

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) является современным стандартом лечения болезни Гоше. Оценка эффективности ЗФТ базируется на анализе клинических, лабораторных и инструментальных данных, отражающих объем накопленного субстрата и степень нарушения функции клеток моноцитарно-макрофагальной системы. На фоне ферментной терапии происходит постепенное уменьшение объема субстрата и восстановление нормального функционирования макрофагов, при этом стандартные параметры оценки эффективности ЗФТ (показатели гемограммы, размеры селезенки, степень специфической инфильтрации костного мозга) достаточно «ригидны» и реагируют на изменение режима терапии с опозданием в несколько месяцев. В связи с этим, изучение клинической информативности различных биологических молекул, предоставляющих дополнительную информацию о степени нарушения макрофагальной функции при болезни Гоше, является актуальной задачей.

Целью исследования являлось 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. Дана эпидемиологическая характеристика пациентов с болезнью Гоше, установлена распространенность болезни Гоше в России. Разработана шкала оценки активности болезни Гоше и введено понятие индекса активности болезни Гоше - показателя, отражающего наличие и степень тяжести основных проявлений болезни Гоше: цитопении, органомегалии и поражения костно-суставной системы. С помощью использования индекса активности болезни Гоше проведена количественная оценка эффективности заместительной ферментной терапии.

Исследованы лабораторные показатели, ассоциированные с активностью макрофагальной системы, у пациентов с болезнью Гоше до начала патогенетической терапии. Установлено, что характерными для болезни Гоше лабораторными изменениями являются: 1-3 ростковая цитопения, гиперферритинемия, гипохолестеринемия и поликлональная гипергаммаглобулинемия.

Изучена динамика лабораторных показателей, ассоциированных с активностью макрофагальной системы, на фоне патогенетической терапии. Продемонстрировано, что на фоне патогенетической терапии наблюдается постепенное повышение концентрации триглицеридов и холестерина, а также постепенный регресс гиперферритинемии и гипергаммаглобулинемии класса А. Установлена достоверная взаимосвязь между динамикой показателей холестерина, триглицеридов, ферритина и иммуноглобулинов класса А с одной стороны, и динамикой индекса активности болезни Гоше, с другой.

Проведен анализ частоты сероконверсии у пациентов, длительно получающих заместительную ферментную терапию имиглуцеразой. В российской популяции частота продукции антител к имиглуцеразе составила 6,5 %.

Автореферат диссертационной работы написан хорошим литературным языком. Материалы автореферата изложены в соответствии с общепринятыми требованиями. Автореферат отражает основные положения диссертации и содержит необходимый для понимания сути иллюстративный материал. Принципиальных замечаний по автореферату нет. Практическая значимость работы не вызывает сомнений, полученные данные могут быть использованы для оценки эффективности заместительной ферментной у пациентов с болезнью Гоше.

По теме диссертации опубликовано 9 научных работ, из них 6 - в журналах, одобренных ВАК.

Заключение

Диссертация Пономарева Родиона Викторовича на тему «Динамика лабораторных показателей, отражающих функциональную активность макрофагальной системы, у пациентов с болезнью Гоше I типа на фоне патогенетической терапии», выполненная под руководством профессора Лукиной Елены Алексеевны является законченной научно-квалификационной работой, выполненной на высоком научном и методическом уровне. Актуальность, научная новизна и практическая ценность работы бесспорны.

Таким образом, диссертационная работа полностью соответствует требованиям пункта 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.

Заведующая гематологическим отделением

ГБУЗ МКНЦ имени А.С. Логинова ДЗМ,

старший научный сотрудник отдела

онкогематологии и вторичных

иммунодефицитных заболеваний,

кандидат медицинских наук

Дудина Галина Анатольевна

« ____ » _____ 2020 г.

Государственное бюджетное учреждение здравоохранения города Москвы «Московский клинический научно-практический центр имени А.С. Логинова Департамента здравоохранения города Москвы»

Адрес: 111123, г. Москва, шоссе Энтузиастов, 86, стр.6

Телефон: 8 (495) 304-30-39

электронная почта: info@mknc.ru

<https://www.mknc.ru>

Подпись к.м.н. Дудиной Г.А. заверяю

Ученый секретарь

ГБУЗ МКНЦ имени А.С. Логинова ДЗМ,

к.м.н.



Косачева Т.А.