

*Интравентрикулярное (внутрижелудочковое) введение Хантеразы – прорыв в лечении пациентов с МПС II*

## Мукополисахаридоз II типа (синдром Хантера)



- Мультисистемное наследственное заболевание сцепленное с X хромосомой возникающее преимущественно у лиц мужского пола (встречаемость 1 на 132 000 родившихся мужского пола)
- Дефицит фермента идуронат-2-сульфатазы приводит к нарушению поэтапной деградации гликозаминогликанов и накоплению ГАГ в тканях и органах
- Наиболее ранним проявлением является поражение ЦНС проявляющееся задержкой и/или регресс психомоторного развития (70% пациентов) с наиболее очевидными симптомами к двухлетнему возрасту пациента
- Основной метод лечения фермент заместительная терапия препаратами Идурсульфазы, Хантераза (GC Pharma), которая продляет жизнь пациентов, но не снижает темпов поражения ЦНС

### Filter News

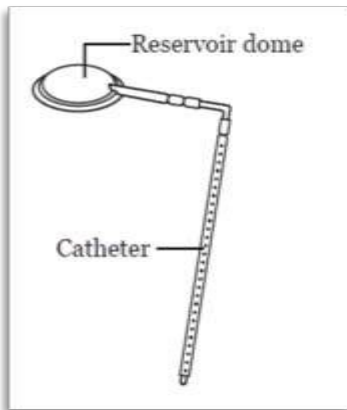
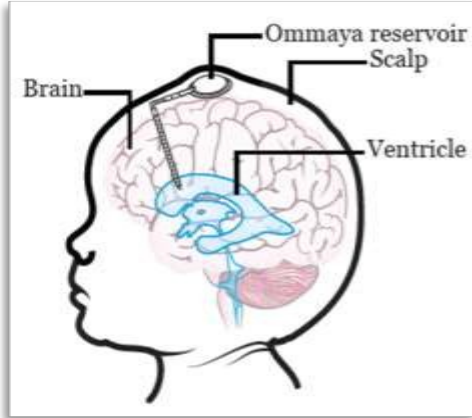
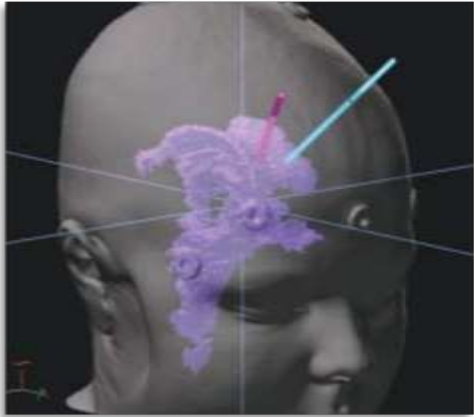
- ▶ [All \(646,835\)](#)
- ▶ [Topic \(619,871\)](#)
- ▶ [Industry \(92,480\)](#)
- ▶ [Hotbed/Location \(600,836\)](#)
- ▶ [Career Advice \(3,520\)](#)
- ▶ [Employer Insights \(46\)](#)
- ▶ [Therapeutic Insights \(182\)](#)
- ▶ [Coronavirus \(COVID-19\) News \(899\)](#)

## Announcing Marketing Approval for Hunterase ICV Injection 15 mg, the World's First Enzyme Replacement Therapy for Mucopolysaccharidosis Type II (Hunter Syndrome) Administered by ICV Injection

Published: Jan 22, 2021

YONGIN, South Korea--(BUSINESS WIRE)-- GC Pharma (formerly known as Green Cross Corporation) (KRX: 006280), a South Korean biopharmaceutical company, and Clinigen K.K. ("Clinigen"), headquartered in Tokyo, has received on January 22, 2021, Japan manufacturing

# Интравентрикулярное введение Хантеразы (принцип метода)



- Установка резервуар Оммаи (силиконовый катетер с портом) мягкое пластиковое устройство в виде купола, которое помещается под кожу головы и вводится в один из желудочков мозга
- Ежемесячное, пожизненное введение Хантеразы 30 мг

# Что представляет собой резервуар Оммауа?

Резервуар Оммауа — это мягкое пластиковое устройство в виде купола размером с монету в 25 центов, которое помещается под кожу головы. Он подсоединяется к катетеру (тонкой гибкой трубке), который вводится через головной мозг в один из желудочков (см. рисунки 1 и 2). Желудочки — это полые пространства, в которых вырабатывается спинномозговая жидкость, окружающая головной и спинной мозг.

