

МИНИСТЕРСТВО ЗДРАВООХРАНЕНИЯ РОССИЙСКОЙ ФЕДЕРАЦИИ
ФЕДЕРАЛЬНОЕ ГОСУДАРСТВЕННОЕ БЮДЖЕТНОЕ ОБРАЗОВАТЕЛЬНОЕ УЧРЕЖДЕНИЕ
ВЫСШЕГО ОБРАЗОВАНИЯ

«РОССИЙСКИЙ НАЦИОНАЛЬНЫЙ ИССЛЕДОВАТЕЛЬСКИЙ МЕДИЦИНСКИЙ

УНИВЕРСИТЕТ ИМЕНИ Н.И. ПИРОГОВА»
ФГБОУ ВО РНИМУ им. Н.И. Пирогова Минздрава России)
имени академика Ю.Е. Вельтищева государственного
бюджетного образовательного учреждения
национальный исследовательский медицинский
университет имени Н.И. Пирогова» Министерства
здравоохранения Российской Федерации
Талдомская ул., д. 2, г. Москва, 125412

ОБОСОБЛЕННОЕ СТРУКТУРНОЕ ПОДРАЗДЕЛЕНИЕ -

НАУЧНО-ИССЛЕДОВАТЕЛЬСКИЙ КЛИНИЧЕСКИЙ ИНСТИТУТ ПЕДИАТРИИ
ИМ. АКАДЕМИКА Ю.Е.ВЕЛЬТИЩЕВА

№ 13/1

от 25.01.2018 г.

ПРОТОКОЛ КОНСИЛИУМА ВРАЧЕЙ

о назначении пациенту, не зарегистрированного на территории Российской Федерации, лекарственного препарата для индивидуального применения при оказании ему медицинской помощи по жизненным показаниям и необходимости ввоза данного лекарственного препарата

Консилиум врачей в составе:

Лечащий врач (секретарь) Шидловская О.А.

Заведующий отделением к.м.н. Артемьева С.Б.

Заведующий научным отделом д.м.н., профессор Белоусова Е.Д.

Врач-специалист к.м.н. Дорофеева М.Ю.

Врач-специалист к.м.н. Шулякова И.В.

Заместитель директора по лечебной работе, д.м.н., профессор: Ковалёв И.А.

Начальник отдела оказания медицинской помощи, к.м.н. Агапов Е.Г.

Дата, время и место проведения консилиума: 25.01.2018 12:00, Обособленное Структурное Подразделение -Научно-Исследовательский Клинический Институт Педиатрии Им. Академика Ю.Е.Вельтищева

Причина созыва консилиума: назначение лекарственного препарата, не зарегистрированного на территории Российской Федерации, лекарственного препарата для индивидуального применения при оказании ему медицинской помощи по жизненным показаниям и необходимости ввоза данного лекарственного препарата.

Данные о пациенте: Нижельский Даниил Александрович, 05.10.2011 г.р., место жительства Воронежская обл., г.Калач, ул.Привокзальная, д.137 кв.3, и.б. № 657/2018

Прилагается: копия паспорта или свидетельства о рождении пациента и согласие пациента или его законного представителя на прием данного препарата, заверенные Институтом (или в форме документа, подписанного электронной цифровой подписью – при необходимости).

Данные о состоянии пациента: Диагноз основной: Тяжелая миоклоническая эпилепсия младенчества. Синдром Драве. Осложнения: нарушение психоречевого развития. Дебют заболевания с 7 месяцев, когда впервые развился генерализованный тонико-клонический приступ во время сна (до 10 мин). После чего был назначен Депакин. На фоне терапии приступы повторялись при ОРВИ в том числе и без температуры с частотой 1 раз в 6 месяцев. С

2-х лет отмечается учащение до 1 раза в 2-3 месяца. В терапию был введен Топамакс - отмечалось выраженное возбуждение, впервые произошел эпилептический статус длительностью до 1 часа. При замене Топамакса на Кеппру, также отмечалось возрастание частоты приступов до 1 раза в неделю. При проведении генетической диагностики выявлена гетерозиготная мутация в гене SCN1A, ответственном за развитие синдрома Драве. С сентября 2014 г ребенку добавлен в терапию Клоназепам, приступы стали менее выраженные. При замене Кеппры на Стирипентол по 500 мг x 2 раза в сут. отмечается уменьшение частоты приступов и уменьшение их выраженности, ребенок стал менее возбудимым, несколько улучшился интеллект. В мае 2016 года доза Стирипентола увеличена до 750 мг x 2 раза в сут. прекратились приступы в бодрствовании, сократилась длительность и частота приступов во сне. Ребенок стал более устойчиво ходить, прекратилось слюнотечение, несколько улучшилось речевое развитие. На момент поступления у ребенка одиночные приступы во время сна в виде подергивания головы с двусторонними клониями в конечностях 1 раз в неделю и реже.

