

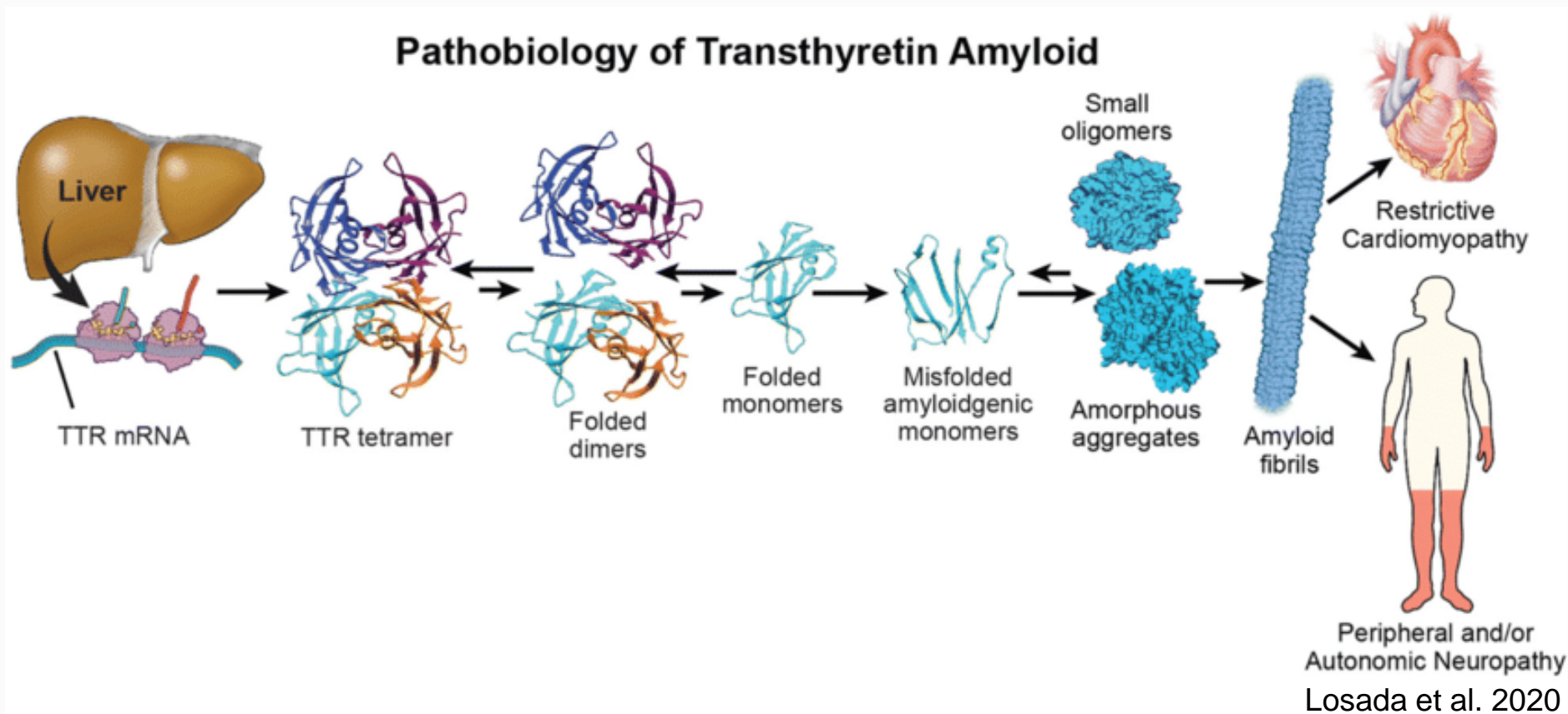
# **Patisíran, malá interferujúca RNA, v liečbe hereditárnej transtyreťínovej amyloidózy**

Jana Vetešková, Nemocničná lekárneň Ružinov, UNB Bratislava  
XXX. Kongres nemocničného lekárstva