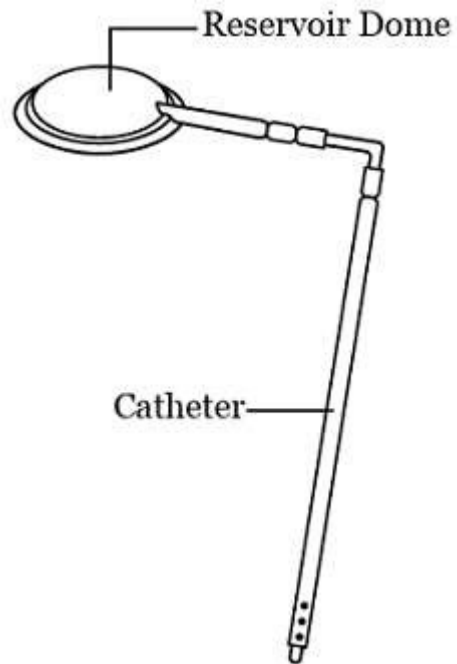


Рисунок 1. Резервуар Оммауа

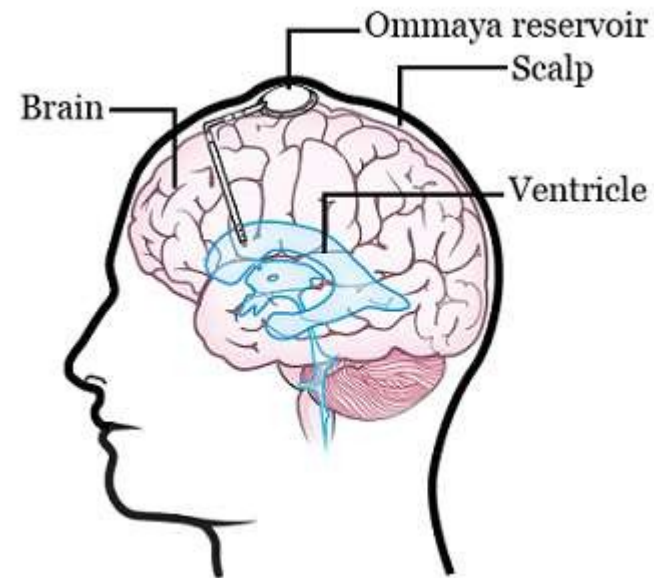


Рисунок 2. Установка резервуара Оммауа

## **Можно ли извлечь резервуар Оттауа?**

*Резервуар, как правило, не извлекается, если он не вызывает осложнений.*

## **Как ухаживать за резервуаром Оттауа?**

*Резервуар Оттауа не требует особого ухода. Вы можете мыть голову как обычно.*

## **Сколько времени занимает пункция?**

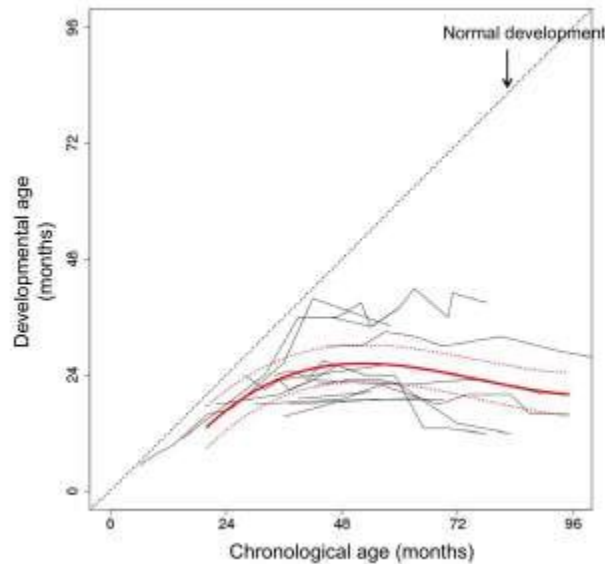
*Обычно пункция занимает около 15 минут.*

