

**У.А. Беланович, Ю.А. Федотенко**

**ПЕРВЫЙ ОПЫТ ТАРГЕТНОЙ ТЕРАПИИ МУКОВИСЦИДОЗА У ДЕТЕЙ  
В РЕСПУБЛИКЕ БЕЛАРУСЬ**

**Научные руководители: ст. преп. Е.Е. Чиркун, канд. мед. наук, доц.**

**В.И. Бобровнический**

*2-ая кафедра детских болезней*

*Белорусский государственный медицинский университет, г. Минск*

**U.A. Belanovich, Y.A. Fedatsenko**

**FIRST EXPERIENCE OF TARGETED THERAPY FOR CYSTIC FIBROSIS  
IN CHILDREN IN THE REPUBLIC OF BELARUS**

**Tutor: senior lecturer E.E. Chyrkun, PhD, associate professor V.I. Bobrovnichy**

*2nd Department of Childhood Diseases*

*Belarusian State Medical University, Minsk*

**Резюме.** Последнее десятилетие во всем мире активно применяются таргетные препараты, которые демонстрируют высокую эффективность, улучшают качество жизни и повышают медиану прогнозируемой выживаемости для людей с муковисцидозом.

**Ключевые слова:** муковисцидоз, таргетная терапия, функция внешнего дыхания.

**Resume.** Over the past decade, targeted therapies have been widely adopted worldwide, demonstrating high efficacy, improving quality of life, and increasing the median projected survival for individuals with cystic fibrosis.

**Keywords:** cystic fibrosis, targeted therapy, respiratory function.

**Актуальность.** Муковисцидоз (кистозный фиброз) – это аутосомно-рецессивное наследственное заболевание, характеризующееся нарушением функций всех экзокринных желез и, как следствие, поражением жизненно важных органов и систем. В Беларуси частота встречаемости муковисцидоза – 1:8000 новорождённых. В настоящее время все пациенты получают базисную симптоматическую и заместительную терапию, а также терапию обострений и осложнений заболевания. В последнее десятилетие во всем мире широко используются препараты патогенетической таргетной терапии, действие которых направлено на восстановление функции белка CFTR.

**Цель:** проанализировать эффективность применения в течение 2,5 лет таргетной терапии препаратом – «Трикафта» (Международное непатентованное название – элексакафтор/ивакафтор/тезакафтор) у двух пациенток с муковисцидозом.

**Задачи:**

1. Оценить динамику показателей функции внешнего дыхания (далее – ФВД), антропометрические данные, данные посевов на микрофлору из носа и зева, объем вынужденной антибактериальной терапии и частоту госпитализаций до старта таргетной терапии и через 2,5 года применения на примере двух детей, получавших препарат «Трикафта».

2. Оценить влияние таргетной терапии на качество жизни пациентов.

**Материалы и методы.** Изучены данные медицинской документации (история развития ребенка, карты стационарного пациента, заключения Городского

амбулаторного пульмонологического кабинета), произведен осмотр двух пациенток 2012 года рождения, получающих препарат «Трикафта» с сентября 2022 года. Анализировались показатели функции внешнего дыхания (форсированная жизненная емкость легких (далее – ФЖЕЛ) и объем форсированного выдоха за первую секунду (далее – ОФВ1), антропометрические данные (вес, рост, индекс массы тела (далее – ИМТ)), данные посевов на микрофлору из носа и зева, объем вынужденной антибактериальной терапии, частота госпитализаций.

**Результаты и их обсуждение.** В Республиканском центре детской пульмонологии и муковисцидоза в 3-ей городской детской клинической больнице г. Минска состоят на учете две девочки 2012 года рождения с диагнозом муковисцидоз, получающие таргетный препарат «Трикафта» с сентября 2022 года.

