

Резолюция Совета экспертов «Роль препарата руриоктоког альфа пэгол в лечении пациентов с гемофилией А»

Для цитирования: Резолюция Совета экспертов «Роль препарата руриоктоког альфа пэгол в лечении пациентов с гемофилией А». Российский журнал детской гематологии и онкологии. 2021;8(4):103–4.

Resolution of the Council of Experts

“The role of the drug ruriocetocog alfa pegol in the treatment of patients with hemophilia A”

For citation: Resolution of the Council of Experts “The role of the drug ruriocetocog alfa pegol in the treatment of patients with hemophilia A”. Russian Journal of Pediatric Hematology and Oncology. 2021;8(4):103–4.

9 сентября 2021 г. Совет экспертов рассмотрел результаты клинических исследований препарата руриоктоког альфа пэгол у пациентов с тяжелой формой гемофилии А. Был обсужден ряд вопросов, касающихся новых возможностей повышения эффективности лечения и качества жизни у пациентов с гемофилией А.

В совещании приняли участие десять экспертов:

- **Надежда Ивановна Зозуля** — д.м.н., заведующая отделом коагулопатий ФГБУ «Национальный медицинский исследовательский центр гематологии» Минздрава России (Москва);
- **Вадим Вадимович Птушкин** — д.м.н., профессор, главный внештатный специалист гематолог Департамента здравоохранения города Москвы, заместитель главного врача по гематологии ГБУЗ «Городская клиническая больница имени С.П. Боткина Департамента здравоохранения города Москвы» (Москва);
- **Игорь Леонидович Давыдкин** — д.м.н., профессор, проректор по научной работе, заведующий кафедрой госпитальной терапии с курсом трансфузиологии, директор НИИ гематологии, трансфузиологии и интенсивной терапии ФГБОУ ВО «Самарский государственный медицинский университет» Минздрава России, главный внештатный специалист гематолог Министерства здравоохранения Самарской области (Самара);
- **Павел Александрович Жарков** — д.м.н., врач-гематолог, врач-педиатр, доцент кафедры гематологии и клеточных технологий, заведующий отделом патологии гемостаза ФГБУ «Национальный медицинский исследовательский центр детской гематологии, онкологии и иммунологии имени Дмитрия Рогачева» Минздрава России (Москва);
- **Виктор Юрьевич Петров** — д.м.н., врач-гематолог ГБУЗ «Морозовская детская городская клиническая больница Департамента здравоохранения города Москвы» (Москва);
- **Татьяна Андреевна Андреева** — к.м.н., врач-гематолог, заведующая Городским центром по лечению больных гемофилией СПб ГБУЗ «Городская поликлиника № 37» (Санкт-Петербург);
- **Екатерина Эдуардовна Шиллер** — врач-гематолог высшей квалификационной категории, главный внештатный специалист гематолог Министерства здравоохранения Московской области, заведующая отделением детской гематологии ГБУЗ МО «Одинцовская областная больница» (Одинцово);
- **Владимир Вениаминович Лебедев** — к.м.н., врач-детский гематолог-онколог высшей категории, главный внештатный детский специалист гематолог Министерства здравоохранения Краснодарского края, заведующий отделением онкологии и гематологии с химиотерапией ГБУЗ «Детская краевая клиническая больница» Министерства здравоохранения Краснодарского края (Краснодар);
- **Татьяна Юрьевна Полянская** — к.м.н., старший научный сотрудник травматолого-ортопедического отделения ФГБУ «Национальный медицинский исследовательский центр гематологии» Минздрава России (Москва);
- **Павел Вячеславович Свиригин** — врач-гематолог ГБУЗ «Морозовская детская городская клиническая больница Департамента здравоохранения города Москвы» (Москва).

Лекарственный препарат руриоктоког альфа пэгол, являющийся пролонгированным препаратом фактора свертывания VIII (FVIII), был зарегистрирован в Российской Федерации 30 июля 2021 г. для применения у пациентов с гемофилией А в качестве профилактики для уменьшения частоты кровотечений, периоперационного ведения и терапии по требованию [1].

Эффективность, безопасность и фармакокинетика препарата руриоктоког альфа пэгол для профилактики кровотечений у взрослых и детей с гемофилией А были оценены в нескольких международных контролируемых клинических исследованиях.

В международном исследовании II/III фазы PROLONG-ATE при применении препарата рури-

октоког альфа пэгол было продемонстрировано увеличение периода полувыведения в 1,4 раза (одно-стадийный метод) и в 1,5 раза (хромогенный метод) в сравнении с препаратом со стандартным периодом полувыведения (октоког альфа) [2].