# Дизайн клинического исследования I/II фазы по эффективности и безопасности интравентрикулярного применения препарата Хантераза ICV у пациентов с МПС II

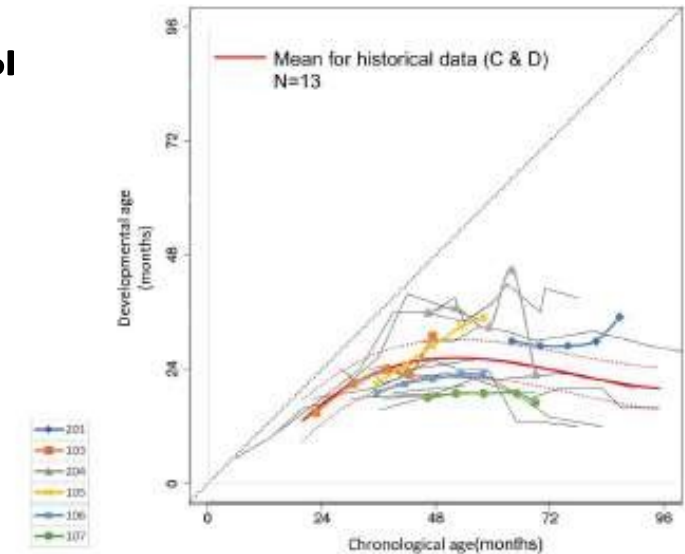
<b>Дизайн</b>	<b>Открытое исследование (без контрольной группы)</b>
<b>Участники</b>	<ul style="list-style-type: none"><li>• 6 пациентов (NCCHD: 4, OCUH: 2)</li><li>• от 2 до 6 лет</li><li>• диагностирован тяжелый МПС II</li><li>• еженедельно получали в/в идурсульфазу <math>\geq</math> 6 месяцев</li></ul>
<b>Лекарственный препарат</b>	Идурсульфаз- $\beta$
<b>Период</b>	июнь 2016 г. - март 2021 г.
<b>Первичная конечная точка</b>	Концентрация гепарансульфата в СМЖ
<b>Вторичная конечная точка</b>	Психологический возраст по Киотской шкале психологического развития (KSPD)



