

Возможности федерального детского педиатрического центра в формировании стратегии клинических исследований в педиатрии

Воинова В.Ю., Школьников М.А., Ковалев И.А.

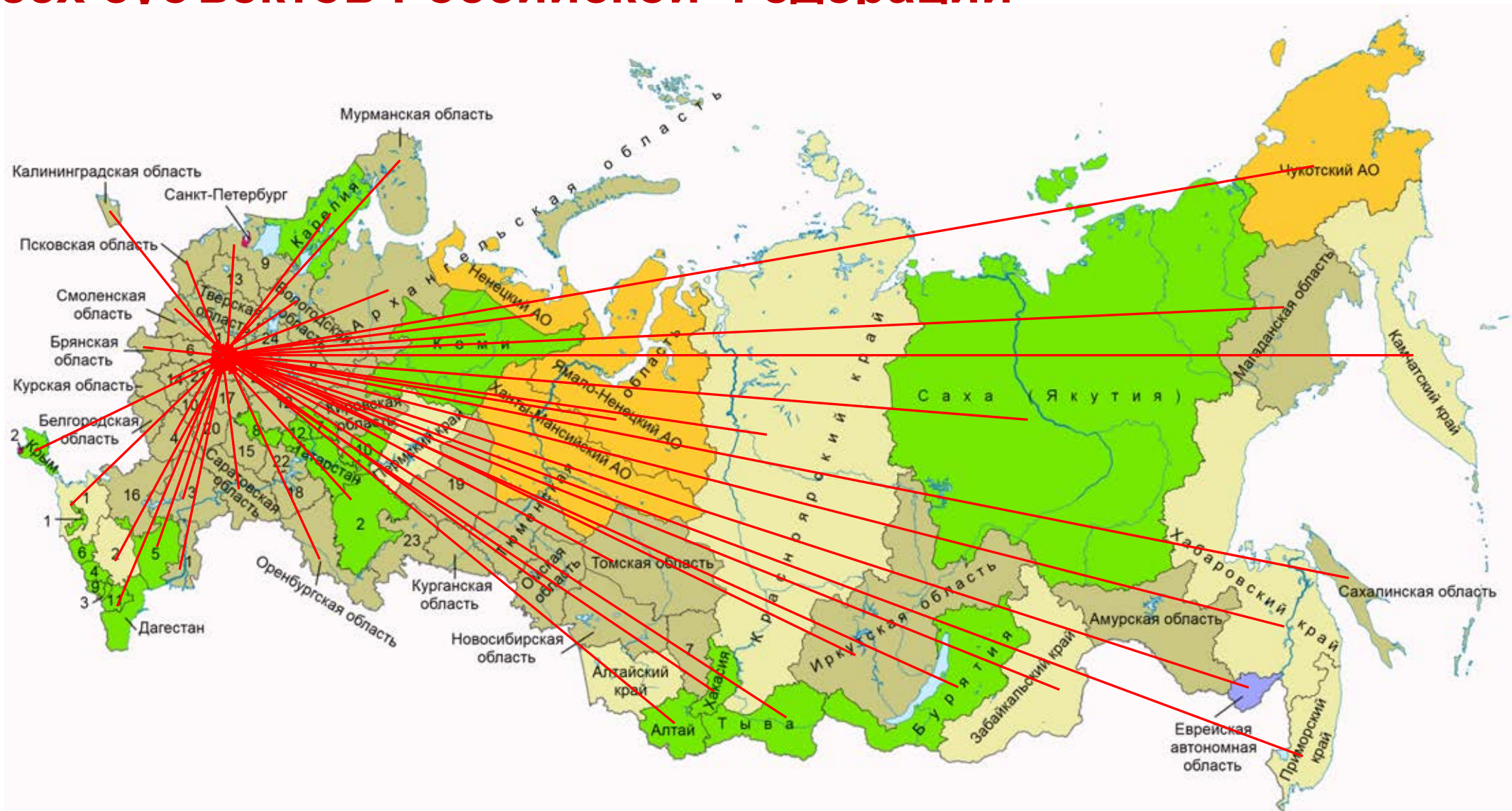
НИКИ педиатрии им. ак. Ю.Е.Вельтищева

РНИМУ им. Н.И. Пирогова, Москва



Научно-исследовательский клинический институт
педиатрии имени академика Ю.Е. Вельтищева
РНИМУ им. Н.И. Пирогова Минздрава России

