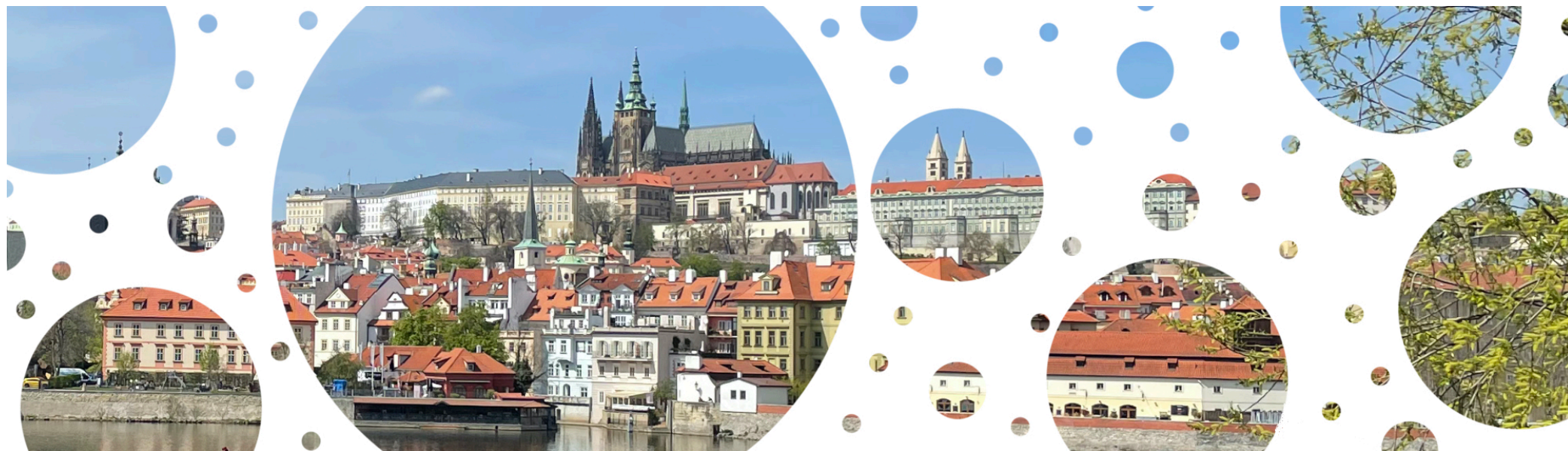


Program



NERVOSVALOVÉ KAZUISTIKY S KAPKOU TEORIE

21. října 2021

Virtuální konference

Záštit

Oddělení dětské neurologie Fakultní
Thomayerovy nemocnice

Pořadatel

MH Consulting s.r.o.

Prezident kongresu



prim MUDr. Klára Brožová

Organizátor

MH Consulting s.r.o.
Narcisová 2850
106 00 Praha 10
www.mhconsulting.cz



Detailní program k dispozici pouze online

QR kód na Vaší jmenovce

Program, objednané služby a instrukce naleznete po nasazenování QR kódu na Vaší jmenovce.

Webové stránky akce

Oficiální stránky akce na www.mhconsulting.cz.

QR kód níže

Program naleznete po nasazenování QR kódu níže:



Čtvrtek

21. 10. 2021

	06:00	7:00	8:00	9:00	10:00	11:00	12:00	13:00	14:00	15:00	16:00	17:00	18:00	19:00	20:00	21:00	22:00	23:00
Virtuální sál ... Hlavní sdělení					Online konference 10:00 - 12:30													

Čtvrtek

21. 10. 2021

📍 Virtuální sál

10:00-12:30



ONLINE KONFERENCE

📍 Virtuální sál | Hlavní sdělení

KDYŽ SVAL PRACUJE MOC – MYOTONICKÉ SYNDROMY A DIFERENCIÁLNÍ DIAGNOSTIKA

Horna M.

25 + 5 min

GENOVÁ TERAPIE SMA – TROCHU TEORIE S KAPKOU PRAXE (PODPOŘENO FIRMOU NOVARTIS S.R.O.)

adamovicova m.

25 + 5 min

CESTA K DG. SMA

Horna M.

25 + 5 min

ZKUŠENOSTI S LÉČBOU RISDIPLAMEM U PACIENTŮ SE SPINÁLNÍ MUSKULÁRNÍ ATROFÍÍ (SMA)

Fuchsová P.

