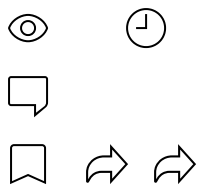


[Здравоохранение \(https://kommersant.ru/apps/77/294\)](https://kommersant.ru/apps/77/294)

26.04.2024, 00:01



Пациентам назначают отечественное

В России запустят полный цикл производства препарата для лечения болезни Фабри

К концу 2024 года компания «Петровакс» совместно с НИЦЭМ им. Н. Ф. Гамалеи запустит в РФ производство полного цикла препарата «Фабагал» для лечения болезни Фабри. Цена биоаналога на 40% ниже стоимости другого имеющегося на рынке препарата с аналогичным действующим веществом, что позволит сократить бюджетные расходы на 500 млн руб. в год.



Фото: iStock

Напомним, болезнь Фабри — наследственное заболевание, которое относится к группе лизосомных болезней накопления. В случае болезни Фабри в организме больного наблюдается отсутствие или значительное снижение активности фермента α -галактозидазы А. Пациенты с болезнью Фабри страдают от поражения почек, нейропатической боли в конечностях, застойной сердечной недостаточности, инфарктов и

инсультов. Без ранней диагностики и правильно подобранной терапии болезнь приводит к инвалидизации и смерти пациентов. У женщин болезнь, как правило, протекает легче, чем у мужчин.

Болезнь Фабри относится к категории орфанных, то есть редких, заболеваний. Сейчас, по данным АНО «Центр помощи пациентам "Геном"», в России живут 270 таких пациентов, включая 24 детей, которым поставлен такой диагноз. Терапию получают 176 пациентов. Фактическое же число нуждающихся в лечении может быть выше и достигать до 2 тыс. человек.

Сложности учета реального числа пациентов с болезнью Фабри связаны со спецификой ее диагностики. Как объясняет руководитель отдела орфанных болезней и профилактики инвалидизирующих заболеваний ФГБУ ЦКБ РАН Нато Вашакмадзе, инструменты современной диагностики не позволяют лабораторно и клинически доказать патологию при первых симптомах заболевания, что затрудняет диагностику Фабри в детском возрасте. «Жалобы, которые предъявляют дети, неспецифичны, и нередко у врачей создается впечатление, что ребенок что-то придумывает, а мама утрирует ситуацию», — отмечает она.

Наиболее частые ранние проявления болезни Фабри — приступы боли, особенно в кистях и стопах (acroпарестезия). Кроме того, на теле пациента появляются красно-фиолетовые точки (ангиокератомы). В ряде случаев возникают снижение потоотделения, то есть гипогидроз, помутнение роговицы или проблемы с желудочно-кишечной системой.

При такой разнообразии симптомов наилучшим способом диагностики болезни Фабри является семейный скрининг, отмечает заведующий кафедры внутренних, профессиональных болезней и ревматологии ФГАОУ ВО «Первый МГМУ им. И. М. Сеченова» Сергей Моисеев, однако, по его словам, и этот метод не всегда доступен больным, поскольку предполагает обследование членов семьи, которые могут проживать в разных регионах, не контактировать друг с другом или отказаться от обследования. Кроме того, даже у членов одной семьи фенотипы заболевания могут отличаться, что также затрудняет диагностику. В

результате, по данным ФГБУ «НМИЦ кардиологии» Минздрава, от момента первых клинических проявлений заболевания до постановки диагноза пациенту может пройти 11–14 лет.

Все это время болезнь прогрессирует и зачастую приводит к проблемам с сердечно-сосудистой системой. Именно заболевания сердца стоят на первом месте среди причин смерти у пациентов с болезнью Фабри (34% среди мужчин и 57% среди женщин). Признаки поражения сердца, в том числе гипертрофия левого желудочка, аритмия, стенокардия и сердечная недостаточность, отмечаются у 40–60% пациентов с этим диагнозом. С возрастом у таких больных также может появиться и фиброз миокарда, который впоследствии приводит к снижению сократительной функции сердца и развитию застойной сердечной недостаточности, что, в свою очередь, ведет к смерти.