**НИКИ педиатрии имени академика Ю.Е.Вельтищева
накапливает и систематизирует данные о пациентах из
всех субъектов Российской Федерации**



На базе института создаются и функционируют регистры больных с различной патологией:

- Первичные электрические заболевания сердца
 - Легочная гипертензия
 - Гипертрофические кардиомиопатии
 - Мышечная дистрофия Дюшенна и другие нервно-мышечные заболевания
 - Туберозный склероз
 - Гипофосфатазия
 - Мукополисахаридозы I-II типов
- и др.

Высоко квалифицированные научные кадры НИКИ педиатрии имени академика Ю.Е.Вельтищева

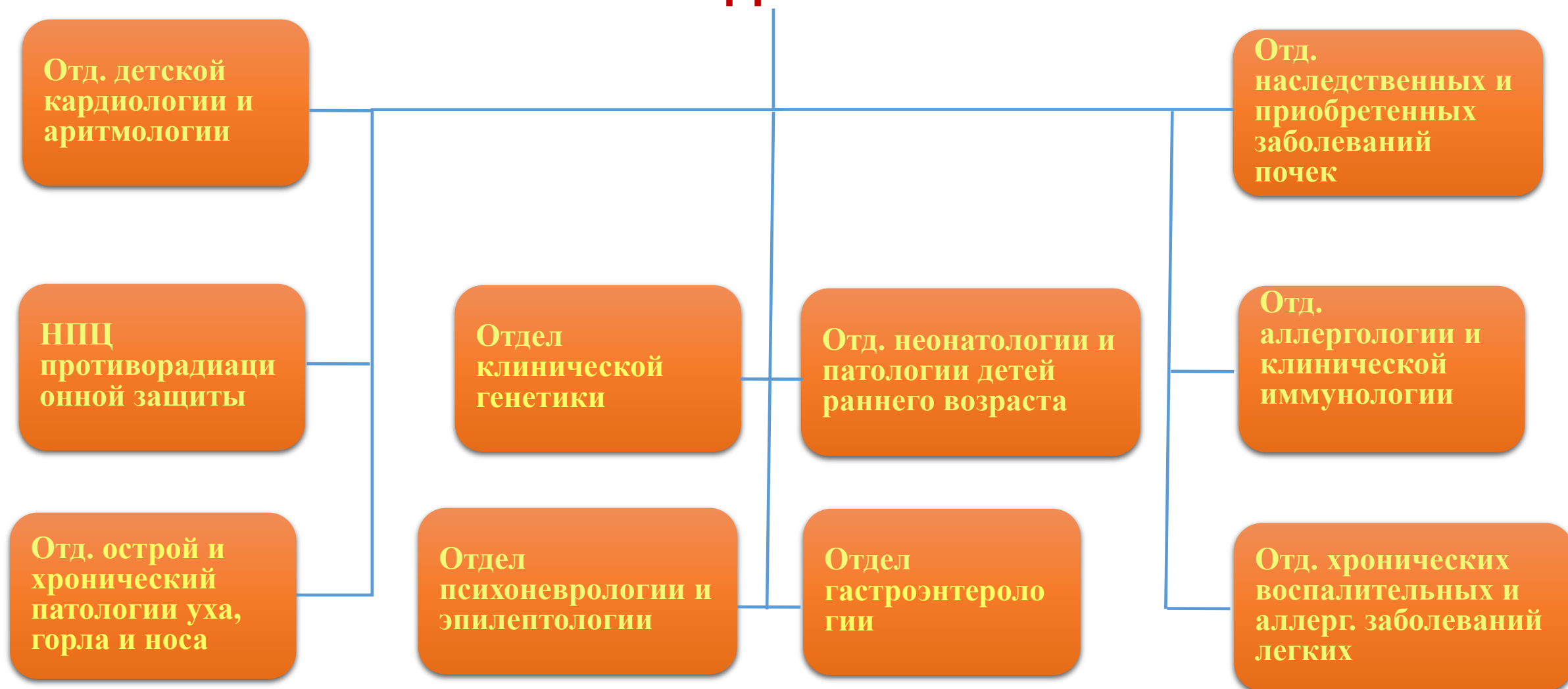
**В научных подразделениях работают 74 научных
сотрудника:**

