

**НАУКА –
ДЕТЯМ**

ИЗЛЕЧЕНИЕ ДЕТСКОГО РАКА – ВОПРОС ВРЕМЕНИ

Эндаумент-фонд «Наука – детям» создан по инициативе руководителей и ученых НМИЦ ДГОИ им. Дмитрия Рогачева для поддержки ведущих российских проектов и исследований в области детской гематологии, онкологии и иммунологии

Миссия организации:

Обеспечить устойчивое финансирование научных и клинических исследований, включая мультицентровые, проводимые на базе ФГБУ «НМИЦ ДГОИ им. Дмитрия Рогачева» – лидера направления в области лечения детских онкологических, иммунологических и гематологических заболеваний

Задачи:

- ✓ Поддержка и развитие прорывных, инновационных методов и технологий лечения детского рака и других тяжелых болезней
- ✓ Создание и проведение мультицентровых исследований
- ✓ Создание новых протоколов лечения
- ✓ Трансляция инновационных методов диагностики и лечения на территории России
- ✓ Участие и/или организация конференций, семинаров, тренингов, встреч по обмену опытом
- ✓ Осуществление просветительской деятельности

Регионы работы организации: все регионы РФ (мультицентровые исследования)

Команда Фонда:

- исполнительный директор - Стешина Наталья
- pr- менеджер - Ракова Мария
- директор по развитию - Маркович Анастасия
- менеджер проектов - Светлицкая Александра
- менеджер проектов - Кошев Михаил
- менеджер по коммуникациям - Можаяева Ирина
- юрист - Келин Дмитрий
- бухгалтер - Манаева Елена
- менеджер по целевому капиталу - Соколов Дмитрий

Полное наименование	Фонд поддержки и развития в области детской гематологии, онкологии и иммунологии «НАУКА – ДЕТЯМ»
Сокращенное наименование	Фонд «НАУКА – ДЕТЯМ»
Место нахождения:	117513, г. Москва, Ленинский проспект, 137 корпус 1, комната 2А
Почтовый адрес:	117997, г. Москва, ул. Саморы Машела, д. 1
ИНН/КПП	7709445612/772801001
ОГРН	1147700000062
ОКАТО	45286555000
ОКПО	18229097
Расчетный счет	40703810638000004953
Банк	ПАО Сбербанк России
К/с	30101810400000000225
БИК	044525225
Исполнительный директор	Стешина Наталья Алексеевна
Тел./факс	+7 (495) 287 65 70, доб. 5546

Сайт: <http://vind-fnkc.ru/>

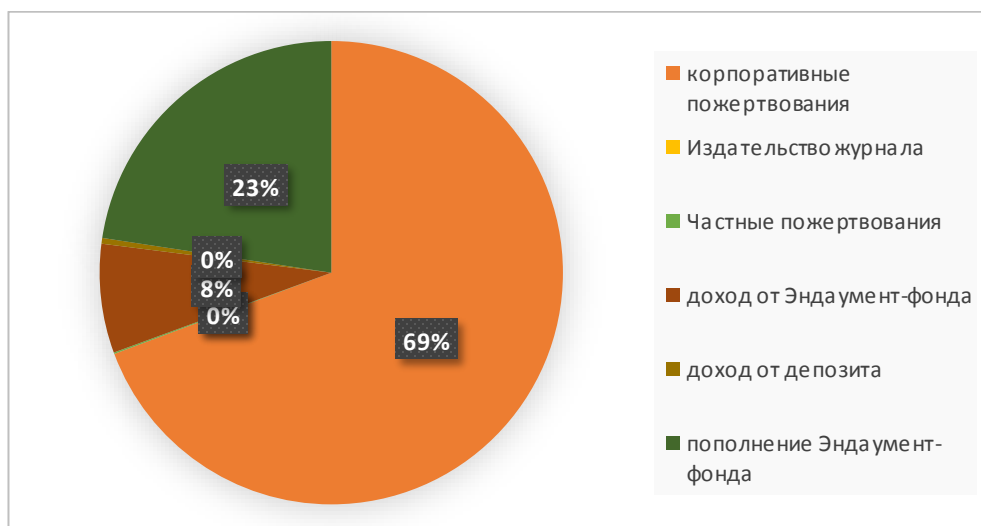
Финансы

ФОНДА "НАУКА-ДЕТЯМ" за 2019 год, руб.