По результатам исследования эффективности применения препарата на протяжении 2,5 лет произошло увеличение показателей физического развития. Средний годовой показатель массы тела увеличился с 28 кг до старта терапии до 46,5 кг спустя 2,5 года терапии. Рост увеличился с 139 см до 157,5 см, что характерно для естественного роста детей в этом возрасте. Произошла нормализация показателя ИМТ (с 14,5 кг/м<sup>2</sup> до 18,8 кг/м<sup>2</sup>). Улучшились показатели функции внешнего дыхания: показатель ФЖЕЛ увеличился со 100% до 112,5%, ОФВ1 – со 110% до 112,5% (табл. 1).

**Табл. 1.** Сравнительная характеристика показателей до и спустя 2,5 года терапии

Показатель	До терапии	2,5 года терапии	Прирост
Масса тела	28 кг	46,5 кг	18,5 кг
Рост	139 см	157,5 см	18,5 см
ИМТ	14,5 кг/м <sup>2</sup>	18,8 кг/м <sup>2</sup>	4,3 кг/м <sup>2</sup>
ФЖЕЛ	100%	112,5%	12,5%
ОФВ1	110%	112,5%	2,5%

На протяжении двух лет до старта терапии у пациенток отмечался высеv патогенной флоры (*Achromobacter xylosoxidans* и *Burkholderia cepacia complex*) в мазках из носа и зева, проводилась эрадикация антибактериальными препаратами. С апреля 2022 года данные патологические микроорганизмы перестали высеvаться из респираторного тракта.

На фоне изменения микробных высеvов из дыхательных путей отмечается

снижение частоты обострений хронического бронхолегочного процесса, соответственно, курсов вынужденной антибиотикотерапии. За последние 2 года проведен всего один курс антибактериальной терапии (энтеральный приём Азитромицина в течение трёх дней на фоне ОРИ). В среднем до старта приема препарата «Трикафта» госпитализации по поводу обострения заболевания требовались 1–2 раза в год. На фоне терапии за период с сентября 2022 года по сегодняшний день отмечается отсутствие госпитализаций по поводу обострений муковисцидоза. В апреле 2024 года, учитывая данные микробиологических исследований, была отменена базисная антибактериальная терапия Азитромицином и Колистиметатом натрия, которые непрерывно использовались в лечении с 2018 года.

До старта терапии пациентки находились на домашнем обучении в связи с частыми обострениями основного заболевания на фоне вирусных инфекций. Нормализация темпов физического развития, снижение количества обострений и госпитализаций позволило девочкам в 2023 году вернуться к очному обучению в школе. Сейчас они учатся в 6 классе, регулярно посещают основные и дополнительные занятия, ведут активную социальную жизнь, путешествуют и строят планы на будущее.

В настоящее время пациенты продолжают получать таргетную терапию, а также комплексное базисное лечение.

#### **Выводы:**

1. Первый опыт длительного применения таргетного препарата «Трикафта» у детей в Республике Беларусь продемонстрировал положительную динамику показателей физического развития и нормализацию показателей ИМТ, улучшение показателей функции внешнего дыхания, отсутствие высевов патогенных микроорганизмов, которые при длительном персистировании вызывают множество осложнений.

2. Благодаря применению патогенетической терапии снизилась частота обострений и кратность курсов применяемых антибиотиков, отмечается отсутствие госпитализаций.

3. Возвращение в школу подарило девочкам возможность социальной адаптации и значительно улучшило качество жизни.

4. Совершенствование медицинской помощи пациентам с муковисцидозом в РБ должно быть направлено на поиск возможности использования таргетной терапии, что будет способствовать улучшению качества жизни пациентов.

#### **Литература**

1. Войтович, Т.Н. Муковисцидоз у детей. Современные особенности клиники, диагностики и лечения/ Т.Н. Войтович, В.И. Бобровнический, А.Г. Чистый//Медицинский журнал. – 2020.—№2. – С.130-134.

2. Куцев, С.И. Таргетная терапия при муковисцидозе/С.И. Куцев В.Л. Ижевская, Е.И. Кондратьева//Пульмонология. – 2021. –№2. – С.226-236.

3. Guide About Cystic Fibrosis [Electronic resource] // Cystic Fibrosis foundation. –Mode of access: <https://www.cff.org/intro-cf/about-cystic-fibrosis>. – Date of access: 02.05.2025.