



ПРОБЛЕМЫ ТАРГЕТНОЙ ТЕРАПИИ В ДЕТСКОЙ ОНКОЛОГИИ И ГЕМАТОЛОГИИ

ЛИС А.П.

ВРАЧ-КЛИНИЧЕСКИЙ ФАРМАКОЛОГ ОТДЕЛЕНИЯ
ИНФЕКЦИОННОГО КОНТРОЛЯ ЦЕНТРА ДЕТСКОЙ
ОНКОЛОГИИ, ГЕМАТОЛОГИИ И ИММУНОЛОГИИ

ОРФАННЫЕ БОЛЕЗНИ И ОРФАННЫЕ ЛЕКАРСТВА

- Впервые термин «орфанные» (сиротские) применительно к болезням и лекарствам был использован в США в 1983 г., когда был принят законодательный «Акт об орфанных препаратах» («Orphan Drug Act»), определивший около **1600** известных заболеваний и синдромов и **300** лекарственных средств, отнесенных к этой категории, **50%** из этих лекарственных средств применяются в онкологии.
- Согласно существующим требованиям, заболевание считается орфанным, если оно встречается не более чем в **1** случае на **2000** жителей или определяется как **500** редких заболеваний не более чем на **1** млн жителей

ОРФАННЫЕ БОЛЕЗНИ И ОРФАННЫЕ ЛЕКАРСТВА

- Привлечь внимание общественности к проблемам пациентов, страдающими орфанными заболеваниями, задумались в Европейской организации по изучению редких болезней EURORDIS.
- По их инициативе с 2008 года **28 февраля** отмечается **Международный день редких болезней (Rare Disease Day)**. В високосные годы этот День приходится на 29 февраля.

ОРФАННЫЕ БОЛЕЗНИ И ОРФАННЫЕ ЛЕКАРСТВА

Современной медицине известно около 6 тысяч редких заболеваний. В этом списке есть такие экзотические недуги, как к болезнь Гоше, болезнь Помпе, синдром Прадера-Вилли, острой лимфобластной лейкоз, идиопатическая легочная гипертензия, неходжскинская лимфома, карцинома коры надпочечников, рак пищевода, рак почек, синдром кабуки, синдром Паллистера-Киллиана, болезнь Нимана-Пика. Встречаются и такие болезни, названия которых чаще на слуху: муковисцидоз, фенилкетонурия, гемофилия, различные формы рака, миелома, болезнь Альцгеймера, болезнь Гентингтона, лейциноз и другие. Большинство из них – тяжелые хронические заболевания. Примерно 80 процентов из них имеют генетическую природу.

ОРФАННЫЕ БОЛЕЗНИ И ОРФАННЫЕ ЛЕКАРСТВА

Редкие заболевания тяжелы еще и тем, что отсутствует налаженная схемы эффективного лечения. Есть методы, которые позволяют хотя бы улучшить качество и продолжительность жизни пациентов.

Проблемы большинства больных схожи:

- ✓ недоступность верной диагностики
- ✓ затруднения в постановке диагноза
- ✓ отсутствие информации, научных знаний о заболевании
- ✓ тяжелые условия социализации и другие.

ОРФАННЫЕ БОЛЕЗНИ И ОРФАННЫЕ ЛЕКАРСТВА В РБ

- 17 ноября 2014 г. был принят **Закон Республики Беларусь № 203-З «О внесении изменений и дополнений в Закон Республики Беларусь «О лекарственных средствах»** (далее – Закон № 203-З), который вступил в силу 21 мая 2015 года
- В Законе № 203-З нашло свое закрепление понятие орфанное лекарственное средство, которое широко применяется в зарубежных странах, в том числе и в Российской Федерации.
- Орфанное лекарственное средство – лекарственное средство, предназначенное для диагностики, медицинской профилактики, лечения и медицинской реабилитации пациентов с редкими заболеваниями.

ТАРГЕТНАЯ ТЕРАПИЯ И ТАРГЕТНЫЕ ЛЕКАРСТВЕННЫЕ СРЕДСТВА, КАК ЧАСТЫЙ СЛУЧАЙ ОРФАННЫХ ЛЕКАРСТВ

- Таргетная терапия или молекулярно-таргетная («молекулярно-прицельная») терапия (англ.target «цель, мишень») является одним из значительных направлений медикаментозного лечения (фармакотерапии) рака.
- Как вид молекулярной медицины, таргетная терапия блокирует рост раковых клеток с помощью вмешательства в механизм действия конкретных целевых (таргетных) молекул, необходимых для канцерогенеза и роста опухоли, а не просто препятствуя размножению всех быстро делящихся клеток (как, например, делает традиционная химиотерапия).

ТАРГЕТНЫЕ ЛЕКАРСТВЕННЫЕ СРЕДСТВА: КЛАССИФИКАЦИЯ

1. Малые молекулы

- Ингибиторы тирозинкиназы
- Ингибиторы серин / треонин киназы

2. Моноклональные антитела

ВОЗМОЖНЫЕ ПУТИ РЕШЕНИЯ ДЛЯ БОЛЬНЫХ ОРФАННЫМИ ЗАБОЛЕВАНИЯМИ

- В **США** создана система координации специализированной помощи, образовательных центров, ухода на дому для пациентов с орфанными заболеваниями и членов их семей. Также существует генетический альянс для объединения всевозможных групп, обеспечивающих поддержку пациентов с редкой патологией.
- Подобным образом налажена работа и в **Европе**. В 1999 г. была адаптирована программа деятельности общественных организаций в отношении редких заболеваний. Основная цель — улучшить качество жизни для пораженных людей, помощь в получении информации для пациентов и их семей, координация деятельности волонтеров и профессиональных групп поддержки. В 2009 г. Европейская комиссия объединила акты в отношении редких заболеваний и определила данную группу как приоритет в здравоохранении.

ВОЗМОЖНЫЕ ПУТИ РЕШЕНИЯ ДЛЯ БОЛЬНЫХ ОРФАННЫМИ ЗАБОЛЕВАНИЯМИ

- RAPSODY (Rare Disease Patient Solidarity Project, Программа единства пациентов с редкими заболеваниями) — объединение, обеспечивающее квалифицированную помощь, получение информации и соединяющее многочисленные общественные организации
- RDCRN (The Rare Diseases Clinical Research Network, Сеть клинических исследований редких заболеваний) — сеть, объединяющая 19 консорциумов, ведущих исследования и диагностику 90 редких заболеваний в 97 университетах, и координационные центры по обработке полученных результатов. Данная сеть предоставляет возможность различным исследователям сотрудничать
- EURORDIS (The European Organization for Rare Disorders, Европейская организация для редких болезней) — неправительственная ассоциация, объединяющая 585 организаций пациентов с 4000 редких заболеваний из 54 стран, которая осуществляет свою деятельность при активном участии пациентов и их представителей
- NORD (The National Organization for Rare Disorders, Национальная организация для редких болезней) имеет сильное влияние на воплощение в жизнь «Акта об орфанных препаратах»
- Национальный институт здоровья США способствовал развитию ORDR (The Office of Rare Diseases Research, Ведомство по исследованию редких болезней), учрежденной в 2002 г. в рамках «Акта о редких заболеваниях» («Rare Diseases Act»). ORDR оказывает поддержку исследований редких заболеваний и обеспечивает информацией о них [18, 19].