Обоснование назначения лекарственного препарата:

1. Критерии эффективности: **Диакомит (Stiripentol)** зарегистрирован как орфанный препарат Европейским агентством по лекарственным средствам (ЕМА) 5.12.2001г для его использования при тяжелой миоклонической эпилепсии младенчества, синдроме Драве. Негативные попытки применения препаратов других групп является прямым показанием к продолжению выбранной оптимальной комбинированной противосудорожной терапии, на которой достигнут наилучший результат в виде достижения клинической и электроэнцефалографической ремиссии: **Диакомит 1500 мг в сутки**. Попытки снижения дозы или отмены препаратов из этой комбинации приводили к рецидиву тяжелых эпилептических приступов.

Лекарственный препарат **Диакомит (Stiripentol)**, не зарегистрирован на территории Российской Федерации, но имеет Международную и Европейскую регистрации. Препарат **Диакомит (Stiripentol)** является эффективным средством для противосудорожной терапии больных с тяжелой прогрессирующей наследственной патологией (препарат 1-ой очереди выбора, аналогов в России нет). Препарат Диакомит (Стирипентол) (капсулы по «250 мг») выпускается BIOCDEX назначается больному из расчета 20 – 50 мг/кг массы тела в три приема ежедневно, длительно (на протяжении многих лет). О риске возникновения возможных побочных явлений родители проинформированы.

Доза для пациента Нижельского Даниила Александровича, 05.10.2011 г.р, составляет 1500 мг в сутки (58 мг/кг в сутки). Следовательно, ребенку нужно 186 капсул на 1 месяц приема, на 1 год – 2190 капсул. В связи с тем, что препарат **Диакомит (Stiripentol)** не зарегистрирован для применения на территории Российской Федерации, закупка препарата и лечение ребенка должны проводиться в соответствии с разрешением Росздравнадзора и правилам отпуска лекарств фирмой производителем **BIOCDEX**.

2. Критерии безопасности: Наиболее распространенные побочные эффекты **Диакомита (Stiripentol)** (развиваются более чем у 1 из 10 пациентов) являются анорексия, потеря веса, бессонница, сонливость, атаксия, гипотония и дистония. Противопоказаний к применению у данного пациента не выявлено. (Детская неврология»: Клинические рекомендации, Выпуск 1/под редакцией В.И.Гузевой. – М.: ООО «МК», 2014. – 328 стр.; В.И.Гузева и соавт. «Клинические рекомендации по диагностике и лечению эпилепсии у детей», с.265-327.// Chiron C. Stiripentol. Expert Opin Investig Drugs. 2005;14(7):905–911. // Long-term safety and efficacy of stiripentol for the treatment of Dravet syndrome: A multicenter, open-label study in Japan. Inoue Y1, Ohtsuka Y2; STP-1 Study Group. Epilepsy Res. 2015 Jul;113:90-7. doi: 10.1016/j.epilepsyres.2015.03.012. Epub 2015 Apr 6.).

ЗАКЛЮЧЕНИЕ КОНСИЛИУМА:

В соответствии с Постановлением Правительства РФ от 29.09.2010 г. №771 (ред. от 15.10.2014г.) «О порядке ввоза лекарственных средств для медицинского применения на территорию Российской Федерации» (вместе с «Правилами ввоза лекарственных средств для медицинского применения на территорию Российской Федерации») и Приказом Министерства здравоохранения и социального развития Российской Федерации от 9 августа 2005г. № 494 «О порядке применения лекарственных средств у больных по жизненным показаниям» Консилиум постановил: разрешить к индивидуальному ввозу и применению не зарегистрированный на территории Российской Федерации препарат **Диакомит (Stiripentol)** для оказания медицинской помощи пациенту по жизненным показаниям.

Расчет количества препарата: 1500 мг в сутки (53 мг/кг в сутки), 186 капсул на 1 месяц приема, на 1 год – 2190 капсул.

С содержанием заключения Консилиума ознакомлен и был проинформирован о данном лекарственном средстве, об ожидаемой эффективности предлагаемой терапии, о безопасности лекарственного средства, степени риска, а также о действиях в случае непредвиденных эффектов влияния лекарственного средства на состояние здоровья.

Нительская Ольга Константиновна

(Ф.И.О. и подпись пациента и/или его законного представителя)

ПОДПИСИ УЧАСТНИКОВ КОНСИЛИУМА:

Лечащий врач

[Подпись] Шидловская О.А.

Заведующий отделением

[Подпись] Артемьева С.Б.

Заведующий отделом

[Подпись] Белоусова Е.Д.

Врач-специалист

[Подпись] Дорощеева М.Ю.

Заместитель директора по лечебной работе

[Подпись] д.м.н. Ковалёв И.А.

Начальник отдела оказания медицинской помощи

[Подпись] к.м.н. Агапов Е.Г.

- в соответствии с требованиями приказа Министерства здравоохранения и социального развития Российской Федерации от 9 августа 2005г. № 494 «О порядке применения лекарственных средств у больных по жизненным показаниям» заместитель директора по лечебной работе имеет право подписи данного документа на основании доверенности № 190/1 от 01.12.2015.