- докторов наук – 23
- кандидатов наук – 33

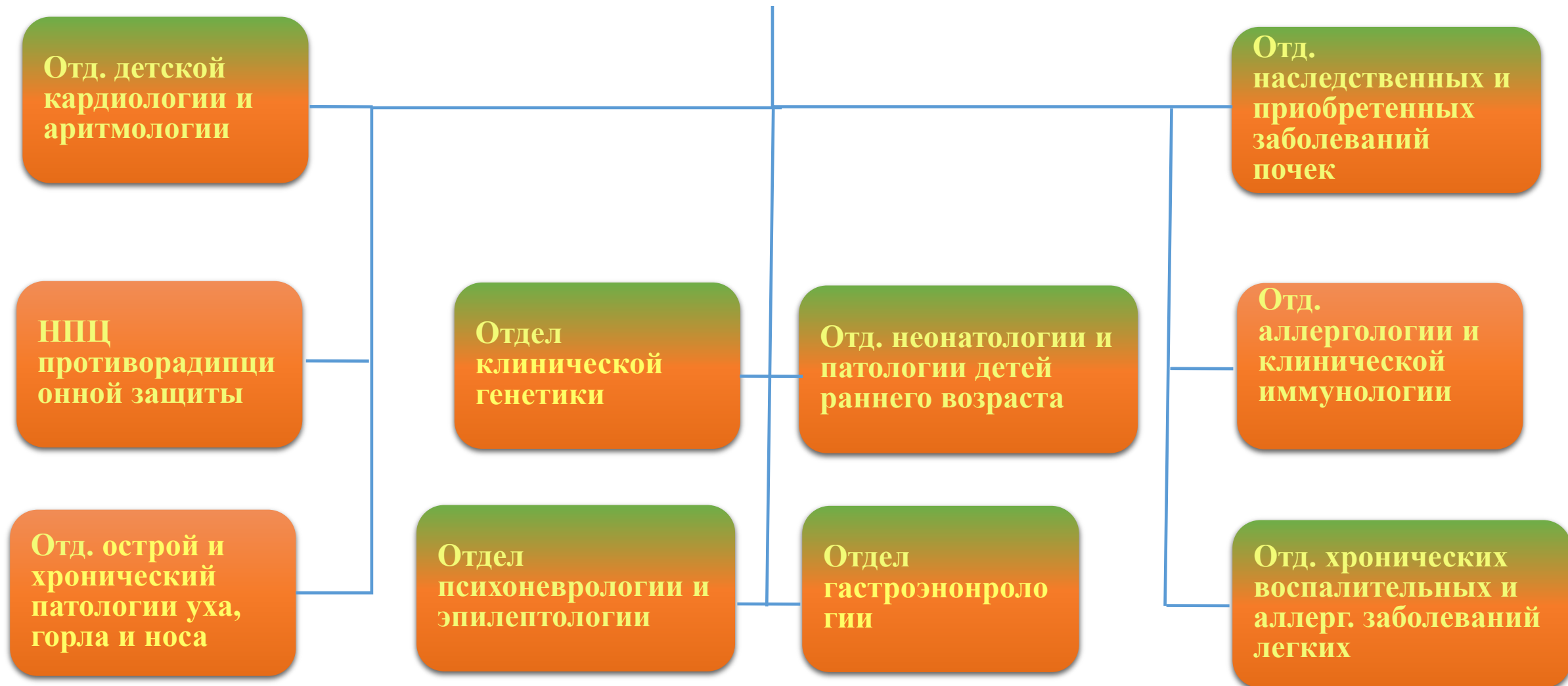
Клинические отделения НИКИ педиатрии, 2017 г.

