# Program

# 25. BRNĚNSKÉ SETKÁNÍ DĚTSKÝCH NEUROLOGŮ A PEDIATRŮ

15. září 2023

COURTYARD BY MARRIOTT, BRNO

## Pořadatel

MH Consulting s.r.o. ve spolupráci s KDN LF MU a FN Brno

## Prezident kongresu

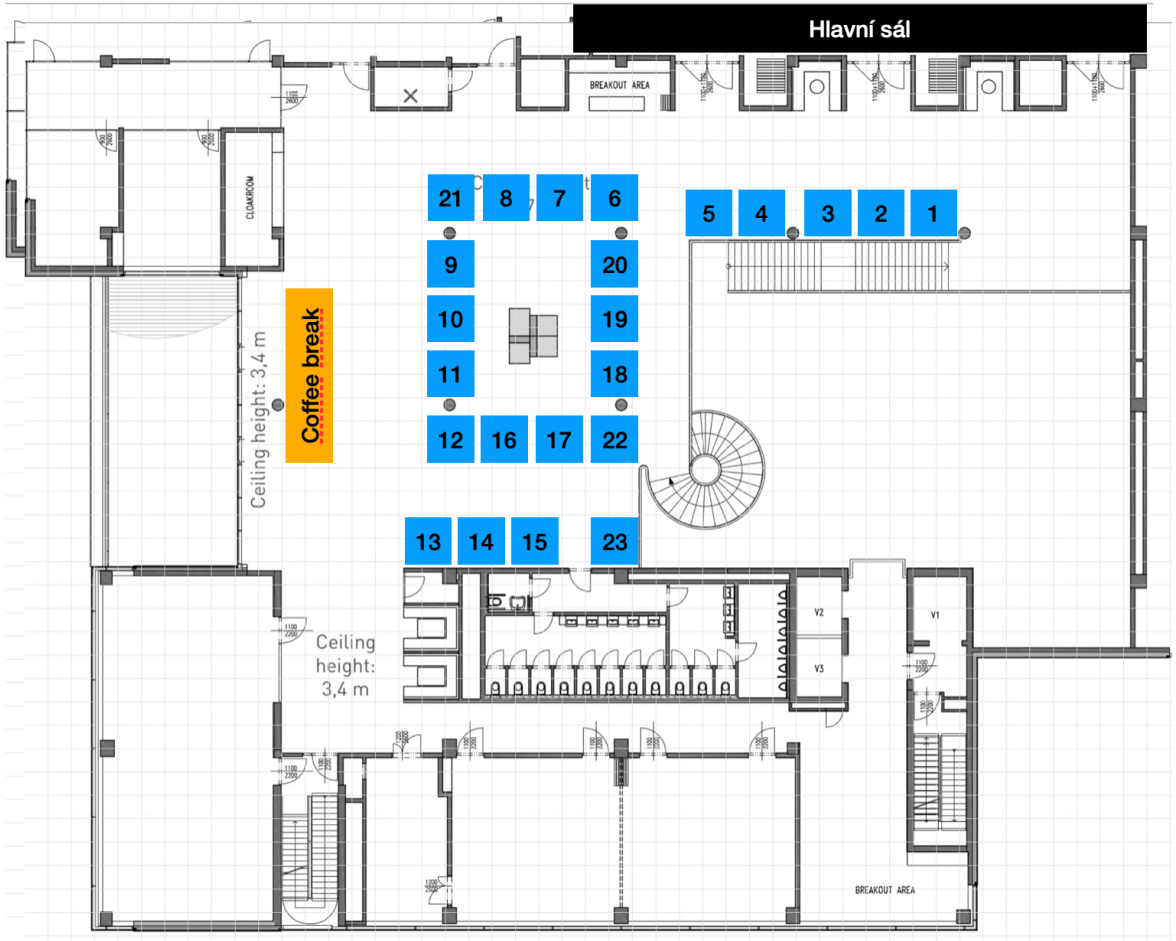
Doc. MUDr. Hana Ošlejšková, Ph.D.
Přednosta KDN LF MU a FN Brno

## Organizátor

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

# Partneři a vystavovatelé

| | | | | | | | |
|---|---|---|---|---|---|---|---|
| Angelini Pharma Česká republika s.r.o. 21 | ARDEZ Pharma, spol. s r.o. 7 | TBA 6 | BioMarin Europe Ltd. 8 | Bioxa Therapeutics, s.r.o. 19 | CARDION s.r.o. 10 | Desitin Pharma, spol. s r.o. 16 | DEYMED Diagnostic s.r.o. 13 |
| Eisai GesmbH, organizační složka 12 | Ipsen Pharma s.r.o. 15 | Medis Pharma s.r.o. 5 | Medtronic Czechia s.r.o. 11 | Novartis s.r.o. 22 | PTC Therapeutics 9 | Qpharma s.r.o. 18 | ROCHE s.r.o. 1 |
| Sandoz s.r.o. 17 | Swixx Biopharma s.r.o. 20 | UCB s.r.o. 23 | Zlatá rybka 14 | | | | |



# Detailní program k dispozici pouze online

## QR kód na Vaší jmenovce

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

## Webové stránky akce

Oficální stránky akce na www.mhconsulting.cz.

