

Россия: **Все** Общество Политика Происшествия Регионы Москва 69-я параллель Моя страна

01:28, 13 марта 2026 Россия



Инновация за 6 миллионов. Почему пациентов хотели перевести на препарат, который работает хуже



Фото: Ocusfocus / Getty Images

Новое лекарство от болезни Фабри называли прорывом. Но международные регуляторы встретили его с большими оговорками, а российская комиссия отказалась включать его в список жизненно важных. Подробности — в материале «Ленты.ру».

Каждые две недели 38-летний инженер Андрей приезжает в московскую клинику. Внешне — обычный мужчина, но с 25 лет его жизнь подчинена расписанию капельниц. У Андрея болезнь Фабри — редкий генетический сбой. Его организм не расщепляет некоторые жиры, в результате они накапливаются в почках, сердце и сосудах, постепенно выводя их из строя. Без лечения мужчины с такой патологией редко доживают до пятидесяти.

Спасает ферментозаместительная терапия: пациенту вводят искусственный фермент, компенсирующий тот, которого не хватает в организме. Один флакон стоит более 100 тысяч рублей. Взрослому мужчине нужно два флакона на одну процедуру, 26 процедур в год — около шести миллионов рублей. Пожизненно. Все расходы берет на себя государство.

Андрей получает отечественный препарат «Фабагал» (действующее вещество — агалсидаза бета). Лечение работает, болезнь стабилизирована, почки и другие органы-мишени функционируют.



Фото: Константин Михальчевский / РИА Новости

Несколько лет назад на рынке появился препарат «Эльфабрио» (пэгунигалзидаза альфа) производства израильско-итальянской компании. Производитель позиционировал его как «инновацию»: модифицированная молекула дольше живет в крови, значит, удобнее и современнее. Звучало красиво. Но осенью 2025 года комиссия по формированию перечня жизненно необходимых и важнейших лекарственных препаратов (ЖНВЛП) проголосовала против его включения в список. Это был уже второй отказ.

Что же заставило экспертов усомниться в «прорывной технологии»?

Экзамен со скидкой

Любой новый препарат обязан доказать эффективность в клинических исследованиях. Для нового лекарства ключевым стало исследование BALANCE — прямое сравнение с «золотым стандартом», препаратом с действующим веществом агалсидаза бета, который применяется более двадцати лет.

История началась в 2016 году, когда стартовало основное исследование. Далее производитель не раз обращался в Управление по санитарному надзору за качеством пищевых продуктов и медикаментов США (FDA) с планом доказать, что новый препарат «лучше» существующего. FDA ответила отказом: данных недостаточно. Только в августе 2023 года регулятор дал добро и препарат был зарегистрирован с результатами «не хуже» существующей терапии.

Суть исследования «не хуже» проста: устанавливается допустимый предел отставания нового препарата от старого. Производитель сам назначает себе «проходной балл». В данном случае планка была установлена на очень низком уровне. Для сравнения: независимые эксперты FDA считают обоснованным порог практически в шесть раз строже.

В итоге исследование показало: новый препарат эффективнее плацебо, но хуже существующего лечения. Формально он «не хуже» — но только благодаря заниженным требованиям.



Фото: Евгений Козырев / РИА Новости

Европейское агентство по лекарственным средствам (EMA) в своем отчете указало прямо: «Результаты не демонстрируют убедительно, что новый препарат столь же эффективен, как стандартная терапия». Европейское агентство одобрило препарат только потому, что других вариантов лечения у некоторых пациентов просто не было.

“

Препарат зарегистрирован три года назад и к этой молекуле пока еще много вопросов. Один из них — как препарат проникает в лизосомы клетки, чтобы разрушить накопленные из-за болезни липиды. Агалсидаза бета делает это при помощи "особых" меток — маннозо-6-фосфатных остатков. У пегунигалсидазы альфа же подобные "особые" метки отсутствуют

Василий Ряженев, заведующий кафедрой клинической фармакологии
Сеченовского Университета, д. м. н.

Кто больше страдает?

Болезнь Фабри тяжелее всего протекает у мужчин. Они умирают рано из-за нарушений работы сердца или почек. Новый препарат в первую очередь должен помогать именно им.

Исследование BALANCE показало обратное.



У мужчин, получавших новое лекарство, скорость ухудшения работы почек оказалась на 71 процент выше, чем у тех, кто получал стандартную терапию



Но есть показатель еще тревожнее. В крови пациентов есть маркер Lyso-Gb3 — он показывает, как накапливаются токсичные жиры. При эффективном лечении он падает. У мужчин на новом препарате этот показатель вырос. И это не случайность: те же данные подтвердило другое независимое исследование.

Рискованная инновация

У трех процентов пациентов новый препарат вызывал тяжелейшие аллергические реакции (анафилаксию) в первые минуты после укола.

62 процента мужчин в исследовании выработали антитела, которые нейтрализуют действие нового лекарства, снижая его эффективность в десятки раз. Это ключевой риск, о котором умалчивают маркетологи.

В Евросоюзе производитель имел особый статус для редких заболеваний, дающий десятилетнюю монополию на рынке. Но когда европейский комитет экспертов не нашел у препарата «значительного клинического преимущества» перед существующими лекарствами, компания предпочла сама отозвать заявку на поддержание статуса — чтобы избежать публичного отказа.

Что произошло в России?

В 2025 году компания подала заявку на включение «Эльфабрио» в перечень ЖНВЛП. Без этого статуса госзакупки невозможны. В первый раз, в августе, комиссия отложила рассмотрение вопроса. На следующем заседании в ноябре заявку отклонили, вероятно, опираясь и на решение ЕМА, которое усомнилось в эффективности иностранного препарата.

Производитель обещал цену на 70 процентов ниже европейской. Красивая цифра. Но если пересчитать стоимость на миллиграмм действующего вещества, новый препарат не имеет значительных преимуществ по цене. Никакой реальной экономии для бюджета здесь нет.

Что в сухом остатке

В России сегодня по оценочным данным более 200 пациентов с болезнью Фабри получают терапию за государственный счет. Лечение каждого стоит от шести до десяти миллионов рублей в год.



Фото: Константин Михальчевский / РИА Новости

Решение комиссии защитило этих людей от препарата, чья эффективность вызывает серьезные вопросы даже у зарубежных регуляторов. Если бы голоса распределились иначе, пациентов могли бы перевести на терапию, которая, по данным собственных исследований производителя, у самых тяжелых больных работает хуже, чем та, что они получают сейчас.

Москвич Андрей об этих спорах не знает. Он просто приходит на капельницу раз в две недели и живет дальше — работает, растит дочь. Его лечение работает. И вопрос «зачем менять?» для него вовсе не риторический.