№	ОТДЕЛЕНИЕ (профиль коек)	КОЛ-ВО КОЕК
1	Детское психоневрологическое отделение 1 (неврология)	30
2	Детское психоневрологическое отделение 2 (неврология)	30
3	Детское кардиологическое отделение (детская кардиология)	30
4	Детское кардиологическое отделение нарушений сердечного ритма (детская кардиология)	20
5	Отделение клинической и интервенционной аритмологии (детская кардиология, сердечно-сосудистая хирургия)	30
6	Отделение нефрологии (нефрология)	50
7	Педиатрическое отделение (педиатрия, гастроэнтерология, аллергология)	25
8	Педиатрическое отделение врождённых и наследственных заболеваний (педиатрия)	50
9	Отделение раннего возраста (педиатрия)	20
10	Отделение оториноларингологии (оториноларингология)	20
11	Отделение детской хирургии (хирургия, урология, офтальмология)	23
12	Отделение пульмонологии (пульмонология)	40
13	Отделение нейрохирургии (нейрохирургия)	20
15	Отделение анестезиологии-реанимации	6
	ИТОГО	388

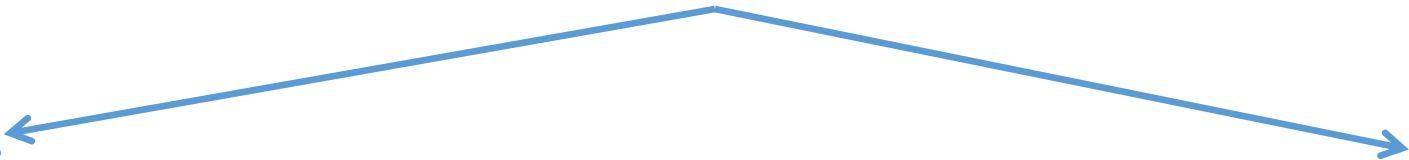
Научные подразделения НИКИ педиатрии, перспективные для проведения клинических исследований



Научные подразделения НИКИ педиатрии, участвующие в клинических исследованиях



Инициаторы исследований, проводимых в НИКИ педиатрии



```
graph TD; A[Инициаторы исследований, проводимых в НИКИ педиатрии] --> B[ЗАРУБЕЖНЫЕ:]; A --> C[ОТЕЧЕСТВЕННЫЕ:];
```

ЗАРУБЕЖНЫЕ:

- Новартис Фарма АГ
- АстраЗенека АБ
- Берингер Ингельхайм РЦВ ГмбХ и Ко КГ
- Алексион фармасьютикалс
- Genzyme
- ГлаксоСмитКляйн Трейдинг
- Актелион фармасьютикалс Лтд
- Пфайзер
- Тева Брендид Фармасьютикалс

ОТЕЧЕСТВЕННЫЕ:

- ПИК-ФАРМА
- ООО МедФармПромСтандарт
- ООО Бионорика
- Общество детских гастроэнтерологов, гепатологов и нутрициологов (РФ)

**3: симбикорт,
индакатерола ацетат,
флутиказона пропионат**

Отд. хронических
воспалительных и
аллерг. заболеваний
легких

**6: дабигатран,
амбризентан,
босентан,
мацитентан,
силденафил**

Отдел детской
кардиологии и
аритмологии

Отд.
наследственных и
приобретенных
заболеваний
почек

**2: фесотеродин,
Канефрон Н**

**Клинические
исследования в
НИКИ**

**педиатрии 2015-
2017 гг.**

Отдел
клинической
генетики

Отд. неонатологии и
патологии детей
раннего возраста

**3: пантогам-
сироп, элькар,
вакцины Вэл-хиб
и Акт-хтб**

**3: аглюкозидаза
альфа, 2
наблюдательных**

**9: эверолимус,
золедроновая кислота,
фесотеродин,
прегабалин, аталурен,
дрисаперсен, 2
наблюдательных**

Отдел
психоневрологии и
эпилептологии

Отдел
гастроэнтероло-
гии

**1: микросимбиоценоз на
фоне пробиотиков и
полисахаридов**

ПРИМЕР 1: Наблюдательное, продольное, проспективное, долгосрочное реестровое исследование пациентов с гипофосфатазией