# Динамика развития когнитивных нарушений у пациентов с МПС II на фоне введения Идурсульфазы и Хантеразы ICV



**Внутривенное введение идурсульфазы не эффективно при когнитивном дефиците у пациентов с МПС II**



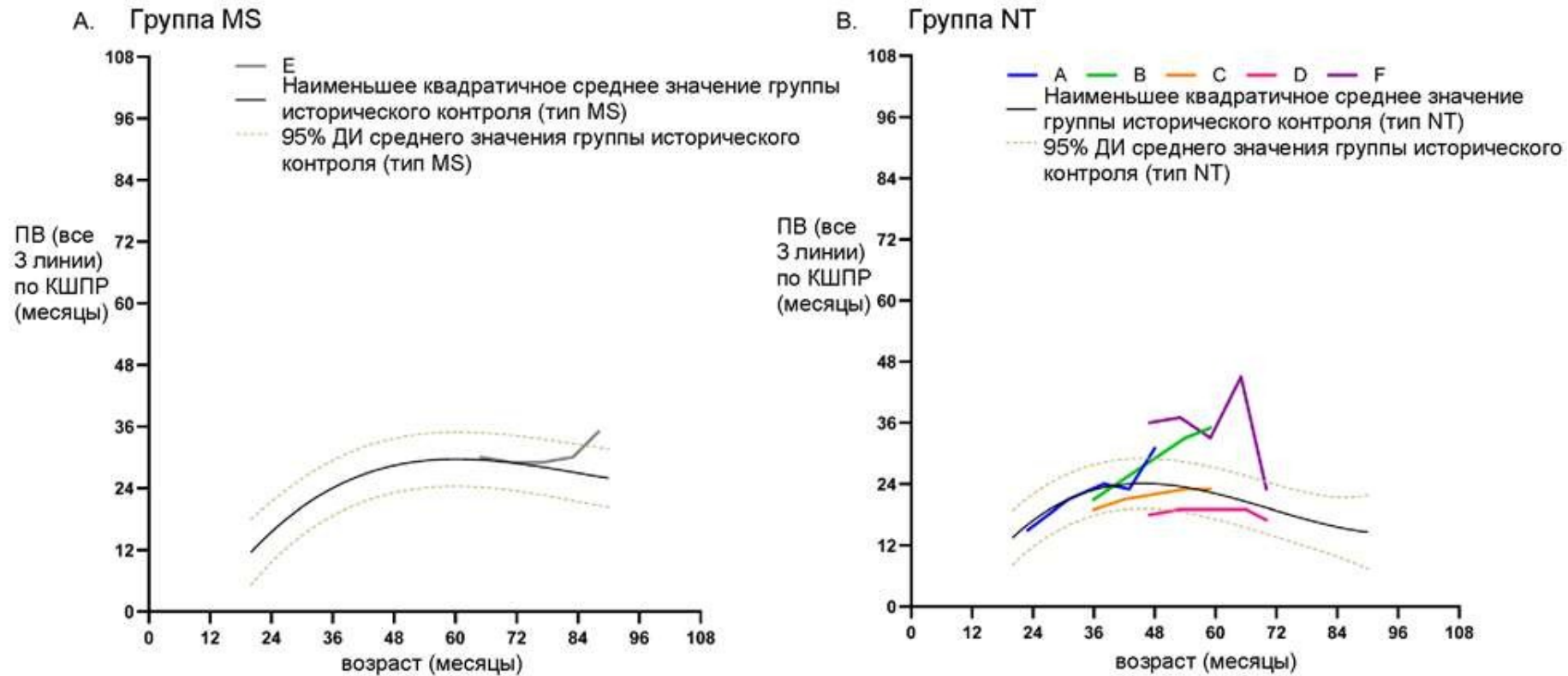
Данные клинического исследования влияния внутривенного введения идурсульфазы на когнитивные функции у пациентов с МПС II

- Отсутствие влияния внутривенного введения идурсульфазы на динамику психомоторного развития (останавливается в возрасте 3-4 лет)
- Регресс психомоторного развития в возрасте 4-5 лет

- У пациентов получавших лечение препаратом Хантеразы ICV наблюдалось среднее увеличение возраста развития на 7,8 мес.

