центра детской гематологии, онкологии и иммунологии А.Г. Румянцев. — Он связывает и выводит из организма избыточное железо, позволяя серьезно улучшить выживаемость пациента, который нуждается в постоянных гемотрансфузиях — переливаниях компонентов крови, и по разным причинам накапливает железо в организме».

Эксиджад позволяет проводить лечение в течение длительного времени, в том числе и амбулаторно. Препарат выпускается в форме растворимых в жидкости таблеток, и потому обладает существенными преимуществами за счет удобства применения (особенно для детей).

«Только благодаря тому, что сегодня на рынок выведена пероральная форма, удобная для приема, гематологическая общественность стала медленно, но уверенно двигаться к решению проблемы гемотрансфузионной перегрузки железом», — объяснил д.м.н., главный научный сотрудник Российского НИИ гематологии и трансфузиологии (Санкт-Петербург) С.В. Грицаев.

Успешный опыт применения хелатора железа позволяет утверждать, что своевременная и правильная терапия продляет и делает полноценной жизнь пациентов, страдающих талассемией и врожденными наследственными анемиями. Больные, получающие препарат амбулаторно, могут полноценно участвовать в жизни общества, учиться, работать.

* Orphanet — информационный портал о редких заболеваниях, необходимых для их лечения «лекарствах-сиротах» и редко применяемых медицинских технологиях.

** Орфанные заболевания — заболевания, которые считаются редкими, если имеют распространенность не более 5 случаев на 100 тыс. населения. Лечение таких болезней осуществляется за счет государственного бюджета, государство также обеспечивает заболевших лекарствами. Орфанные препараты — фармацевтические средства, разработанные для лечения редких заболеваний.



В состав президиума конференции вошли ученые — ведущие специалисты в области онкогематологии

Эксиджаду присвоен орфанный статус на территории европейских стран, США, Австралии и Турции — это означает, что больные обеспечиваются препаратом бесплатно на протяжении всей жизни за счет государства. В 2007 г. Эксиджад был зарегистрирован на территории РФ для применения при хронической посттрансфузионной перегрузке железом у взрослых и детей в возрасте от 2 лет.

Однако до сих пор одно из наиболее неблагоприятных осложнений гемотрансфузионной терапии не имеет официально принятого в России стандарта лечения — в отличие от большинства зарубежных стран, — отметили участники конференции. В настоящее время идет работа над обновленными стандартами медицинской помощи при гематологических заболеваниях, которые приблизят возможности лечения наших пациентов к международным рекомендациям; создается регистр трансфузионно-зависимых анемий.

В ходе скрининговой диагностической программы в России выявлено более 2000 пациентов, страдающих гематологическими заболеваниями и регулярно получающих заместительные гемотрансфузии, и определено количество пациентов, нуждающихся в хелаторной терапии. Учитывая тот факт, что в 2011 г. Эксиджад внесен в перечень жизненно необходимых и важнейших лекарственных препаратов (ЖНВЛП), полученные данные позволят органам здравоохранения выяснить, какое количество средств необходимо для пациентов, нуждающихся в лечении, и сделать помощь государства адресной.

Какие же проблемы остаются нерешенными? Прежде всего, необходимо обеспечить хелаторной терапией всех

без исключения нуждающихся пациентов: до сих пор таких больных гораздо больше, чем тех, кто получает препарат. Насущной является необходимость включения в перечень орфанных (редких) заболеваний талассемии, апластической и гемолитической анемий, МДС для обеспечения пациентов жизненно необходимой хелаторной терапией. Проблема заключается и в неопределенности группы орфанных заболеваний в новой редакции закона «О лекарственных средствах».

Повсеместная доступность диагностики перегрузки железом и выработка четких показаний к хелаторной терапии (особенно у пациентов с МДС и пациентов, нуждающихся в трансплантации костного мозга) — также в числе самых актуальных проблем помощи гематологическим больным. По мере решения этих вопросов разница между числом нуждающихся в терапии Эксиджадом и числом пациентов, получающих хелаторную терапию, будет уменьшаться. А это означает, что врачи получают уверенность в своих возможностях, и, соответственно, в хорошем прогнозе для своих пациентов — достойной жизни при любом заболевании, даже если оно редкое.

«Компания «Новартис» видит свою социальную ответственность в том, что производит редкий препарат, способный помочь только ограниченной группе пациентов. Но, с другой стороны, это значит, что медицина становится персонализированной — мы можем предлагать конкретному пациенту предназначенные только для него лечебные препараты, и это огромный прогресс», — уверена Н.В. Лободенко, генеральный менеджер департамента онкологических препаратов ООО «Новартис Фарма».