

## ПАТОГЕНЕТИЧЕСКАЯ ТЕРАПИЯ ПАРОКСИЗМАЛЬНОЙ НОЧНОЙ ГЕМОГЛОБИНУРИИ

Савохина М. В.

*Национальный фармацевтический университет, г. Харьков, Украина*

*marinadoc10@gmail.com*

Пароксизмальная ночная гемоглобинурия (ПНГ) это редкое приобретенное клональное заболевание крови, характеризующееся хроническим внутрисосудистым гемолизом, костномозговой недостаточностью, повышенным риском развития тромботических осложнений. В основе этиологии ПНГ лежит соматическая мутация в X-сцепленном гене фосфатидилинозитол гликана класса А (PIG-A), приводящая к дефициту гликозилфосфатидилинозитоловой «якорной» структуры, которая осуществляет фиксацию широкого спектра белков на мембранах клеток крови. Отсутствие этих связанных с мембраной белков, в частности CD55 и CD59, нарушает регуляцию системы комплемента и приводит к выраженному хроническому внутрисосудистому комплемент-опосредованному гемолизу.

На сегодняшний день накоплен достаточный международный опыт применения нового патогенетического лекарственного средства для лечения ПНГ – препарата экулизумаб (Солирис®, Alexion Pharmaceuticals, Cheshire, CT).

Экулизумаб – моноклональное антитело, специфически связывающееся с комплементом протеина C5, обнаруживая при этом высокий аффинитет к нему и блокируя тем самым превращение C5a в C5b, что предотвращает образование конечного комплементарного комплекса C5b-9. Таким образом, при ПНГ экулизумаб останавливает внутрисосудистый гемолиз.

Лечение препаратом Солирис® состоит из фазы индукции (по 600 мг в/венно капельно 1 раз в неделю в течение 4 недель) и фазы поддерживающей терапии (по 900 мг в/венно капельно в течение 5-ой недели и далее каждые 14 ( $\pm 2$ ) дней). Случаи гемолиза отмечены при пропуске или задержке введения очередной дозы препарата, поэтому очередную дозу препарата необходимо вводить каждые 14 ( $\pm 2$ ) дней по 900 мг в/венно капельно. Для больных ПНГ младше 18 лет доза препарата экулизумаб определяется в зависимости от массы тела ребенка.

Применение экулизумаба у пациентов с ПНГ приводит к значительному уменьшению гемолиза, частоты тромбозов, трансфузионной зависимости и выраженности таких симптомов, как одышка, слабость и легочная гипертензия. Кроме того, экулизумаб способствует улучшению функции почек и повышению качества жизни пациентов, а при долгосрочном применении увеличивает продолжительность жизни до сравнимой по возрасту в общей популяции. Экулизумаб обладает хорошим профилем безопасности при длительном применении и позволяет значительно снизить частоту осложнений и смерти пациентов с ПНГ.

Применение экулизумаба в лечении больных с ПНГ считается доказанным и рациональным методом патогенетической терапии.