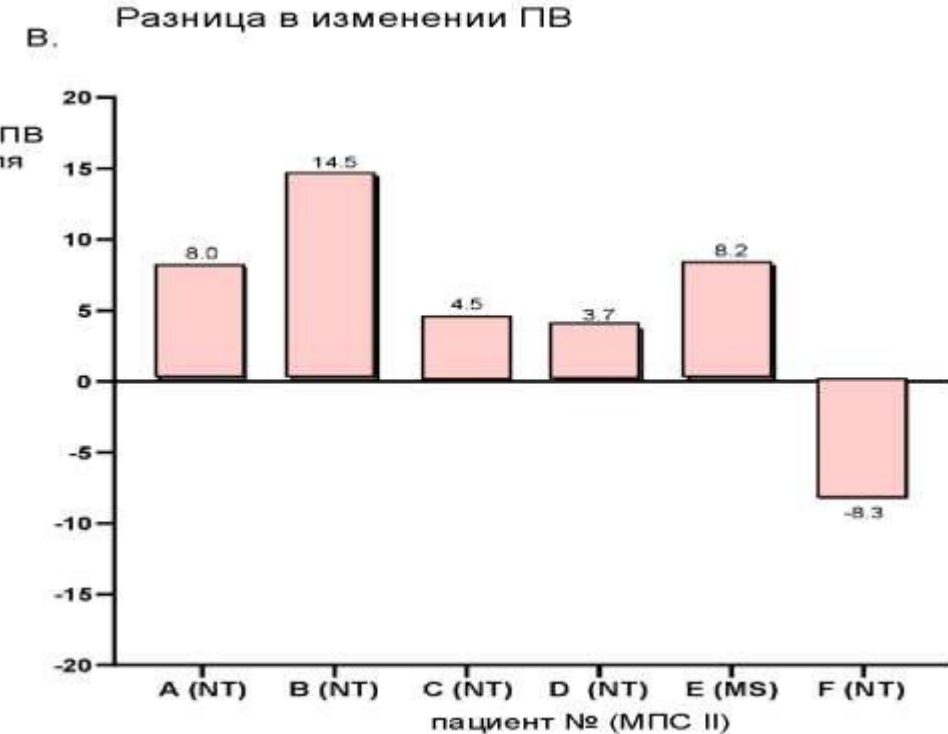
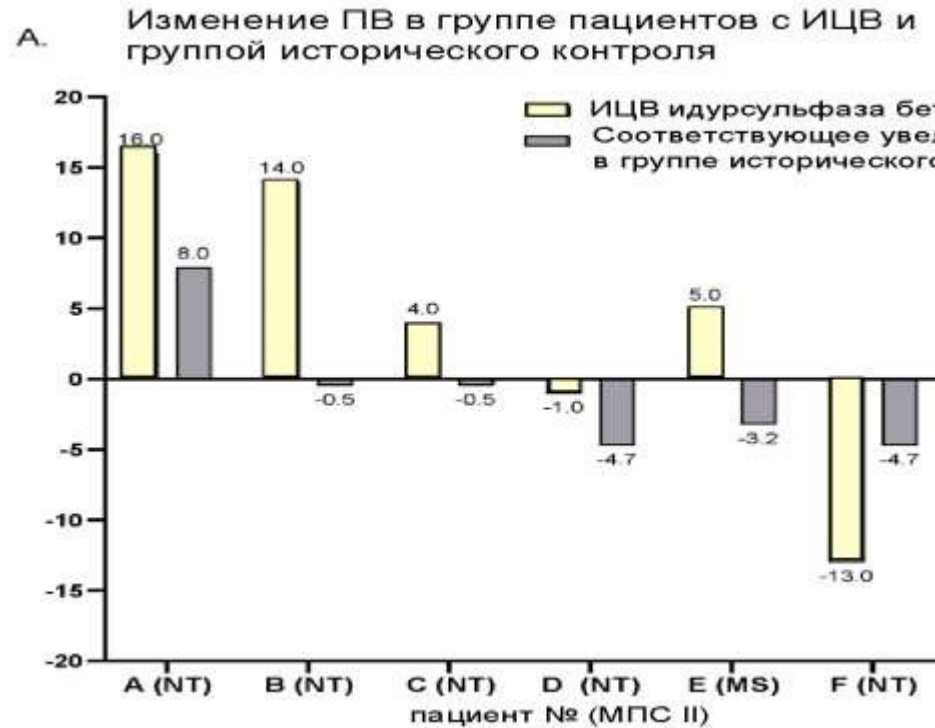