Поступило на счета 486 813 318

Структура источников финансирования

корпоративные пожертвования	337 310 676	руб	69,3	%	Основные жертвователи: ПАО «Газпром», «Газпромбанк», Группа компаний «Евраз», ООО "ФинансБизнесГрупп"
Издательство журнала	177 908	руб	0,0	%	
Частные пожертвования	553 241	руб	0,1	%	от 500 до 200 тысяч рублей — минимальный и максимальный взнос.
Доход от Эндаумент-фонда	37 035 000	руб	7,6	%	
доход от депозита	1 726 993	руб	0,4	%	
пополнение Эндаумент-фонда	110 009 500	руб	22,6	%	основными жертвователями являются ПАО "Газпром", Банк ВТБ и «Газпромбанк». Особенно Фонд гордится тем, что среди физических лиц-жертвователей есть такие, у которых настроен автоматический ежемесячный платеж



Потрачено на научные программы

№ п/п	Наименование программ	суммы расходов
1	Разработка инновационных подходов в терапии приобретенной апластической анемии у детей в России	35 528 881
2	Молекулярно-генетическая диагностика первичных иммунодефицитных состояний (ПИДС)	8 766 268
3	Улучшение результатов терапии злокачественных лимфом у детей с помощью современных методов геномной диагностики	6 290 617
4	Инновационные протоколы лечения острых миелобластных лейкозов у детей	41 119 642
5	Молекулярная диагностика в детской нейроонкологии и жидкостные биопсии	7 961 611
6	Исследование механизмов дисфункции тромбоцитов и прогностических маркеров при иммунной тромбоцитопении у детей	22 146 161
7	Разработка и валидация метода диагностики нарушения гемостаза по тромбообразованию в проточных камерах	
8	Межклеточное взаимодействие и внутриклеточная сигнализация при иммунологических заболеваниях у детей	
9	Организация научной и образовательной деятельности	2 526 643
10	Научное оборудование и доступ к информационным ресурсам медицинским работникам	20 968 250
11	Клеточная иммунотерапия опухолей у детей	135 958 363
12	Административные расходы	9 845 670
13	Издательство журнала "Вопросы гематологии/ онкологии и иммунопатологии в педиатрии"	333 318
	ИТОГО	291 445 424

Расходы на реализацию проектов

1. Разработка инновационных подходов в терапии приобретённой апластической анемии у детей

В программу включено 239 пациентов с диагнозом «Апластическая анемия» из 43 лечебных учреждений (40 городов) РФ. В результате проведенных в рамках программы диагностических исследований у 197 (82%) пациентов диагноз приобретенной апластической анемии был подтвержден, а у 42 (18%) – отвергнут. У 42 пациентов диагноз приобретенной апластической анемии не подтвердился, и

были установлены другие диагнозы, требующие совершенного иного лечения: врожденная апластическая анемия – 18 пациентов, миелодиспластический синдром – 7 пациентов, дефицитные состояния – 5 пациентов, острый лейкоз – 4 пациента, пароксизмальная ночная гемоглобинурия – 2 пациента, иммунодефицитные и другие редкие состояния – 6 пациентов. Все эти пациенты в настоящее время получают лечение в соответствии с установленными диагнозами. Таким образом, первая задача - максимальный охват пациентов с быстрой дифференциальной диагностикой, может считаться полностью выполненной.

Благодаря возможности немедленного проведения тканевого типирования с родными братьями и сестрами в рамках программы, у 32 из 197 пациентов (16%) с ПАА был своевременно выявлен родственный совместимый донор (братили сестра), и все эти пациенты в оптимальные сроки получили ТГСК (трансплантацию) в федеральных трансплантационных центрах РФ (НМИЦ ДГОИ им. Д. Рогачева г. Москвы – 16 пациентов, РДКБ РНИМУ им. Н.И. Пирогова г. Москвы – 11 пациентов, НИИДОГиТ им. Р.М. Горбачевой г. Санкт-Петербурга – 4 пациента, НИИ гематологии г. Кирова – 1 пациент).

Результаты ТГСК от родственного совместимого донора за весь двухлетний период регистрационного исследования полностью соответствуют мировым данным – общая и бессобытийная 1,5-летняя выживаемость пациентов с ПАА после ТГСК составила 91 % (31 из 32 пациентов живы и не имеют признаков заболевания).

Пациентам, не имевшим родственного совместимого донора, проведена иммуносупрессивная терапия в соответствии с современными протоколами лечения данного заболевания в 21 лечебном учреждении РФ.

Результаты ИСТ за весь период регистрационного исследования полностью сопоставимы с мировыми данными по применению данного типа терапии у пациентов с ПАА: гематологический ответ на 1 курс ИСТ через 4 месяца достигнут у 59% пациентов, через 8 месяцев – у 67%, общая выживаемость пациентов составила 89% и выживаемость без событий рецидива/рефрактерности/смерти – 40%.

Эпидемиология ПАА в России не изучена, поэтому изучение эпидемиологии ПАА у детей в РФ представляет важную самостоятельную задачу данного проекта. Согласно данным Регистрационного исследования, заболеваемость ПАА у детей в России составляет 3,5 случая на 1 млн детского населения в год, то есть показатель заболеваемости находится точно посередине между данными европейских и азиатских исследований. Поскольку еще не все клиники России участвуют в исследовании, эта цифра может меняться при продолжении исследования и включения большего количества пациентов.