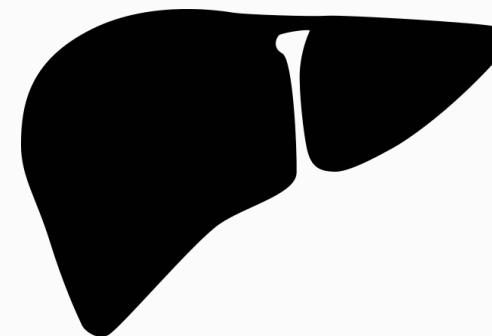
# Hereditárna transtyretínová amyloidóza (hATTR)

-zriedkavé, autozomálne-dominantne dedičné ochorenie s mutáciou génu pre transtyretín (Losada et al., 2020)

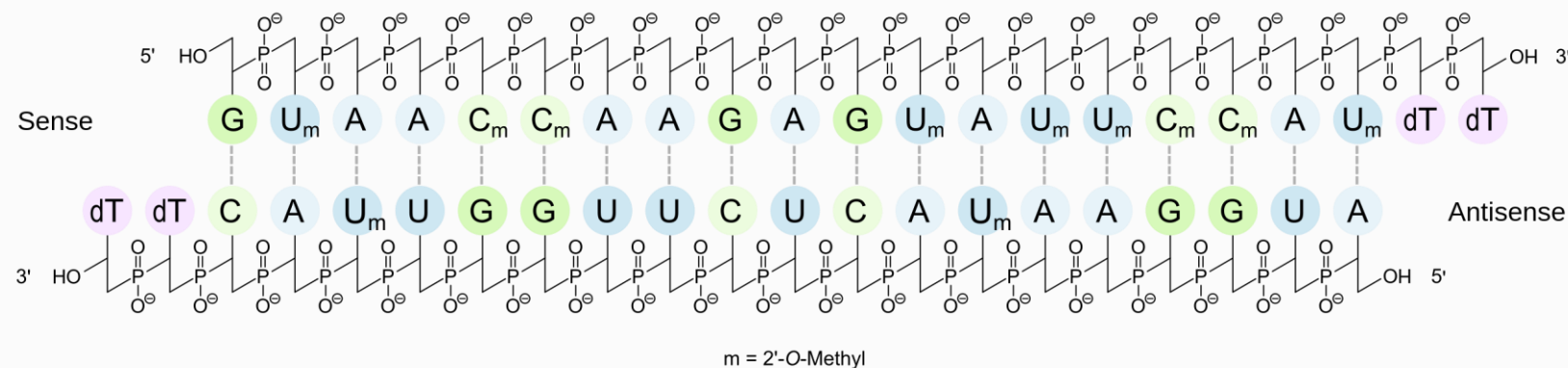
-periférna polyneuropatia, autonómna neuropatia s ortostatickou hypotenziou a GIT dysautonómiou, kardiomyopatia (Gentile et al., 2021)



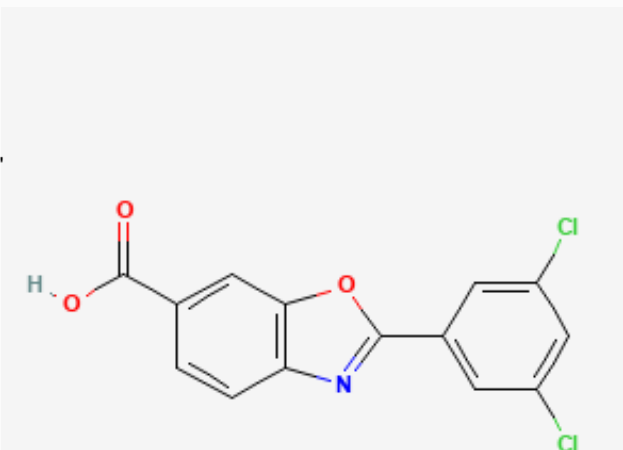
# Terapeutické možnosti pri hATTR



- transplantácia pečene** (štandardná liečba)
- stabilizéry transtyreínu** (tafamidis-indikovaný na hATTR u dospelých s polyneuropatiou 1. stupňa)
- RNA interferencia** (inotersen, patisíran-hATTR s polyneuropatiou 1. alebo 2. stupňa (Gertz et al. 2019), vutrisíran (ema.europe.com))