# Изменение психологического возраста у пациентов с МПС II на фоне введения Хантеразы ICV



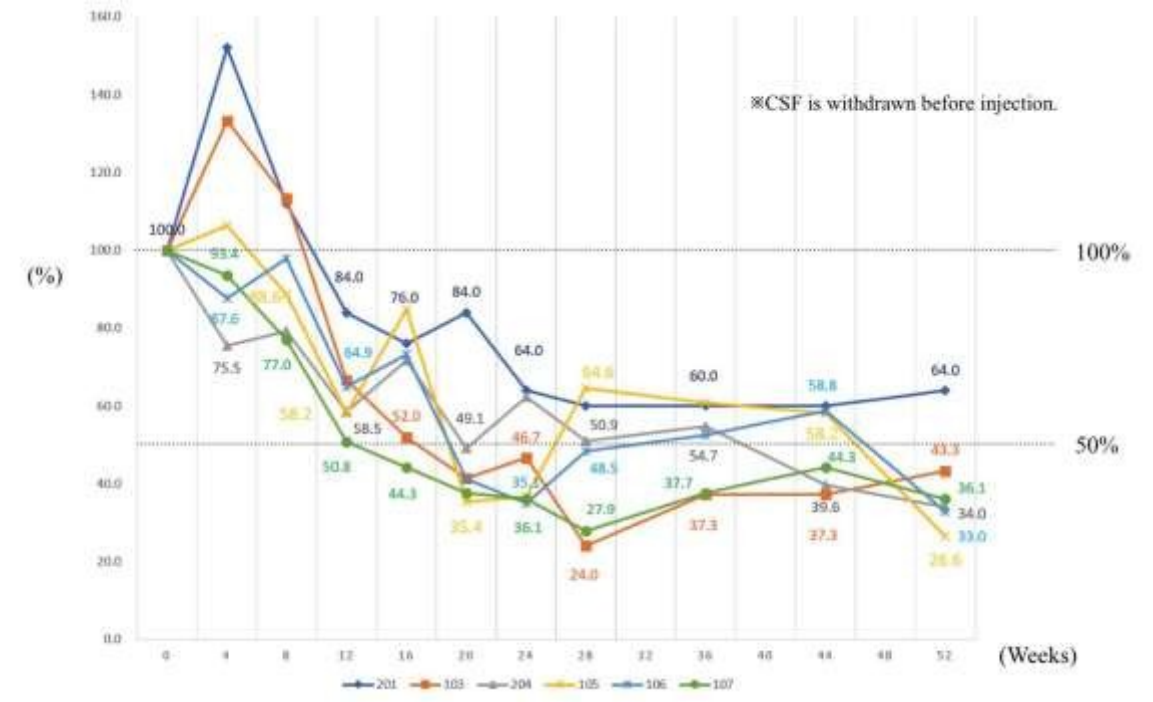
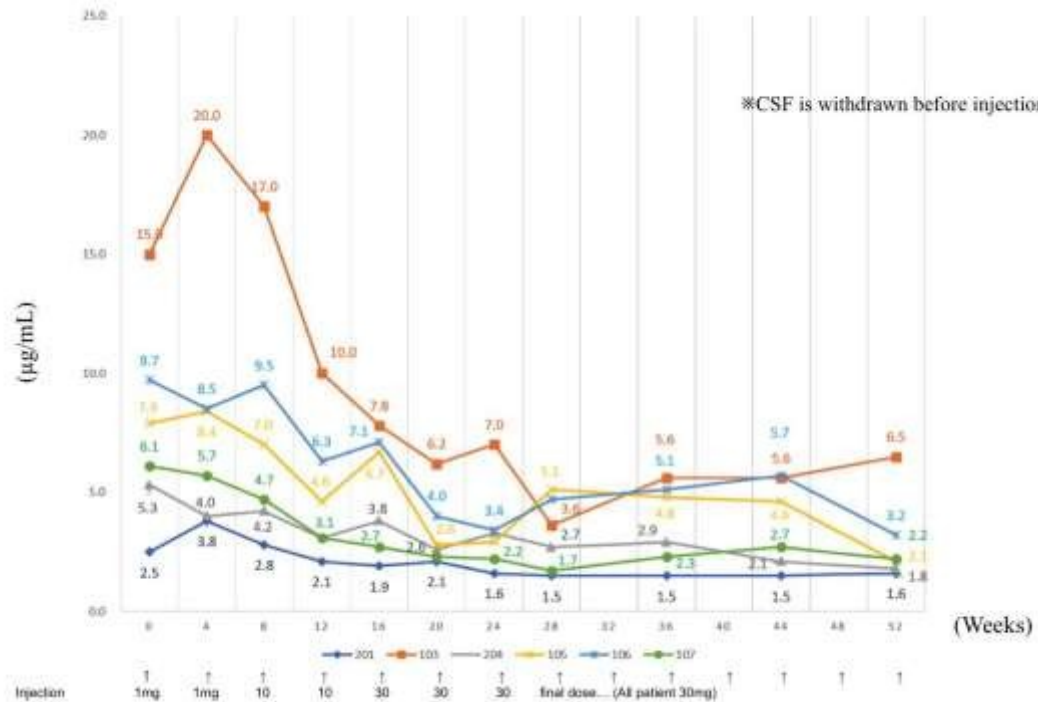
ПВ: психологический возраст, КШПР: Киотская шкала психологического развития 2001.

