

Новости эндокринологии

Терапия гиперфагии при синдроме Прадера-Вилли



В марте 2025 года в США зарегистрирован и разрешен к применению первый препарат для терапии гиперфагии у пациентов с синдромом Прадера-Вилли. В нашей заметке подробнее расскажем про этот препарат.

Новый препарат для лечения гиперфагии у пациентов с синдромом Прадера-Вилли.

Синдром Прадера-Вилли (СПВ) - редкое генетическое заболевание, характеризующееся гиперфагией, поведенческими проблемами, когнитивными нарушениями, снижением мышечного тонуса и рядом эндокринных проблем, как задержка роста, вторичный гипотиреоз, гипогонадизм и гипокортицизм.

В марте 2025 регулятор качества пищевых продуктов и лекарственных средств США (FDA) разрешил к применению новый препарат VUKAT XR. Это первый препарат, зарегистрированный для лечения гиперфагии именно у детей с синдромом Прадера-Вилли. Препарат представляет собой диазоксид холин. Диазоксид известен в эндокринологии как препарат для терапии врожденного гиперинсулинизма. Это форма диазоксид в виде таблеток с продленным высвобождением.

Точный механизм действия диазоксида холина у пациентов с СПВ не ясен, но считается, что препарат работает за счет активации чувствительных к аденозинтрифосфату калиевых каналов в гипоталамусе.

Эффективность ВУКАТ XR была установлена в ходе 3 фазы клинического исследования. Это 16-недельное двойное слепое плацебо-контролируемое рандомизированное исследование среди взрослых и детей старше 4 лет с СПВ.

Исследованию предшествовало другое, в котором пациенты получали диазоксида холин в течение 3,3 лет. В ходе же данного исследования, которое являлось продолжением первого, половине пациентов, уже получающих диазоксида холин, препарат был заменен на плацебо. В исследовании участвовало 77 пациентов с гиперфагией и СПВ, которые были рандомизированы в соотношении 1:1 по продолженному приему препарата и по переводу на плацебо.

Первичной конечной точкой эффективности было изменение общего балла от исходного уровня в опроснике по гиперфагии (HQ-CT), которое оценивалось на 16-й неделе терапии. Общий балл HQ-CT может варьироваться от 0 до 36, при этом более высокие баллы указывают на более тяжелое проявление гиперфагического поведения.

В конце 16-недельного периода исследования наблюдалось статистически значимое ухудшение гиперфагии в группе плацебо (которые ранее получали терапию и которым ее заменили на плацебо) по сравнению с группой, оставшейся на терапии. Изменение общего балла в группе диазоксида составило +2,6, а в группе плацебо +7,6.

Ранее было опубликовано исследование с 125 пациентами с СПВ, которым назначалась терапия диазоксида холином и изменения в балле гиперфагии составили в среднем -9,9 балла, а у пациентов с очень тяжелой гиперфагией (более 22 баллоу) положительные изменения были еще более выраженные.

В Европе и в России препарат пока не зарегистрирован.

Ссылки:

1. Miller JL et al. Diazoxide choline extended-release tablet in people with Prader-Willi syndrome: results from long-term open-label study. Obesity (Silver Spring). 2024 Feb;32(2):252-261.
2. URL:<https://investors.soleno.life/news-releases/news-release-details/soleno-therapeutics-announces-us-fda-approval-vykattm-xr-treat>
3. URL:https://www.accessdata.fda.gov/drugsatfda_docs/label/2025/216665s000lbl.pdf