An Observational, Longitudinal, Prospective, Long-Term Registry Of Patients With Hypophosphatasia (HPP)

This study is enrolling participants by invitation only.

Sponsor:

Alexion Pharmaceuticals

ClinicalTrials.gov Identifier:

NCT02306720

First Posted: December 3, 2014

Last Update Posted: August 17, 2017

Гипофосфатазия - редкое наследственное заболевание обмена веществ, приводящее к нарушению минерализации костной ткани вследствие снижения активности тканеспецифической щелочной фосфатазы, кодируемой геном *ALPL*

Распространенность тяжелой гипофосфатазии в Европе оценивается на уровне 1:300 000, а умеренно тяжелой - 1:6370

Предположительная распространенность в РФ - 1:100 000

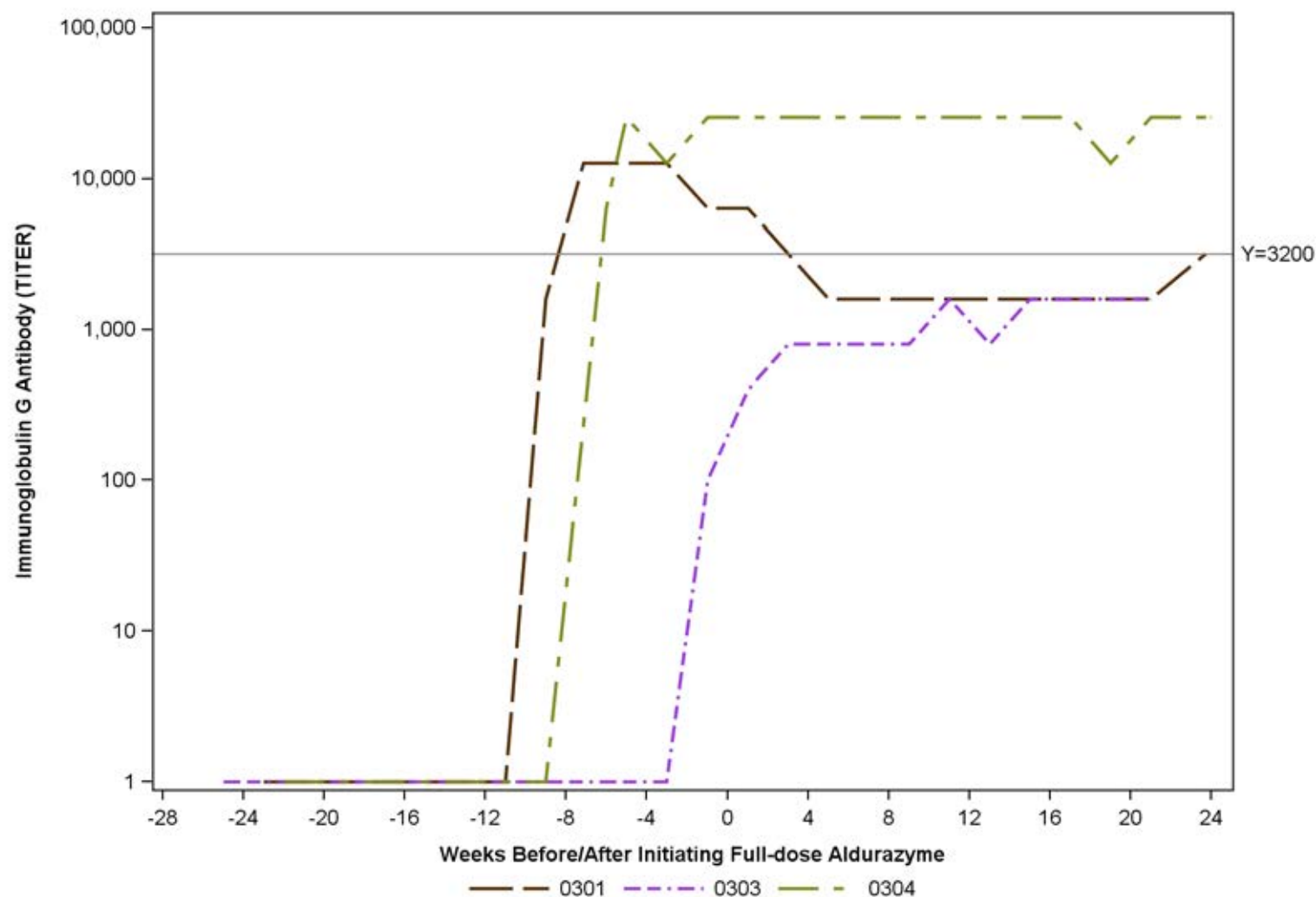


ПРИМЕР 2: Исследование развития антиген-специфической иммунной толерантности у больных мукополисахаридозом I типа (МПС I) начинающих заместительную ферментную терапию Альдуразимом® (ларонидазой) (ALID02307)

- Мукополисахаридоз I типа - снижение активности лизосомного фермента α - L – идуронидазы вследствие мутаций гена *IDUA*
- Частота 1: 40 000 – 1: 500 000
- Ферментозаместительная терапия больных с МПС I: Альдуразим (ларонидаза) (регистрационный номер: ЛСР 003818/08)
- Больные с генотипом Q70X/Q70X характеризуются повышенной продукцией антител к ларонидазе
- Были включены больные только из 2х стран: Бразилия (медико- генетическая служба госпиталя Порто Алегре) и РФ (НИКИ педиатрии)
- Дизайн исследования: индукция иммунологической толерантности (циклоспорин, азатиоприн) и постепенно нарастающая доза Ларонидазы



