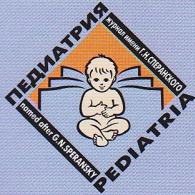


ISSN 0031-403x (Print)
ISSN 1990-2182 (Online)

ПРИЛОЖЕНИЕ



*к журналу Педиатрия
Журнал имени Г.Н. Сперанского*

МЕТОДИЧЕСКИЕ РЕКОМЕНДАЦИИ

ПРОГРЕССИРУЮЩАЯ МЫШЕЧНАЯ ДИСТРОФИЯ ДЮШЕННА
ПРОГРЕССИРУЮЩАЯ МЫШЕЧНАЯ ДИСТРОФИЯ БЕККЕРА
РАННЯЯ ДИАГНОСТИКА
ТЕРАПИЯ НЕ ЗАРЕГИСТРИРОВАННЫМИ НА ТЕРРИТОРИИ
РОССИЙСКОЙ ФЕДЕРАЦИИ ЛЕКАРСТВЕННЫМИ ПРЕПАРАТАМИ

2023/Том 102/№6



18+

ОГЛАВЛЕНИЕ

| | |
|---|----|
| Список сокращений | 5 |
| Термины и определения | 6 |
| 1. Краткая информация по заболеванию или состоянию (группе заболеваний или состояний)..... | 7 |
| 1.1. Определение заболевания или состояния (группы заболеваний или состояний)..... | 7 |
| 1.2. Этиология и патогенез заболевания или состояния (группы заболеваний или состояний) | 8 |
| 1.3. Эпидемиология заболевания или состояния (группы заболеваний или состояний)..... | 7 |
| 1.4. Особенности кодирования заболевания или состояния (группы заболеваний или состояний) | |
| по Международной статистической классификации болезней и проблем, связанных со здоровьем | 7 |
| 1.5. Классификация заболевания или состояния (группы заболеваний или состояний) | 7 |
| 1.6. Клиническая картина заболевания или состояния (группы заболеваний или состояний)..... | 8 |
| 2. Диагностика заболевания или состояния (группы заболеваний или состояний), | |
| медицинские показания и противопоказания к применению методов диагностики | 9 |
| 2.1. Лабораторные диагностические исследования | 9 |
| 2.2. Дифференциальная диагностика МДД | 10 |
| 3. Не зарегистрированная лекарственная терапия, включая медицинские показания | |
| и противопоказания к применению методов лечения | 11 |
| 3.1. Глюкокортикостероиды | 13 |
| 3.1.1. Дефлазакорт | 13 |
| 3.1.2. Ваморолон (Агамри®)..... | 16 |
| 3.2. Медикаментозная профилактика и терапия остеопороза..... | 17 |
| 3.2.1. Кальцидиол | 17 |
| 3.2.2. Бисфосфонаты..... | 18 |
| 3.3. Генотерапия | 20 |
| 3.3.1. Препараты для пропуска экзонов..... | 20 |
| 3.3.1.1. Казимерсен (Амондис®) – пропуск экзона 45 | 21 |
| 3.3.1.2. Голодирсен (Экзондис®) – пропуск экзона 51 | 22 |
| 3.3.1.3. Пропуск экзона 53 | 23 |
| 3.3.1.3.1. Голодирсен (Виондис®)..... | 23 |
| 3.3.1.3.2. Вилтоларсен (Вилтепсо®)..... | 24 |
| 3.3.2. Показания для назначения препаратов для пропуска экзонов | 26 |
| 3.3.3. Генотерапия – Деландистроген моксепарвовек-рокл (Элевидис®) | 27 |
| 4. Дополнительная информация (в том числе факторы, влияющие на исход заболевания или состояния) ... | 29 |
| 5. Список литературы | 29 |
| Приложение 1. Состав рабочей группы по разработке и пересмотру методических рекомендаций..... | 34 |
| Приложение 2. Методология разработки методических рекомендаций | 37 |
| Приложение 3. Справочные материалы, включая соответствие показаний к применению | |
| и противопоказаний, способов применения и доз лекарственных препаратов, | |
| инструкции по применению лекарственного препарата | 38 |
| Приложение 4. Алгоритмы действий врача для диагностики, ведения и лечения больных с МДД | 39 |