

ОПЫТ ПРИМЕНЕНИЯ НЕФАКТОРНОЙ ТЕРАПИИ У ПАЦИЕНТОВ С ГЕМОФИЛИЕЙ А В РЕСПУБЛИКЕ БЕЛАРУСЬ

Е.Н. Кабаева, И.А. Искров, Д.Г. Цвирко, Н.А. Антипенко, С.В. Дубовская

*УО «Белорусский государственный медицинский университет», г. Минск, Беларусь;
ГУ «Минский НПЦ хирургии, трансплантологии и гематологии», г. Минск, Беларусь*

Гемофилия – это орфанное, генетически обусловленное X-сцепленное, заболевание системы свертывания крови, обусловленное дефицитом VIII фактора свертывания крови, клинически проявляющееся

геморрагических синдромом. Частота распространенности гемофилии А составляем 1:10 000 новорожденных или 5-6: 100 000 населения. Согласно регистру пациентов с гемофилией А в Республике Беларусь на октябрь 2025 года. По данным Республиканского Регистра коагулопатий в Республике Беларусь 643 пациентов с гемофилией. 519 пациентов с гемофилией А; 289 пациентов с тяжелой гемофилией А: 206 взрослых, 83 детей; из них 44 пациента с ингибиторами к FVIII гемофилии А: 39 взрослых и 5 детей; 80 пациентов со средней степени тяжести: 74 взрослых пациентов из них 2 ингибиторами к FVIII, 6 детей.

Профилактическое лечение гемофилии А составляет основу терапии. Данный вид терапии осуществляется с использованием препаратов фактора свертывания VIII (плазматического и рекомбинантного). Проблемной стороной данного лечения является во-первых необходимость постоянного венозного доступа (на профилактическом лечении частота внутривенных инъекций составляет около 3 х раз в неделю при введении КФСК VIII со стандартным периодом полувыведения). При таком способе введения за 18 лет терапии количество внутривенных инъекций составит 2468. Вторая проблема – это возникновение ингибиторов к фактору VIII, т.е. переход в ингибиторную форму, когда терапия КФСК VIII не будет эффективна. Альтернативой является назначение другого вида профилактической терапии – терапия нефакторным агентом с подкожным механизмом введения – биколантным антителом Эмицизумаб. Эмицизумаб – миметик FVIII для профилактики кровотечений у пациентов с гемофилией А. Биспецифическое антитело (IgG4) с афинностью к FIXа и FX, «мимикрирующее» ко-факторную активность FVIII. Период полувыведения составляет 4-5 недель, п/к форма введения, не нуждается в стабилизации фактором Виллебранда, не нейтрализуется ингибиторами к FVIII. Поддержание активности FVIII не ниже 12% позволяет минимизировать количество суставных кровотечений. Показан в качестве рутинной профилактики для предотвращения или снижения частоты кровотечений у взрослых и детей с гемофилией А (врожденный дефицит фактора VIII): с ингибиторами к фактору VIII, без ингибиторов к фактору VIII, у которых тяжелая форма заболевания (FVIII <1 %) или средняя форма заболевания (FVIII \geq 1 % и \leq 5%) с тяжелым фенотипом кровотечений.

Применяется у пациентов с ингибиторами и без. Доля пациентов без ингибитора растет Терапию начали пациенты во всех областях, кроме Могилевской области.

2021-2022 гг. – первый пациент

2023 год: Число пациентов – 6 : в Брестской, Гродненской, Гомельской областях

2024 год: Число пациентов до 18 лет – 11, из них 1 пациент старше 18 лет продолжает получать Эмицизумаб во взрослой службе

2025 год: Число пациентов до 18 лет – 15, из них 3 пациента старше 18 лет: из 2 продолжает получать Эмицизумаб после достижения 18 лет во взрослой службе, а 1 пациент начал терапию в возрасте 18 лет.

За период наблюдения с 2021 года нежелательных явлений и реакций не зафиксировано

У пациентов значительно снизилось количество кровотечений, требующих гемостатической терапии, уменьшился расход препаратов с шунтирующим механизмом активации свертывания крови.

За время использования у детей: у 2 разных пациентов зафиксировано 2 случая травматических кровотечений, потребовавших лечения, НО не связанных с применением Эмицизумаба (1- тяжелая травма слизистой полости рта; 2 – не соблюдение инструкции по применению жаропонижающих лекарственных средств).

Накоплен опыт малого хирургического вмешательства – удаление порт системы на фоне регулярно приема Эмицизумаба с краткосрочной гемостатической терапией КФСК VIII.

В 2025 году начнет лечение первый ранее не леченный пациент (13 дней введения КФСК VIII) в возрасте до 2 лет.

Ингибиторов после назначения препарата ЛС Эмицизумаб выявлено не было. Нежелательных явлений на препарат в течении жизни отмечено не было

Наблюдение за пациентами продолжается.

Выводы:

1. Режим вторичной профилактики является основой современной терапии гемофилии А. Регулярное профилактическое с применением ЛС Эмицизумаб обеспечивает предотвращение спонтанных геморрагических эпизодов, защиту целевых суставов от прогрессирования артропатии и значительное улучшение качества жизни пациентов по сравнению с режимом терапии «по требованию». Профилактика Эмицизумабом у пациентов с ингибиторами к FVIII и без, у которых тяжелая форма заболевания и средняя форма заболевания с тяжелым фенотипом кровотечений во всех возрастных группах поможет снизить прогрессирование гемофилической артропатии. И как следствие этого уменьшить инвалидизацию пациентов с гемофилией А.

2. Риск развития ингибиторов отсутствует, и препарат эффективен в том числе и для лечения пациентов с ингибиторными формами заболевания.

3. Эмицизумаб внесен в Клинические протоколы лечения для профилактики кровотечений у пациентов с гемофилией А.

4. Эффективность и безопасность Эмицизумаба признана всем мировым сообществом

5. Локальный опыт использования доказал заявленную производителем эффективность и безопасность.

6. Удобство п/кожного введения обеспечит возможность домашнего лечения и позволит снять вопрос трудного венозного доступа.

МИНИСТЕРСТВО ЗДРАВООХРАНЕНИЯ РЕСПУБЛИКИ БЕЛАРУСЬ
ГОСУДАРСТВЕННОЕ УЧРЕЖДЕНИЕ «РЕСПУБЛИКАНСКИЙ НАУЧНО-ПРАКТИЧЕСКИЙ
ЦЕНТР РАДИАЦИОННОЙ МЕДИЦИНЫ И ЭКОЛОГИИ ЧЕЛОВЕКА»

**«Актуальные вопросы гематологии
в общеврачебной практике»**
(г. Гомель, 12 ноября 2025 г.)

Материалы республиканской
научно-практической конференции
с международным участием

Под общей редакцией
доктора медицинских наук, профессора А.В. Рожко

Гомель
ГУ «РНПЦ РМиЭЧ»
2025