2. Молекулярно-генетическая диагностика первичных иммунодефицитных состояний (ПИДС)

Нами налажена логистика и транспортировка образцов из регионов РФ, и проведено исследование 153 образцов. За первые полгода проекта была создана обновленная генетическая панель, которая с помощью ультрасовременного метода секвенирования нового поколения позволяет исследовать более 350 генов ПИДС, известных к лету 2019 г. При этом одновременно можно исследовать образцы множества пациентов. Такой подход к генетическому обследованию позволяет ускорить диагностику ПИДС. Кроме того, исследования сразу множества генов имеет преимущество в случаях нетипичного течения заболевания или у самых маленьких пациентов, у которых картина болезни только разворачивается.

Расходы всего, в том числе	8 766 268
расходные материалы, реагенты	7 412 642
стипендии научным сотрудникам	1 353 626

3. Улучшение результатов терапии злокачественных лимфом у детей с помощью современных методов геномной диагностики

Задача любого исследования, занимающегося прогностическими параметрами, — понять, какие факторы свидетельствуют о плохом течении заболевания, чтобы затем изменить лечение.

Существуют стандартные факторы прогноза, к которым в первую очередь относятся стадия заболевания и ответ на терапию. Благодаря им пациенты разделяются на различные группы риска. Но ни один из имеющихся факторов риска не может ответить на вопрос, каким пациентам можно сократить курс химиотерапии, а каким — наоборот, раньше начать более интенсивное лечение.

Стало понятно, что для этого нужно использовать не обычные морфологические методы, а молекулярно-генетические исследования. Это не просто определение стадии по обычным методам (компьютерной томографии, рентгену, УЗИ и пр.), а рассмотрение на уровне молекулярной генетики, которое позволит выяснить, есть ли клетки злокачественной лимфомы в костном мозге или крови.

Расходы всего, в том числе	35 528 881
расходные материалы, реагенты	4 958 612
оборудование	24 587 208
транспортировка биоматериала	883 061
стипендии научным сотрудникам	5 100 000

Поскольку, как правило, такие лимфомы лечатся очень хорошо, цель проекта состоит в определении минимальной диссеминированной болезни (молекулярных маркеров) у детей с В-клеточными лимфомами в момент диагностики и отслеживание ее редукции, в процессе лечения.

Мы надеемся, что это даст информацию для того, чтобы в последующем изменить протокол лечения

— сделать его более щадящим для тех детей, у которых нет минимальной диссеминированной болезни и в целом очень хороший прогноз. Сокращение курса химиотерапии снизит силу нежелательных последствий

— и наоборот, усилить его для детей, у которых есть минимальная диссеминированная болезнь, и тем более, если она определяется в течение длительного времени.

В исследование включено 30 пациентов в 2019 году.

Всего, в том числе	6 290 617
расходные материалы, реагенты	5 990 617
стипендии научным сотрудникам	300 000

4. Инновационные протоколы лечения острых миелобластных лейкозов у детей

"Острый миелоидный лейкоз (ОМЛ) – злокачественное заболевание крови, которое встречается у детей с частотой 0,5 на 100 000 детей в год. По статистике каждый год порядка 200 новых случаев в нашей стране. Без терапии прогноз заболевания крайне неблагоприятный. В настоящее время благодаря проведению высокодозной полихимиотерапии, а также сопроводительной терапии (лечение, направленное на профилактику и лечение осложнений), проведению гемотранфузионной терапии (переливания компонентов крови) удается излечить от 50 до 70% пациентов.

В России для лечения пациентов с ОМЛ используются модифицированные протоколы группы ВФМ, исследовательские протоколы ведущих научно-исследовательских федеральных центров.

Стандартная терапия пациентов с ОМЛ в регионах РФ включает курс индукции (достижения ремиссии) и 2-3 курса консолидации, и поддерживающую терапию, которая по мнению некоторых Европейских групп не показана. По данным современных исследований детям с ОМЛ высокой группы риска показано проведение ТГСК в первой ремиссии.

С целью улучшения общей выживаемости детей с ОМЛ разработан протокол терапии, основанный на выявлении пациентов высокого риска на этапе первичной диагностики с помощью молекулярно-диагностической панели ОМЛ на основе

технологии NGS и микроматричного анализа, а также исследование уровня остаточной болезни методом иммунофенотипирования после 2-х курсов химиотерапии. Пациентам высокой группы риска планируется проведение аллогенной трансплантации костного мозга в сроки, предусмотренные протоколом. Данное исследование является мультицентровым (включены все профильные клиники страны) с координационным центром в НМИЦ ДГОИ им. Д. Рогачева.