Появление иммуноглобулинов G к ларонидазе у пациентов с МПС1





RESEARCH

Open Access

RESEARCH ARTICLE

Long-Term
Tubero
from th

Tuberous Sclerosis registry to increase disease Awareness (TOSCA) – baseline data on 2093 patients



click for updates

Articles

amon Castellana⁶,
wski^{12,13},
ya¹⁸,
itin Sander²³,
berg²⁸,

Everolimus for subependymal giant cell astrocytoma in patients with tuberous sclerosis complex: 2-year open-label extension of the randomised EXIST-1 study



David Neal Franz, Elena Belousova, Steven Sparagana, E Martina Bebin, Michael Frost, Rachel Kuperman, Olaf Witt, Michael H Kohrman,
J Robert Flamini, Joyce Y Wu, Paolo Curatolo, Petrus J de Vries, Noah Berkowitz, Oezlem Anak, Julie Niolat, Sergiusz Jozwiak

OPEN ACCESS

Citation: Franz DN, Belousova
Bebin EM, Frost MD, Kuperma
Long-Term Use of Everolimus i

ly gaps remain
rosis registry to
edge gaps in the

the preceding
n designed to

Выводы

- Федеральный педиатрический центр, накапливая и систематизируя данные о пациентах, создает ресурс для клинических исследований, обеспечивает научный подход к их проведению. Связь Федерального центра с регионами, ведение регистров пациентов позволяют быстро находить и включать в исследования детей в том числе с орфанными заболеваниями и уникальными генотипами
- Федеральный педиатрический центр может формулировать запросы на необходимость разработок лекарственных препаратов и проведение клинических исследований в содружестве с кампаниями - производителями фарм. препаратов
- Необходима регуляция в области финансирования клинических исследований