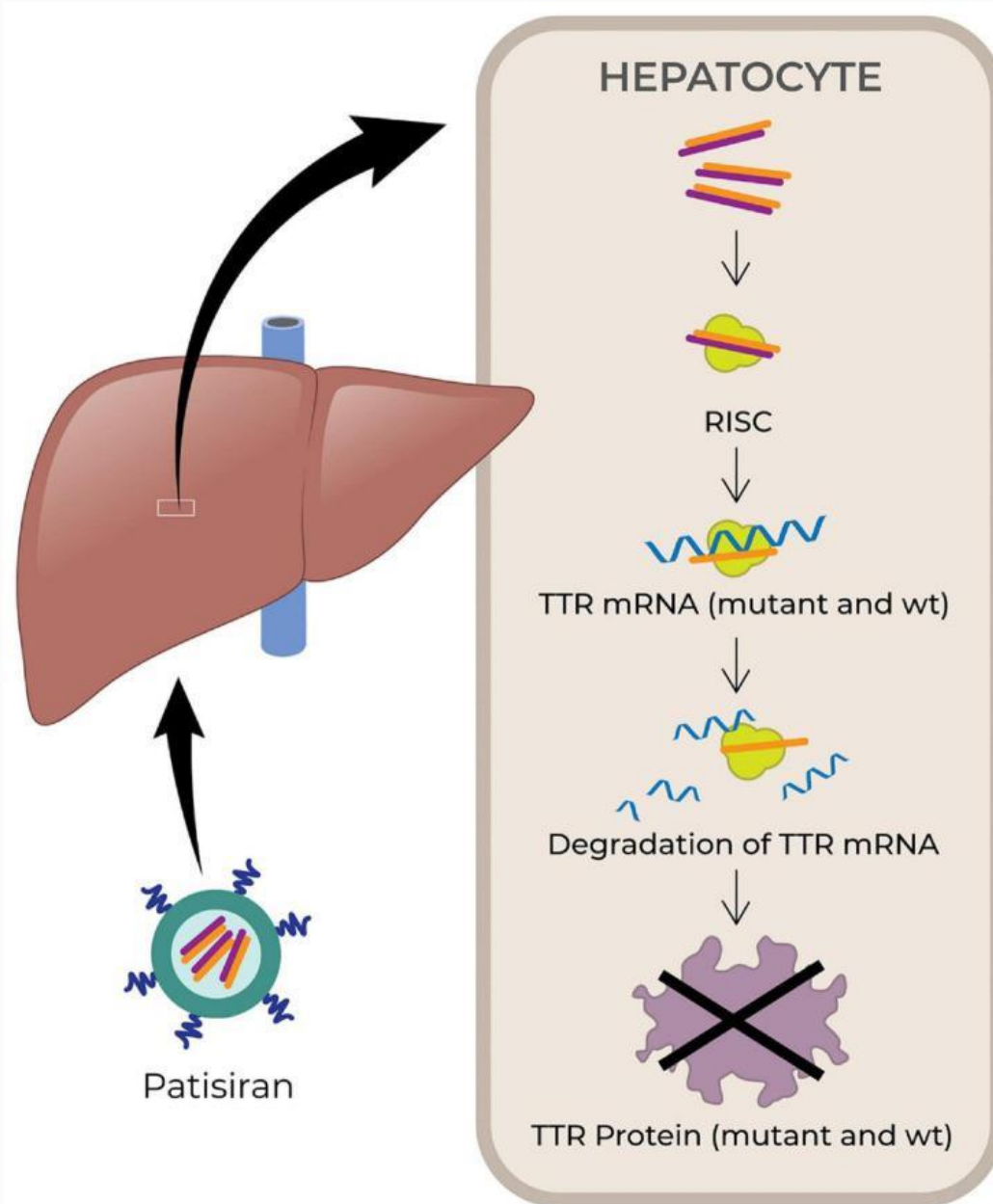
Patisíran



Tafamidis (PubChem)

