

Физическое развитие и нутритивный статус детей с муковисцидозом в зависимости от выбранной терапии (пилотное исследование)

Перевалова Анастасия Сергеевна, Карелов Дмитрий Алексеевич, Наumenко Маргарита Алексеевна, Гоголев Андрей Викторович

Научный руководитель: д.м.н., профессор Завьялова Анна Никитична
ФГБОУ ВО СПбГПМУ Минздрава России, Санкт-Петербург

Актуальность. Исторически наследственное заболевание с поражением экзокринных желез муковисцидоз (МВ) способствовало задержке роста и дефициту массы тела. Нутритивная поддержка несколько улучшила показатели физического развития. Таргетная терапия, направленная на коррекцию мутантного белка, трансмембранного регулятора муковисцидоза (CFTR), явилась революционным достижением в лечении МВ. Однако в литературе почти не встречается данных влияния таргетной терапии на физическое развитие детей с МВ.

Цель исследования. Изучить влияние таргетной терапии на рост и индекс массы тела (ИМТ) детей с МВ.

Пациенты и методы. В ретроспективном двухцентровом исследовании изучено физическое развитие 46 человек (21 мальчик и 25 девочек) в возрасте от 3 до 17 лет (средний возраст — $11,33 \pm 4,61$) с генетически подтвержденным диагнозом «муковисцидоз», наблюдавшихся в клиниках в период с 2009 по 2024 г. Критерии включения: возраст до 18 лет, выявленная мутация гена *CFTR* при генотипировании, лечение в соответствии с клиническими рекомендациями (КР). Полученная выборка была разделена на 2 подгруппы: в одной из них пациенты находились на таргетной терапии ($n = 25$), в другой — нет ($n = 21$); обе группы детей получали нутритивную поддержку и терапию согласно КР. Нормальность распределения подгрупп оценивалась по тесту Шапиро – Уилка. Для оценки p -уровня значимости использовался t -критерий Стьюдента для независимых выборок.

Результаты. В подгруппе пациентов, находящихся на таргетной терапии, состоящей из 13 девочек и 12 мальчиков, z -score роста и ИМТ составил $-1,21 \pm 1,33$ (95% доверительный интервал (ДИ): 1,04–1,85) и $-0,27 \pm 1,39$ (95% ДИ: 1,08–1,93) соответственно. У 12 девочек и 9 мальчиков, не находящихся на таргетной терапии, z -рост равнялся $-0,08 \pm 0,99$ (95% ДИ: 0,76–1,46), а z -ИМТ оказался равен $-0,66 \pm 1,17$ (95% ДИ: 0,89–1,7). Распределение в обеих подгруппах было близко к нормальному (Ш–У; $p > 0,05$). Была выдвинута нулевая гипотеза: применение таргетной терапии никак не влияет на z -рост и z -ИМТ пациентов. T -критерий Стьюдента для независимых выборок показал, что достаточных обоснований для отклонения для z -ИМТ у нас нет ($p = 0,32$). Однако у пациентов, стартовавших с таргетной терапией, z -роста был ниже ($p = 0,003$) и кривая роста смещена влево от средних показателей, чем у детей без нее, в то время как z -ИМТ у обеих подгрупп оказался на примерно одинаковом уровне.

Заключение. 1. Таргетная терапия, принимаемая в течение 6 мес, не влияет на ИМТ. 2. Рост пациентов, находящихся на таргетной терапии, ниже, чем пациентов без нее, является случайной находкой и требует анализа пищевых дневников пациентов. 3. Данное исследование является пилотным, и его результаты могут быть использованы при планировании дальнейших исследований.