

## ОТЗЫВ

**Кандидата медицинских наук Роппельт Анны Артуровны на автореферат диссертационной работы Огневой Анны Леонидовны на тему "Оценка эффективности применения агонистов рецептора тромбопоэтина в лечении геморрагических проявлений синдрома Вискотта-Олдрича у детей", представленной на соискание ученой степени кандидата медицинских наук по специальностям 3.1.21. Педиатрия, 3.2.7. Иммунология.**

Синдром Вискотта-Олдрича (Wiskott-Aldrich syndrome, WAS) – X-сцепленный первичный иммунодефицит, основным и самым частым симптомом которого является геморрагический синдром на фоне глубокой тромбоцитопении. С точки зрения понимания биологии патологического процесса, тромбоцитопения при WAS остается одной из сложных и нерешенных проблем в иммунологии. За последние годы значительно расширилось понимание процессов, лежащих в основе патогенеза тромбоцитопении при WAS, однако методы консервативной терапии, направленные на ее коррекцию не оптимизированы.

Диссертационная работа Огневой Анны Леонидовны посвящена оценке эффективности и безопасности агонистов рецептора тромбопоэтина (аТПО-р) для лечения геморрагических проявлений и коррекции тромбоцитопении при WAS - потенциально новому подходу к лечению пациентов с данным синдромом. Актуальность исследования продиктована крайней немногочисленностью сообщений по данной теме в литературе. На основании достаточных по объему данных: ретроспективного и проспективного исследований впервые в мире на репрезентативной группе детей с WAS (92 пациента с WAS) доказана эффективность и безопасность применения аТПО-р, а также продемонстрировано, что вероятность достижения ответа на аТПО-р у пациентов с более легким фенотипом заболевания (менее 4 баллов по модифицированной шкале) и миссенс вариантами гена *WAS* выше, чем у больных с классическим WAS (более 4 баллов по модифицированной шкале) и остальными типами генетических дефектов. Для пациентов с WAS, не достигших адекватного тромбоцитарного ответа, в cross-over исследовании показана эффективность конверсии терапии на альтернативный аТПО-р. Полученные доказательные результаты позволили сформулировать выводы и практические рекомендации, необходимые и актуальные для использования в отечественной практике врачей-педиатров, иммунологов, гематологов.


Задачи исследования полностью соответствуют поставленной цели и сформулированы в полном объеме. Проведенный анализ и статистическая обработка полученных результатов проведены автором на достаточном методическом уровне, что позволило сделать важные и актуальные выводы и дать рекомендации для практического здравоохранения.

Автореферат хорошо структурирован, выполнен в соответствии с общепринятыми требованиями Высшей аттестационной комиссии, полностью отражает основные положения диссертации и содержит необходимый иллюстративный материал. Замечаний к автореферату нет.

По теме диссертации автором опубликовано 10 печатных работ в журналах, рекомендованных в Перечне ВАК Министерства образования и науки РФ и входящих в международную базу данных и систем цитирования Scopus. Также автором получен патент на изобретение №2784361: «Способ коррекции тромбоцитопении у детей с синдромом Вискотта-Олдрича».

Таким образом, диссертационная работа на соискание ученой степени кандидата медицинских наук является завершённой научно-квалификационной работой, в которой автор решил важную научную задачу в области иммунологии и педиатрии, что полностью соответствует требованиям, предъявляемым к диссертационным работам, а ее автор заслуживает присуждения искомой ученой степени по специальностям 3.1.21. Педиатрия, 3.2.7. Иммунология.

Врач аллерголог-иммунолог  
ГБУЗ "ГКБ №52 ДЗМ",  
кандидат медицинских наук



Ропельт Анна Артуровна

« 8 » ноября 2023

Подпись к.м.н. Ропельт А.А. удостоверяю  
Главный врач, доктор медицинских наук



Лысенко Марьяна Анатольевна

Адрес организации:  
123182, Российская Федерация, г. Москва, ул. Пехотная, д. 3  
ГБУЗ "ГКБ №52 ДЗМ"  
Сайт: <https://www.52gkb.ru>  
Тел: +7 495 870 36 07