# Mechanizmus účinku – RNA interferencia

- syntetická **dsRNA**
- lipidové nanočastice** opsonizované ApoE
- väzba na mRNA pre transtyretín
- rozklad mRNA pre transtyretín**
- zníženie sérových hladín proteínu transtyretínu (Titze-de-Almeida et al. 2020)



# Príprava lieku s obsahom patisíranu

- po vybratí z chladničky, temperovať na izbovú teplotu
- nepretrepávať, nemiešať**, vizuálne skontrolovať
- zriediť s 0,9% roztokom NaCl za aseptických podmienok**
- filtrovať cez 0,45 µm PES filter** do sterilnej nádoby
- zriedenie požadovaného objemu v infúznom vaku s 0,9% NaCl
- celkový objem lieku po zriedení: 200ml
- opatrne premiešať prevrátením vaku

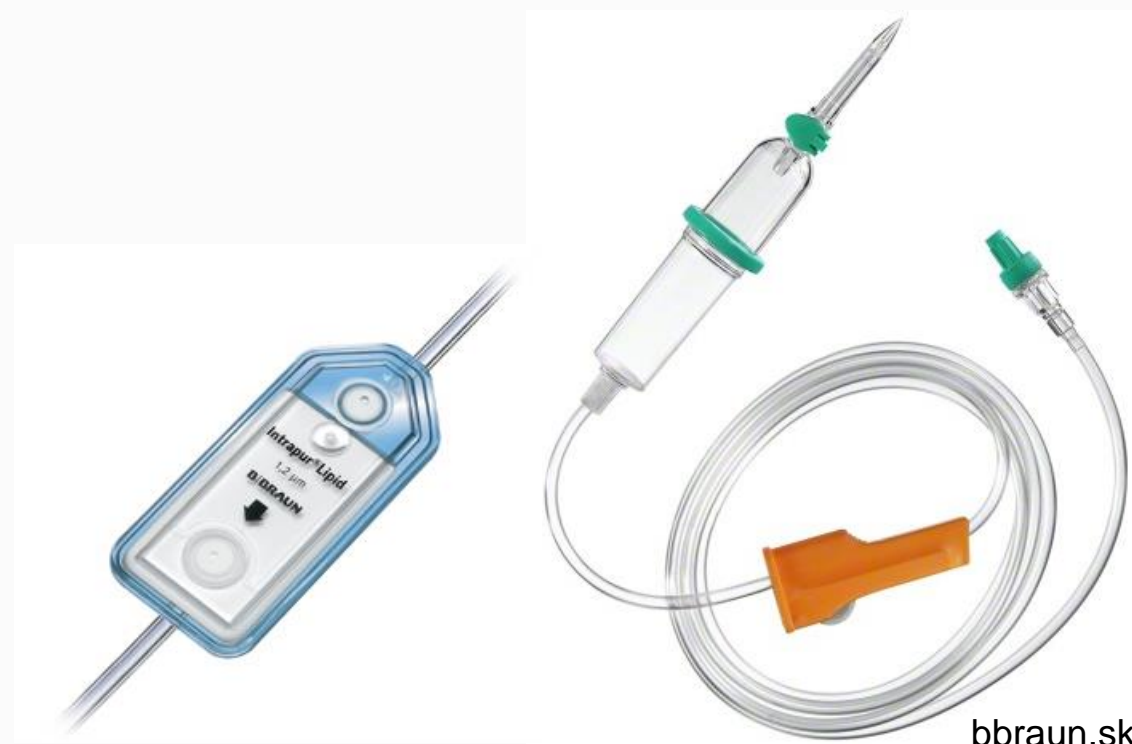


# Podanie lieku s obsahom patisíranu

- i.v. infúzia 0,3 mg/kg každé 3 týždne
- infúzna súprava s 1,2  $\mu$ m PES infúznym filtrom
- dĺžka podania infúzie približne 80min

## Premedikácia (60min vopred):

- i.v. kortikosteroid
- p.o. paracetamol
- i.v. blokátor H1 receptorov
- i.v. blokátor H2 receptorov



**Ďakujem za pozornosť**