25 + 5 min

CIDP U DĚTÍ

Horna M.

25 + 5 min



Kontinuální a setrvalá exprese proteinu SMN po jediné dávce*¹

ZOLGENSMA je genová terapie určená
k řešení hlavní příčiny SMA*¹

- Významně zvýšené přežití bez příhod
vs. přirozený vývoj^{1††}
- Rychlé zlepšení motorických funkcí
po 1 měsíci po infuzi vs. přirozený vývoj^{5**2}
- Dosažení milníků ve vývoji motoriky
do 18 měsíců po infuzi^{3†††}

ZOLGENSMA je indikována k léčbě

- pacientů s 5q spinální muskulární atrofií (SMA) s bíaleickou
mutací genu *SMN1* a klinicky stanovenou SMA 1. typu, nebo
- pacientů s 5q SMA s bíaleickou mutací genu *SMN1* a až 3 kopiemi genu *SMN2*.

▼ Tento léčivý přípravek podléhá dalšímu sledování. To umožní rychlé získání nových informací o bezpečnosti. Žádáme zdravotnické pracovníky, aby hlásili jakýkoli podezření na nežádoucí účinky. Podrobnosti o hlášení nežádoucích účinků viz Souhrnné údaje o přípravku, bod 4.8.

Zkrácená informace o přípravku • Zolgensma 2 × 10¹² genová vektora/ml infuze (aktiva) • **Složení:** Jediná ml obsahuje onasemnogenum abeparvovec s normální koncentrací 2 × 10¹² genová vektora (vg). **Indikace:** Přípravek Zolgensma je indikován k léčbě pacientů s 5q spinální muskulární atrofií (SMA) s bíaleickou mutací genu *SMN1* a klinicky stanovenou SMA 1. typu, nebo pacientů s 5q SMA s bíaleickou mutací genu *SMN1* a až 3 kopiemi genu *SMN2*. **Nežádoucí účinky:** Pouze u pozorované intervence infuze. Pacient dostane dávku v množství 1,8 × 10¹² vg/kg onasemnogen abeparvovec. Celkový objem je dán tělesnou hmotností pacienta. **Kontraindikace:** Hypersenzitivita na bílou látku nebo na kteroukoli pomocnou látku. **Zvláštní upozornění/varování:** Před infuzí onasemnogen abeparvovec je třeba provést test na přítomnost protilátek proti AAV. Pokud bude jejich titr nad 1:50, testování lze opakovat. Za tím není zájem, zda a za jakých podmínek lze onasemnogen abeparvovec bezpečně a účinně podávat na přítomnost protilátek proti AAV a třem nad 1:50. Po uvedení na trh byly hlášeny případy trombotické mikroangiopatie (TMA) v souvislosti s přípravkem Zolgensma. TMA je akutní a život ohrožující stav charakterizovaný trombocytopenií a mikroangiopatickou hemolytickou anémií. Současné bylo také pozorováno ústřední parézou ledví. V některých případech byla hlášena subakutní atrofie moštového svalu. Trombocytopenie je klinickým projevem TMA, proto je třeba pečlivě sledovat počty trombocytů v týdnu po infuzi a pravidelně poté. V případech trombocytopenie je třeba provést další vyšetření včetně diagnostiky hemolytické anémie a renální dysfunkce. Pokud pacient vykazuje klinické známky, příznaky nebo laboratorní náznaky ústřední a TMA, je nutný as okamžitě poradit s odborníkem, aby byla TMA léčená podle klinické indikace. Pokud také měl být informován o zadržení TMA a měl by poskytnout, aby vyšetřil neurologickou laboratorní práci, pokud se takové příznaky objeví. **Rizikové faktory:** Někdy provodily zvláštní studie intenzit. Zhodnotit a posoudit onasemnogen abeparvovec u pacientů s ústřední parézou ledví. Hlavní příznaky nebo hepatitida byly jsou vzácné. Rozhodnout onasemnogen abeparvovec u těchto pacientů nebylo možné zpravidla. Zhodnotit se na další vývoj podléhající přípravku dle klinických a 5q SMA jsou vzácné. **Užívání a kojení:** Lze užívat i během těhotenství a kojení nároku k dispozici a studie fertility a reprodukční studie v zářit nebyly prováděny. **Nežádoucí účinky:** Velmi časté: Zvýšení hladiny jaterních enzymů. Časté: Trombocytopenie, zvracení, hepatitida, pyrexie, zvýšení hladiny hepatoluz, lymfopenie, lymfocytární počet trombocytů. **Zvláštní nežádoucí účinky – viz zkrácená informace o přípravku. Doba používání:** 1 rok. Po konverzaci se není přípravek znovu zaveden a může se uchovávat v chladu při teplotě 2 až 8 °C v původním obalu po dobu 14 dní. Po nastavení doby uchování dojde k rychlému rozkladu v normálním 8 hodin provede aplikace infuze. **Zvláštní podmínky pro uchování:** Uchovávejte v uzavřené a transportujte v uzavřené (2–8 °C). Uchovávejte v chladničce (2–8 °C) okamžitě po přijetí. Uchovávejte v původním obalu. Před užitím přípravku do chladničky je třeba na guloch ležících v normální teplotě. **Zvláštní podmínky pro uchování přípravku a pro zachování účinnosti:** Tento léčivý přípravek obsahuje geneticky modifikované organismy, ve kterých dochází k přenosu účinnosti z jedné buňky do druhé nebo z jedné buňky do druhé. Přípravek se dodává ve dvou různých velikostech objemu injekční lahvičky, 5,5 ml nebo 8,3 ml. Dávka onasemnogen abeparvovec a přesný počet týdnů léčby se vypočítá dle tělesné hmotnosti pacienta. **Držitel rozhodnutí o registraci:** Novartis Gene Therapies EU Limited, Dublin, Irsko. **Registrační číslo EU:** 1/20/1443/001-007. **Datum registrace/prodloužení registrace:** 18.5.2020/18.5.2021. **Datum posledního revize této PIC:** 18.5.2021. **Poznámka:** Dříve než rok předchozí, přehled si pečlivě přečtěte informace o přípravku. **Přípravek je poskytován při dávkování podle doporučeného je je přidělen pouze do onasemnogen abeparvovec. ^{††} Sledování pro sledování léčebných příhod.**

