

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.

Заместительная ферментная терапия (ЗФТ) болезни Гоше позволяет добиться регресса основных проявлений заболевания и предотвратить развитие необратимого поражения костно-суставной системы. Основой индивидуального подхода к заместительной ферментной терапии является оценка активности заболевания на фоне лечения и коррекция дозы и режима терапии по мере восстановления нормального функционирования клеток моноцитарно-макрофагальной системы. В связи с этим, изучение динамики биомаркеров – лабораторных показателей, отражающих степень нарушения функции макрофагов при болезни Гоше, является актуальной научной и практической задачей.

Цель исследования – 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.

В исследование включено 320 взрослых пациентов с болезнью Гоше I типа. Представлена эпидемиологическая характеристика больных, рассчитана распространенность болезни Гоше в России. До начала ЗФТ были изучены лабораторные показатели, ассоциированные с активностью макрофагальной системы, включающие: концентрацию гемоглобина, количество тромбоцитов и лейкоцитов, концентрацию холестерина, триглицеридов, ферритина и иммуноглобулинов сыворотки крови. Установлены типичные для болезни Гоше лабораторные изменения: 1-3 ростковая цитопения, гиперферритинемия, гипохолестеринемия и поликлональная гипергаммаглобулинемия. Изучена динамика лабораторных показателей, ассоциированных с активностью

макрофагальной системы, на фоне патогенетической терапии. Показано, 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. Установлена частота продукции антилекарственных антител к имиглуцеразе, которая составила 6,5 %.

Выводы в работе обоснованы данными, полученными в результате исследования. Материалы диссертации представлены в 9 научных работах, из них 6 - в журналах, одобренных ВАК.

Практическая значимость работы не вызывает сомнений, полученные данные могут быть использованы для оценки эффективности заместительной ферментной терапии у пациентов с болезнью Гоше.

Достаточный объем материала и примененные автором методы исследования обеспечивают репрезентативность полученных результатов. Статистический анализ проведен с использованием современных методик. Таким образом, достоверность полученных данных и сделанных на основании этого выводов не вызывает сомнений. Положения, выносимые на защиту, обоснованы и сформулированы четко. Материалы автореферата изложены в соответствии с общепринятыми требованиями. Автореферат отражает основные положения диссертации и содержит необходимых для понимания сути работы иллюстративный материал. Принципиальных замечаний по автореферату нет.

Таким образом, по актуальности, объему, уровню проведенных исследований и значимости полученных результатов диссертационная работа полностью соответствует п.9 «Положения о порядке присуждения ученых степеней», утвержденного Постановлением Правительства РФ №842 от 24 сентября 2013 года (в редакции постановлений Правительства РФ №335 от 21 апреля 2016 года, №748 от 02 августа 2016 года, №650 от 29 мая 2017 года, №1024

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.

Начальник Центра фундаментальных исследований в педиатрии,
заведующий лабораторией молекулярной генетики и медицинской геномики,
ФГАУ «НМИЦ здоровья детей» МЗ РФ,
кандидат биологических наук



Савостьянов Кирилл Викторович

« 19 » ноября 2020 г.

Федеральное государственное автономное учреждение "Национальный медицинский исследовательский центр здоровья детей" Министерства здравоохранения Российской Федерации.

Адрес: 119991, г. Москва, Ломоносовский проспект, 2, стр. 1.

Адрес электронной почты: info@nczd.ru

Телефон: (499) 134-04-08

Подпись Савостьянова К.В. заверяю.



Руководитель службы по управлению персоналом
Широкова Т.В. *19.11.2020*