



Dr Leszek Borkowski, 2021-02-01 08:12

Dr n. farm. Leszek Borkowski: Leki z RNA w Polsce



Fot. arch. pryw.

Cieszę się, że zaczynamy pisać i mówić o lekach z RNA. Chętnie dołożę swoje trzy grosze, ponieważ jak tylko powiedziałem w listopadzie ubiegłego roku, o ponad 20 latach doświadczeń z konstruktami RNA, poproszono mnie, abym nic nie mówił o innych produktach leczniczych. Obawiano się wtedy, że pacjenci zagubieni w chaosie dezinformacyjnym przestraszą się i przerwą leczenie.

Leki z RNA są jak import na ratunek dla organizmu pacjenta. Czasami zamiast całego RNA stosujemy jego fragmenty np. aptamery.

Leczenie lekiem z RNA jest stosowane w sytuacji nadmiaru lub braku określonej substancji co prowadzi do katastrofy zwanej chorobą.

Poniżej produkty lecznicze z RNA dopuszczone do obrotu w Polsce.

Giwosyran we wskazaniu do leczenia ostrej porfirii wątrobowej (AHP, ang. acute hepatic porphyria) u dorosłych i młodzieży w wieku od 12 lat. Giwosyran jest dwuniciowym małym interferującym kwasem rybonukleinowym (siRNA, ang. small interfering ribonucleic acid), który w mechanizmie interferencji RNA

powoduje w hepatocytach rozpad matrycowego kwasu rybonukleinowego syntezy kwasu aminolewulinowego typu 1 / ALAS1 /, co prowadzi do zmniejszenia ilości indukowanego wątrobowego mRNA ALAS1 w kierunku prawidłowego poziomu.

Skutkiem stosowania Givlaari jest zmniejszenie stężenia we krwi neurotoksycznych produktów pośrednich, mianowicie kwasu aminolewulinowego (ALA, ang. aminolevulinic acid) i porfobilinogenu (ang. porphobilinogen) – kluczowych czynników przyczynowych napadów i innych objawów chorobowych ostrej porfirii wątrobowej.

Inklisiran wskazany do stosowania u osób dorosłych z pierwotną hipercholesterolemią (heterozygotyczną hipercholesterolemią rodzinną i hipercholesterolemią wielogenową) lub dyslipidemią mieszaną, jako uzupełnienie diety: w skojarzeniu ze statyną lub statyną wraz z innymi lekami zmniejszającymi stężenie lipidów u pacjentów, u których nie można osiągnąć stężenia LDL-C będącego celem terapii w wyniku stosowania maksymalnej tolerowanej dawki statyny lub samodzielnie bądź w skojarzeniu z innymi lekami zmniejszającymi stężenie lipidów u pacjentów nietolerujących statyn lub u pacjentów, u których stosowanie statyn jest przeciwwskazane.

Inklisiran jest dwuniciowym, małym interferującym kwasem rybonukleinowym (ang. small interfering ribonucleic acid, siRNA) zmniejszającym stężenie cholesterolu, sprzężonym na nici kodującej z trójantenową N-acetylogalaktozaminą (ang. N-acetylgalactosamine, GalNAc), co ma ułatwić jego wychwyt przez hepatocyty. W hepatocytach inklisiran wykorzystuje mechanizm interferencji RNA i ukierunkowuje katalityczny rozkład mRNA na konwertazę proproteinową subtylizyny/keksyny typu 9. Takie działanie zwiększa recykling i ekspresję receptorów LDL-C na powierzchni hepatocytów, co nasila wychwyt LDL-C i zmniejsza stężenia LDL-C w krążeniu.