У пациентов с болезнью Фабри высок риск развития ишемических атак и инсультов уже в молодом возрасте. Частота инсульта составляет 6,9% у мужчин и 4,3% у женщин. У большинства больных инсульт развивается в возрасте от 20 до 50 лет, в том числе у каждого пятого из этих больных — до 30 лет. Первые симптомы поражения почек появляются в возрасте 20–30 лет. Позднее начинается постепенное снижение функции почек, которое приводит к развитию терминальной почечной недостаточности.

По данным экспертов, средняя продолжительность жизни пациентов с болезнью Фабри составляет 40–50 лет, смерть пациентов, как правило, наступает на четвертом десятилетии жизни от сердечно-сосудистых, цереброваскулярных осложнений или почечной недостаточности.

По словам Нато Вашакмадзе, для болезни Фабри разработан эффективный метод лечения — ферментозаместительная терапия (ФЗТ), которая помогает достичь максимальных результатов на ранней стадии заболевания. «К сожалению, часть пациентов диагностируется на поздних стадиях болезни, что не дает возможности получить максимальный эффект от ФЗТ. Однако на любой стадии болезни начало ФЗТ позволяет замедлить прогрессирование и смягчить клинические симптомы», — отмечает профессор.

Ферментозаместительная терапия предполагает, что в организм пациента на регулярной основе вводят недостающий фермент — в случае болезни Фабри рекомбинантные препараты альфа-галактозидазы А.

Ферментозаместительная терапия показана на протяжении всей жизни больного. Первый препарат такого действия появился в ЕС в 2001 году, в России — в 2009 году.

Сегодня в России для лечения болезни Фабри применяются препараты с действующим веществом агалсидаза бета и агалсидаза альфа. Лечение одного больного импортным оригинальным препаратом обходится примерно в 9,6 млн руб. В России пациенты с болезнью Фабри получают препараты в рамках региональных программ льготного лекарственного обеспечения, то есть их права на медицинскую помощь закреплены законом. Однако на практике у многих регионов не хватает средств на закупку этих лекарств.

Чтобы сделать терапию болезни Фабри более доступной, компания «Петровакс» решила локализовать выпуск биоаналога агалсидазы бета на территории РФ. «Фабагал» был зарегистрирован в РФ в 2023 году, предельная отпускная цена на него оказалась ниже зарегистрированной на референтный препарат на 40%. Так, стоимость флакона «Фабагала» для приготовления раствора в дозировке 35 мг составила 110 тыс. руб. при зарегистрированной цене на референтный препарат в размере 184 тыс. руб.

В начале апреля «Петровакс» и ФГБУ «НИЦ эпидемиологии и микробиологии им. Н. Ф. Гамалеи» Минздрава объявили о завершении одного из ключевых этапов проекта — синтеза субстанции препарата. Это первый пример трансфера технологии производства субстанции в проекте по импортозамещению орфанных препаратов в России.

«Инвестиционный проект стартовал в 2022 году и предполагает локализацию производства полного цикла препарата "Фабагал". В течение двух лет НИЦЭМ им. Н. Ф. Гамалеи и "Петровакс" осуществляли трансфер технологий синтеза субстанций. К настоящему моменту произведены первые серии субстанции агалсидазы бета на площадке НИЦЭМ им. Н. Ф. Гамалеи», — заявили в пресс-службе «Петровакса».

В компании отмечают, что эффективность технологии позволит производить препарат в количествах, достаточных, чтобы обеспечить ферментозаместительной терапией всех российских пациентов с болезнью Фабри. Цель проекта — повысить доступность жизненно необходимого лечения для российских пациентов. Синтез субстанции — ключевой элемент полного импортозамещения, который позволяет гарантировать бесперебойные поставки препарата.

«Производственные мощности предприятия расположены в подмосковном городском округе Подольск. Плановый объем инвестиций только в локализацию производства препарата "Фабагал" оценивается в 2 млрд руб.», — рассказала заместитель председателя правительства, министр инвестиций, промышленности и науки Московской области Екатерина Зиновьева.

Как отметили в пресс-службе «Петровакса», локализация «Фабагала» позволит значительно снизить бюджетные расходы — около 500 млн руб. в год в сравнении с альтернативной терапией, так как стоимость лечения одного пациента снизится на 3,8 млн руб. в год. «За следующие пять лет экономия государственных средств может составить более 2 млрд руб.», — отметили в компании.

Анастасия Воробьева