ZOLGENSMA je léčivý přípravek pro genovou terapii, která exprese proteinu SMN (proteinu SMN), jehož exprese je charakteristická pro onemocnění. Prokázáním alternativního zdroje exprese proteinu SMN v motorických neuronech se očekává zlepšení aktivity a funkce neuronů v motorických neuronech. ^{††} Přípravek ZOLGENSMA byl podáván v klinické studii u pacientů s 5q SMA (n=101) a 3-5q jako jedna intravenózní infuze 22 pacientům ve věku 0,5–6,5 měsíce. ^{†††} 80,9% (n=23/22) pacientů bylo bez příhod ve věku 14 měsíců, a 2/22 pacientů se vyskytla příhoda (smrt nebo trvalá ventilace). Ve srovnání s přirozeným vývojem: pouze 25 % pacientů (n=23) bylo bez příhod ve věku 14 měsíců. ^{††††} Studie byla provedena v rámci Novartis Neurovascular Clinical Research (NVC) Network. ^{†††††} ZOLGENSMA byla podávána v klinické studii u pacientů s 5q SMA (n=101) a 3-5q jako jedna intravenózní infuze u 12 pacientů ve věku 2,6–8,5 kg (0,5–7,8 měsíce věku). Pacienti byli sledováni po dobu 24 měsíců. ^{††††††} Pacienti (n=12) dosáhli statisticky významného zlepšení motorických funkcí 1 měsíc po infuzi, měřeno podílem zvýšení síly CHOP-INTEND sport výkonu hodnota a 0,6 bodů (P<0,001). ^{†††††††} Při hodnocení po 18. měsících bylo 14 pacientů schopno sedět bez podpory po dobu 10 sekund, 14 pacientů sedět bez podpory po dobu 30 sekund a 1 pacient byl schopný chodit s asistencí.

Reference: 1. Souhrnné údaje o přípravku ZOLGENSMA (onasemnogen abeparvovec). 2. Mendell LR et al. N Engl J Med. 2017;377:1713–1722.

Novartis s. r. o., Na Pankrdě 1724/129, 140 00 Praha 4
Tel.: +420 226 775 111, www.novartis.cz, info.cz@novartis.com

CZ2109146475/08/2021

NOVARTIS | Reimagining Medicine

Zlatý partner



Vystavovatel



Děkujeme všem zúčastněným firmám za podporu této akce