

Отзыв на автореферат

диссертации Пономарева Родиона Викторовича на тему «Динамика лабораторных показателей, отражающих функциональную активность макрофагальной системы, у пациентов с болезнью Гоше I типа на фоне патогенетической терапии», представленной на соискание ученой степени кандидата медицинских наук по специальности 14.01.21 – гематология и переливание крови.

Современный подход к фермент-заместительной терапии (ФЗТ) болезни Гоше основан на оценке активности заболевания, коррекции дозы и режима терапии на основе индивидуального объема эндогенного субстрата и нормализации функционирования клеток моноцитарно-макрофагальной системы.

В работе Р.В. Пономарева выполнена важная задача – оценка различных показателей активности заболевания у пациентов с болезнью Гоше, в том числе при почти 16-ти летнем периоде клинического наблюдения, их динамики на фоне ФЗТ. То есть поставленная цель – изучение динамики и оценка клинической информативности лабораторных показателей, ассоциированных с функциональной активностью макрофагальной системы, у пациентов с болезнью Гоше I типа в процессе патогенетической терапии решена полностью.

Несмотря на то, что в исследование было включено 320 взрослых пациентов с болезнью Гоше I типа, полученные результаты могут транслироваться в педиатрическую практику, так как методики воспроизводимы. А поиск методов оценки эффективности терапии является залогом успеха последней. Представлена эпидемиологическая характеристика больных, установлена распространенность болезни Гоше в России, что позволяет прогнозировать рождение в РФ 4-5 больных с болезнью Гоше I типа, а с учетом младенческой формы (тип 2) итого больше.

Критерии клинико-лабораторной диагностики болезни Гоше, в том числе у детей, известны, но диссертантом дополнены новыми данными, не усложняющими диагностику, а уточняющими степень тяжести и соответственно позволяющими оценивать эффективность ФЗТ. Установлено, что на фоне заместительной

ферментной терапии наблюдается постепенное повышение концентрации триглицеридов и холестерина, которое происходит синхронно со снижением индекса активности болезни Гоше. Показано, что гиперферритинемия и гипергаммаглобулинемия класса А постепенно регрессируют на фоне патогенетической терапии. Выявлена достоверная прямая связь между показателями сывороточного ферритина и иммуноглобулинов класса А с одной стороны, и индексом активности болезни Гоше, с другой. Кроме того, на основании полученных данных предложена унифицированная (маркерами поражения макрофагальной системы) балльная система определения активности болезни Гоше.

Установлена частота продукции антител к препарату имиглюцеразы, которая составила 6,5 %, что следует иметь в виду при недостаточной эффективности ФЗТ, но с экономической точки зрения определение антител не является обязательным. Показанием является отсроченная резистентность к ФЗТ.

Выводы в работе обоснованы. Статистическая обработка материала выполнена на современном уровне, диссертация иллюстрирована достаточно полно. Материалы диссертации представлены в 9 научных работах, из них 6 - в журналах, одобренных ВАК. Результаты доложены на Всероссийских, международных конференциях и конгрессах.

Практическая значимость работы не вызывает сомнений, полученные данные могут быть использованы для оценки эффективности заместительной ферментной у пациентов с болезнью Гоше, как у взрослых, так и у детей.

Автореферат диссертационной работы написан хорошим научным языком, имеет стандартное оформление. Последовательная подача результатов и наличие иллюстрированного материала в виде рисунков и таблиц, позволяет высоко оценить выполненную научно-исследовательскую работу. Принципиальных замечаний по автореферату не отмечено.

Таким образом, по актуальности, объему, уровню проведенных исследований и значимости полученных результатов диссертационная работа Р.В. Пономарева полностью соответствует п.9 «Положения о порядке присуждения

ученых степеней», утвержденного Постановлением Правительства РФ №842 от 2 сентября 2013 года (в редакции постановлений Правительства РФ №335 от 2 апреля 2016 года, №748 от 02 августа 2016 года, №650 от 29 мая 2017 года, №102 от 28 августа 2017 года и №1168 от 01 октября 2018 года «О внесении изменений в Положение о присуждении ученых степеней»), предъявляемым к диссертациям на соискание ученой степени кандидата наук, а ее автор, Пономарев Родион Викторович, заслуживает искомой ученой степени кандидата медицинских наук по специальности 14.01.21 – гематология и переливание крови.

Профессор кафедры госпитальной педиатрии

им. академика В.А. Таболина

ФГАОУ ВО РНИМУ им. Н.И. Пирогова

Минздрава России,

доктор медицинских наук

Полякова Светлана Игоревна

«18» 11 2020 г.

Федеральное государственное автономное образовательное учреждение высшего образования "Российский национальный исследовательский медицинский университет имени Н.И. Пирогова" Министерства здравоохранения Российской Федерации.

Адрес: 117997, г. Москва, ул. Островитянова, дом 1

Адрес электронной почты: rsmu@rsmu.ru

Телефон: +7 (495) 434-03-29, +7 (495) 434-61-29

