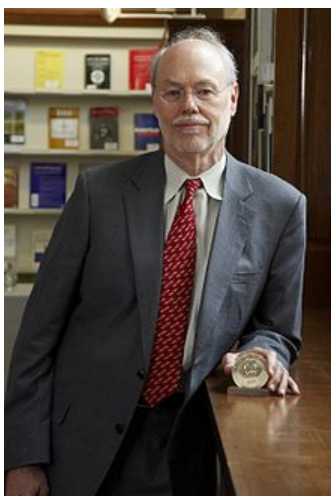


СЪОБЩЕНИЕ ДО МЕДИИТЕ

НОБЕЛОВ ЛАУРЕАТ ЗА МЕДИЦИНА ЩЕ ГОСТУВА В УМБАЛ «АЛЕКСАНДРОВСКА»

По покана на проф. Ивайло Търнев, ръководител на Клиниката по нервни болести, на Експертния център по наследствени неврологични и метаболитни заболявания в УМБАЛ „Александровска”, и на Българското дружество по невромускулни заболявания, на 12 юли носителят на Нобелова награда за медицина проф. Филип Шарп от САЩ ще посети УМБАЛ „Александровска”.



Проф. д-р Филип Алън Шарп (Phillip Allen Sharp) е американски молекулярен биолог и генетик, съоткривател на РНК свързването, за което си откритие, съвместно с Ричард Робъртс през 1993г. получават Нобелова награда за физиология и медицина. Проф. Шарп е бил директор на Центъра за изследване на рака към Масачузетския технологичен институт (сега Институт за интегрирани ракови изследвания Кох); ръководител на Факултета по биология и по-късно директор на института Макгавърн за изследвания на мозъка. Също така е съосновател и дългогодишен член на управителните съвети на трите био-технологични компании: Biogen, Alnylam Pharmaceuticals, Magen Biosciences.

От 11.00 ч. в зала Максима на УМБАЛ „Св. Екатерина”, проф. Шарп ще изнесе лекция на тема: „РНК интерференцията и нейните медицински приложения“ пред аудитория от академични преподаватели и специалисти по неврология, медицинска генетика, биология, химия и биохимия от катедрите на Медицински университет, гр. София. Очакванията са проф. Шарп да сподели уникални идеи за откриването на РНК интерференцията и нейното приложение за разработване на иновативни лекарства за лечение на пациенти със сериозни, животозастрашаващи редки заболявания, при които понастоящем има ограничени или неадекватни

възможности за лечение. На срещата са поканени и представители на пациентските организации на хората с редки болести, ресорни журналисти, медици от други клинични области и пр. Предвидена е дискусия след края на лекцията, на която проф. Шарп ще отговаря на въпросите на аудиторията. Осигурен е превод.

Откриването на РНК интерференцията (смущенията в РНК) е обявено от световната научна общност за „революционен научен пробив в разбирането за това как се регулират генните клетки“. Проф. Шарп е поканен за срещата като представител на компанията – производител на първата одобрена РНК терапия за лечение на фамилната транстиретинова амилоидоза (hATTR амилоидоза, TTR-FAP), която изцяло е обект на неговите научни изследвания. В България молекулата все още е в процес на клинично изпитване, но вече има отчетени резултати със значими подобрения в неврологичните прояви на болестта и качеството на живот на пациентите, а също и в показателите на сърдечната им дейност. Резултатите са публикувани през 2018 година във високоимпактфакторния научен журнал *New England Journal of Medicine* с участие на проф. Търнев от българска страна. Медикаментът е одобрен от лекарствените регулаторни органи в САЩ, Европа и Япония. През миналия месец беше актуализиран Националният консенсус за диагностика и лечение на фамилната транстиретинова амилоидоза от експерти на Българското дружество по неврология, Българското дружество по кардиология и Българското дружество по гастроентерология с включване на иновативния медикамент. Очаква се до края на годината да бъде издадено разрешение за употребата му на българския пазар, а също и решение за цената и реимбурсацията му от НЗОК. Националният консенсус е публикуван в сп. „Българска неврология“.

Фамилната транстиретиновата амилоидоза е наследствено заболяване, което засяга различни органи и системи в тялото – периферните нерви, сърцето, стомашночревния тракт, бъбреците и очите. Причинява се от мутации в гена, отговорен за синтеза на протеина транстиретин. Това е транспортен белтък, без който важният за нервната система хормон тироксин, заедно с витамин А, не могат да попаднат в кръвната плазма. Генната мутация в случая води до натрупване на неразтворими отлагания под формата на малки нишки (амилоидни фибрили) в различни органи и системи, което в крайна сметка води до дегенеративни изменения и нарушава функциите им. Познати са над 120 мутации, отговорни за транстиретиновата амилоидоза. До момента екипът на проф. Търнев е регистрирал 182 пациенти от 100 семейства в цяла България, като само 67 от тях са в лечимия

първи стадий на заболяването. Други 110 асимптомни носители на мутациите, причиняващи заболяването са регулярно проследявани от екипа с цел най-ранна диагностика и най-ранно започване на лечение.

За момента в Клиниката по нервни болести на УМБАЛ „Александровска“ болните с фамилна транстиретинова амилоидоза се лекуват с виндакел (тафамидис), който стабилизира транстиретиновия тетрамер и забавя прогресията на заболяването. Лечението с виндакел е показано само за първи стадий на заболяването. При повече от 1/3 от лекуваните с виндакел пациенти се установява прогресия и преминаване във втори стадий. За тях новата РНК терапия, патисиран, е единствената терапевтична възможност. Тя е показана и за пациенти в първи стадий, които демонстрират бърза прогресия на заболяването.

През 2016г. в Клиниката по нервни болести на УМБАЛ „Александровска“ е регистриран първият в България Експертен център по наследствени нервни и метаболитни заболявания - член на две европейски референтни мрежи /EURO-NMD и MetabErn/. Миналата година той бе посетен от европейския комисар по здравеопазване и безопасност на храните Витянис Андрюкайтис, който даде най-висока оценка за работата на проф. Търнев, наричайки го „световен откривател, чийто професионализъм и научни достижения в областта на невронауките са актив за цяла Европа, а не само за българската страна“.

11 юли 2019г.

Павлина Тодорова
Връзки с обществеността
тел. 02/9230 364
моб. +359 894 466 224
pr.alexandrovska@gmail.com
www.alexandrovska.com
www.dkc-alexandrovska.com