ОТЗЫВ
научного руководителя

Осипова Лилия Александровна – соискатель учёной степени кандидата медицинских наук по специальности 3.1.21. Педиатрия

Диссертация на тему: **«Динамика клинических проявлений мукополисахаридозов у детей на фоне ферментозаместительной терапии и при естественном течении заболевания»**

Осипова Л.А. при выполнении диссертационной работы зарекомендовала себя как грамотный, опытный и добросовестный специалист, сформировавшийся исследователь, показала глубокие знания в области редких болезней, в частности мукополисахаридозов.

В процессе работы изучена безопасность и эффективность ферментозаместительной терапии у детей с мукополисахаридозами в реальной клинической практике, получены статистически подтверждённые результаты, свидетельствующие об обоснованности её применения и актуальности раннего начала лечения. Продемонстрирован удовлетворительный профиль безопасности терапии. Описаны клинические и нейровизуализационные характеристики нейронопатических мукополисахаридозов у детей, выделены маркёры прогрессирования заболевания, которые могут быть использованы для клинического мониторирования пациентов и при оценке эффективности новых методов терапии, преодолевающих гематоэнцефалический барьер.

Осипова Л.А. участвовала во всех этапах исследования: в формулировании цели и задач, анализе медицинской литературы; анализе медицинской документации и результатов исследований пациентов, осуществлении неврологического осмотра больных; ретроспективном пересмотре изображений, полученных с помощью МРТ; статистической обработке полученных данных, формулировании выводов и практических рекомендации по результатам проведённого анализа.

Осипова Л.А. участвовала в подготовке и написании 22 печатных работ по теме диссертации, в том числе статей в изданиях, входящих в перечень рекомендованных ВАК при Минобрнауки России, – 8. Результаты исследования доложены и обсуждены на XV Российском конгрессе «Инновационные технологии в педиатрии и детской хирургии» (2016 г.), VIII Балтийском конгрессе по детской неврологии (2018 г.), Конгрессах педиатров России с международным участием «Актуальные проблемы педиатрии» (2018, 2019 гг.), V Всероссийском научно-практическом конгрессе «Орфанные болезни» (2023 г.), III Всероссийской научно-практической конференции «ORPHA-DA. Редкие болезни: от истоков к перспективам» (2023 г.), WORLD Symposium (2016, 2017, 2019 гг.).

Диссертационная работа Осиповой Лилии Александровны «Динамика клинических проявлений мукополисахаридозов у детей на фоне ферментозаместительной терапии и при естественном течении заболевания» представляет собой завершённое научно-квалификационное исследование, которое может быть представлено к защите.

Осипова Л.А. достойна присуждения ей учёной степени кандидата медицинских наук.

Начальник центра детской психоневрологии,
заведующая отделением психоневрологии
и нейрореабилитации
д.м.н, профессор Кузенкова Л.М.

Подпись д.м.н., профессора,
Кузенковой Л.М. заверяю:

Учёный секретарь ФГАУ «НМИЦ здоровья детей»
Минздрава России, д.м.н., профессор РАН Винярская И.В.

«17» июля 2024 года