В международном клиническом исследовании в педиатрической популяции у ранее леченных детей младше 12 лет профилактическое применение препарата руриоктоког альфа пэгол в стандартном режиме дозирования (2 раза в неделю) позволило достичь нуля спонтанных кровотечений у 67 % пациентов, а нуля спонтанных гемартрозов – у 73 %. При переходе на профилактику руриоктокогом альфа пэгол 2 раза в неделю у больных, получавших предшествующее лечение препаратами FVIII 3 раза в неделю, снизилась медиана годовой частоты кровотечений с 3,0 до 0 [3]. Согласно опросу удовлетворенности, большинство пациентов предпочли терапию руриоктокогом альфа пэгол в сравнении с предшествующей терапией [4].

В международном исследовании III фазы CONTINUATION была продемонстрирована возможность применения препарата руриоктоког альфа пэгол как в стандартном режиме 2 раза в неделю, так и с удлиненными интервалами введения. У пациентов старше 12 лет без кровотечений в течение 6 мес при применении фиксированного режима дозирования

(2 раза в неделю) возможно снижение интервалов введения до 1 раза в 5 дней: средняя годовая частота спонтанных кровотечений составила 1,2 и 1,3 соответственно [5].

В клиническом исследовании PROPEL изучались эффективность и безопасность индивидуализированной профилактики препаратом руриоктоког альфа пэгол в 2 группах пациентов с разными целевыми уровнями остаточной активности (ОА) FVIII – 1–3 % и 8–12 %, которые были рассчитаны с помощью приложения myPKFiT. При повышении ОА FVIII было отмечено увеличение доли больных с отсутствием спонтанных кровотечений – 60 % и 81 % пациентов в группах с ОА FVIII 1–3 % и 8–12 % соответственно, а по показателю всех кровотечений – 40 % и 67 % [6].

По результатам обсуждения Совет экспертов принял решение:

1. Рекомендовать применение руриоктокога альфа пэгол у ранее леченных пациентов с гемофилией А, которым необходимо снижение частоты инфузий или увеличение эффективности терапии путем повышения активности FVIII.

2. Рекомендовать включение руриоктокога альфа пэгол в национальные клинические рекомендации согласно зарегистрированным показаниям к применению.

ЛИТЕРАТУРА / REFERENCES

1. Инструкция по медицинскому применению препарата Аденовейт®. [Электронный ресурс]: https://grls.rosminzdrav.ru/Grls_View_v2.aspx?routingGuid=45878db3-0e74-4584-9bdd-d772e10a5557&t= (дата обращения 07.09.2021). [Instructions for medical use of the drug Adenovate®. [Electronic resource]: https://grls.rosminzdrav.ru/Grls_View_v2.aspx?routingGuid=45878db3-0e74-4584-9bdd-d772e10a5557&t= (appeal date 07.09.2021). (In Russ.)].
2. Konkle B.A., Stasyshyn O., Chowdary P., Bevan D.H., Mant T., Shima M., Engl W., Dyck-Jones J., Fuerlinger M., Patrone L., Ewenstein B., Abbuehl B. Pegylated, full-length, recombinant factor VIII for prophylactic and on-demand treatment of severe hemophilia A. *Blood*. 2015;126(9):1078–85. doi: 10.1182/blood-2015-03-630897.
3. Mullins E.S., Stasyshyn O., Alvarez-Roman M.T., Osman D., Liesner R., Engl W., Sharkawy M., Abbuehl B.E. Extended half-life pegylated, full-length recombinant factor VIII for prophylaxis in children with severe haemophilia A. *Haemophilia*. 2017;23(2):238–46. doi: 10.1111/hae.13119.
4. Booth J. et al. EAHAD, Paris, France, 2017; Poster P078.
5. Chowdary P., Mullins E.S., Konkle B.A., McGuinn C., Park Y.S., Stasyshyn O., Zulfikar B., Engl W., Tangada S. Long-term safety and efficacy results from the phase 3b, open-label, multicentre Continuation study of ruriococog alfa pegol for prophylaxis in previously treated patients with severe haemophilia A. *Haemophilia*. 2020;26:e168–e78. doi: 10.1111/hae.14052.
6. Klamroth R., Windyga J., Radulescu V., Collins P.W., Stasyshyn O., Ibrahim H.M., Engl W., Tangada S.D., Savage W., Ewenstein B. Ruriococog alfa pegol PK-guided prophylaxis in hemophilia A: Results from the phase 3 PROPEL study. *Blood*. 2021;137(13):1818–27. doi: 10.1182/blood.2020005673.

Статья поступила в редакцию: 23.11.2021. Принята в печать: 09.12.2021.

Article was received by the editorial staff: 23.11.2021. Accepted for publication: 09.12.2021.