Терапия по протоколу выполняема в региональных центрах, что позволяет большему количеству пациентов начать терапию как можно раньше.

Благодаря разработанной базе данных координационный центр осуществляет логистику направления пациента в трансплантационный центр.

Всего, в том числе	41 119 642
расходные материалы, реагенты	26 631 988
оборудование	8 098 408
стажировка научных сотрудников	272 539
транспортировка биоматериала	593 509
стипендии участников проекта	5 523 198

5. Молекулярная диагностика в детской нейроонкологии и жидкостные биопсии

По состоянию на март 2020 года в программе участвовали 242 пациента НМИЦ ДГОИ им. Дмитрия Рогачева с различными злокачественными опухолями головного мозга (медуллобластома, опухоли сосудистого сплетения, глиомы высокой и низкой степени злокачественности). В 7 случаях у пациентов с опухолями сосудистого сплетения был выявлен принципиально новый, ранее неописанный механизм развития агрессивных опухолей головного мозга. На основании выявления благоприятных маркеров у 4 пациентов с медуллобластомой (подгруппа WNT), интенсивность терапии была редуцирована без потери ее эффективности. У пациентов с МБ младшего возраста удалось выделить группу низкого риска (подгруппа SHH, 30 пациентов), при которой возможно проведение только химиотерапии без использования лучевой терапии.

Выявление молекулярно-генетических маркеров (мутация BRAF V600E, химерные транскрипты KIAA1549-BRAF) у пациентов с глиомами низкой степени злокачественности позволило назначить таргетную терапию 11 пациентам. Данный вид лечения продемонстрировал высокую эффективность и низкую токсичность в сравнении со стандартными методами терапии"

Всего, в том числе	7 961 611
расходные материалы, реагенты	7 961 611

6. Механизмы нарушения функции тромбоцитов и мегакариоцитов при синдроме Вискотта-Олдрича

7. Разработка и валидация метода диагностики нарушений гемостаза и тромбообразования в проточных камерах

8. Межклеточное взаимодействие и внутриклеточная сигнализация при иммунологических заболеваниях у детей

Это три сугубо научных проекта Фонда, не имеющие на сегодняшний день отношения к протоколам лечения. В рамках проектов исследователи определили механизм запрограммированной клеточной смерти тромбоцитов у пациентов с синдромом Вискотта-Олдрича. Это так называемый митохондриальный некроз, который заключается в том, что митохондрии забирают в себя слишком много кальция и запускают сигнал на быструю клеточную смерть. Из-за того, что у пациентов маленькие по размеру тромбоциты, происходит нарушения соотношения объема и поверхности тромбоцита, что ведет к нарушению баланса кальциевой сигнализации.

По проекту вышла обобщающая статья, которая была опубликована в ведущем мировом журнале в области гематологии, «Haematologica».

Эти фундаментальные исследования позволили создать большой научный задел и выявить механизмы для излечения больных иммунологическими заболеваниями с помощью новейших биофизических подходов.

Всего, в том числе	22 146 161
расходные материалы, реагенты	11 719 408
оборудование	500 876
стипендии научным сотрудникам	9 925 877

9. Организация научной и образовательной деятельности

Расходы на зарубежные командировки и участие в крупнейших мировых конгрессах

Расходы всего, в том числе	2 526 643
----------------------------	-----------

10. Научное оборудование и доступ к информационным ресурсам медицинским работникам

Приобретение научного оборудования и доступ к информационным ресурсам медицинским работникам в сумме **23 078 250**, в том числе:

- ✓ проточный цитофлуориметр сортировщик клеток – 16 млн.руб.
- ✓ Роботизированная система (споттер) – 4 978 250 руб.
- ✓ Клиникал кей - доступ к информационным ресурсам – 2,1 млн. руб

11. Клеточная иммунотерапия опухолей у детей

С 26 февраля 2018 года по 03 декабря 2019 года 46 пациентов в возрасте от 2 до 19 лет получили терапию CD19 CAR-T лимфоцитами. Все пациенты страдали рецидивами или резистентными формами острого лимфобластного лейкоза и не имели иных шансов на излечение, за исключением проведения экспериментальной терапии CD19 CAR-T лимфоцитами. После введения клеточного препарата у 87% пациентов была достигнута глубокая ремиссия болезни. Полученные результаты в части эффективности и характера осложнений полностью соответствуют мировым данным по применению данного типа терапии у пациентов с рефрактерными формами острого лимфобластного лейкоза.

Всего, в том числе	135 958 363
расходные материалы, реагенты	87 929 737
оборудование	47 811 926
обучение научных сотрудников	216 700

Административные расходы на 2019 год

ФОНД "НАУКА-ДЕТЯМ"

Административно-управленческие расходы (руб): _____ **9 845 670**