## Сравнение с группой исторического контроля (пациенты получавшие только Хантеразу IV)



ПВ: психологический возраст, ИЦВ: интрацеребровентрикулярное введение, КШПР: Киотская шкала психологического развития 2001.

# Динамика снижения гепаран сульфата в спинномозговой жидкости на фоне интравентрикулярного введения препарата Хантеразы ICV



*На фоне интравентрикулярного введения препарата Хантеразы ICV наблюдалось значительное снижение концентрации гепаран сульфата в СМЖ (50 - 80% от исходной концентрации) у всех пациентов.*

## Основные выводы по клиническому исследованию препарата Хантераза ICV (внутрижелудочковое введение лекарственного препарата)

- При интравентрикулярном введении препарата Хантераза ICV отсутствовали серьезные побочных эффекты, включая инфекцию головного мозга.
- На фоне введения Хантераза ICV, наблюдалось значительное снижение концентрации гепарансульфата у всех шести пациентов. Таким образом, была достигнута основная конечная точка.
- У пяти из шести включенных пациентов наблюдается положительный эффект от введения Хантеразы ICV.
- У пациентов получавших лечение препаратом Хантеразы ICV наблюдалось среднее увеличение возраста развития на 7,8 мес.
- Хантераза ICV, является безопасным и эффективным препаратом для предотвращения и стабилизации когнитивного дефицита у пациентов с МПС II

- **В чем разница между двумя формами Хантеразы?**

Hunterse IV	Hunterse ICV
1vial (3mL) contains,	1vial (1mL) contains,
· Idursulfase-beta ..... 6.0 mg	· Idursulfase-beta ..... 15.0 mg
· Monobasic Sodium Phosphate Monohydrate ..... 6.75 mg	· Sodium Chloride ..... 8.766 mg
· Dibasic Sodium Phosphate Heptahydrate ..... 2.97 mg	· Polysorbate 20 ..... 0.05mg
· Sodium Chloride ..... 24 mg	· Water for Injection ..... q.s.
· Polysorbate 20 ..... 0.66 mg	
· Water for Injection ..... q.s.	

- **Требуется ли регистрация новой формы или ее достаточно для внесения изменений?**

*Поскольку формулировка отличается, ICV следует зарегистрировать как новую форму.*

- **Требуется ли регистрация метода введения препарата Хантеразы ICV?**

*Для введения используется имплантируемый резервуар для спинномозговой жидкости следовательно, медицинское изделие (резервуар для спинномозговой жидкости) должно быть зарегистрировано / доступно в России*

- **Поставляется ли резервуар для спинномозговой жидкости с препаратом Хантеразы ICV или его необходимо приобретать отдельно?**

*Резервуар не поставляется вместе с препаратом Хантеразы ICV его нужно покупать отдельно.*

- **Примерная стоимость резервуара для спинномозговой жидкости и стоимость его установки?**

*Стоимость установки резервуара Оммая составляет 250 000 рублей (НМИЦ им. Дмитрия Рогачева)*

## Основные вопросы

- **Существуют ли ограничения по возрасту или состоянию для этого метода лечения?**

*Назначение Хантеразы ICV следует рассматривать для пациентов с МПС II, для которых необходимо улучшение симптомов со стороны центральной нервной системы, соответственно для этого лечения нет возрастных ограничений. Тем не менее, согласно инструкции, препарат Хантераза ICV следует вводить пациентам, которые получали идурсульфазу внутривенно, чтобы заранее подтвердить переносимость.*

- **Какая частота приема препарата Хантеразы ICV (еженедельно, ежемесячно?)**

*Препарат Хантеразы ICV 30 мг вводится интравентрикулярно каждые 4 недели.*

- **При введении препарата Хантеразы ICV требуется ли продолжать внутривенное введение препарата Хантеразы или достаточно только Хантеразы ICV?**

*Во время клинического испытания препарата Хантеразы ICV, внутривенно в дополнение вводили препарат Идурсульфазы. Препарат Идурсульфазы использовался внутривенно, потому, что препарат Хантеразы не зарегистрирован в Японии.*