## QR kód níže

Program naleznete po nascenování QR kódu níže:

# Čtvrtek

## 14. 09. 2023

| | 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 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| Foyer | | | | | | | | | | | | | | Stavba stánků<br>19:00 - 22:00 | | | | |

**Registrace firem**

# Pátek

## 15. 09. 2023

| | 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 |
|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|---|
| Hlavní sál | | | Slavností zahájení a představe.. 08:30 - 09:30 | | Blok I 09:30 - 12:00 | | | Blok II 12:45 - 14:35 | Panelová d.. 14:35 - 15:00 | Zakončení programu a teplý bufet 15:00 - 16:30 | | | | | | | | |
| Občerstvení | | | | | | | Přestávka a studený bufet 12:00 - 12:45 | | | Teplý bufet 15:00 - 16:30 | | | | | | | | |
| Foyer | Stavba stánků 06:00 - 08:00 | | Registrace účastníků 08:00 - 12:00 | | | | | | | | | | | | | | | |

Jiné | Coffee Break | Panel | Ústní sdělení | Registrace firem | Registrace účastníků

# Čtvrtek

## 14. 09. 2023

Foyer

**19:00-22:00**

**STAVBA STÁNKŮ**
Foyer | Registrace firem

# Pátek

## 15. 09. 2023

Hlavní sál | Občerstvení | Foyer

**08:30-09:30**

**SLAVNOSTÍ ZAHÁJENÍ A PŘEDSTAVENÍ NOVÉ PŘEDNOSTKY**
Hlavní sál | Jiné

**SLAVNOSTNÍ ZAHÁJENÍ A PŘEDSTAVENÍ NOVÉ PŘEDNOSTKY** — 60 min
H. Ošlejšková

**09:30-12:00**

**BLOK I**
Hlavní sál | Ústní sdělení

**SLAVNOSTNÍ PŘEDNÁŠKA - FUNKČNÍ PORUCHY HYBNOSTI U DĚTÍ** — 30 min
P. Danhofer

**VZÁCNÝ PŘÍPAD MYOPATIE S ATYPICKOU KLINICKOU SYMPTOMATOLOGIÍ** — 20 min
K. Slabá

**CESTA PACIENTŮ Z DUCHENOVOU SVALOVOU DYSTROFIÍ DO NERVOSVALOVÉHO CENTRA** — 20 min
L. Juříková

**PLÁNOVÁNÍ GRAVIDITY U PACIENTEK S SMA** — 20 min
O. Parmová, Z. Bálintová

**GENOVÁ TERAPIE SMA V KLINICKÉ PRAXI** — 20 min
O. Havlín

**PRAKTICKÉ ZKUŠENOSTI S LÉKEM EVRYSDI – KAZUISTIKY** — 20 min
L. Juříková

**PORUCHA AUTISTICKÉHO SPEKTRA A SPINÁLNÍ MUSKULÁRNÍ ATROFIE - NÁHODA NEBO NOVÁ VÝZVA? (KAZUISTIKA)** — 20 min
L. Knedlíková

# Pátek

## 15. 09. 2023

Hlavní sál | Občerstvení | Foyer

**12:45-14:35**

**BLOK II**
Hlavní sál | Ústní sdělení

**CENOBAMÁT – PRVNÍ KRŮČKY V DĚTSKÉ A ADOLESCENTNÍ EPILEPTOLOGII** 15 min
O. Horák

**PERAMPANEL - MOŽNOSTI POUŽITÍ V DĚTSKÉM VĚKU** 15 min
M. Ryzí

**KANABINOIDY V KAZUISTIKÁCH (CO MUSÍM VĚDĚT, NEŽ JE NASADÍM..) - PODPOŘENO SPOLEČNOSTÍ SWIXX BIOPHARMA S.R.O.** 15 min
O. Horák

**FENFLURAMIN - NOVÁ MOŽNOST V TERAPII FARMAKOREZISTENTNÍ EPILEPSIE** 20 min
Š. Aulická

**MONOAMINOVÉ NEUROTRANSMITERY V TEORII A PRAXI – KAZUISTIKA** 15 min
M. Macháček, H. Ošlejšková, P. Danhofer, T. Honzík, R. Jech

**PORUCHY SPÁNKU U DĚTÍ S AUTISMEM A ZKUŠENOSTI S MELATONINEM S PRODLOUŽENÝM UVOLŇOVÁNÍM NA KDN** 15 min
S. Kolář, H. Ošlejšková

**VYSOCE ÚČINNÉ LÉKY V TERAPII ROZTROUŠENÉ SKLERÓZY U DĚTÍ - PŘEHLED A ZKUŠENOSTI Z RS CENTRA** 15 min
P. Hanáková, M. Dufek

**14:35-15:00**

**PANELOVÁ DISKUZE**
Hlavní sál | Panel

**15:00-16:30**

**ZAKONČENÍ PROGRAMU A TEPLÝ BUFET**
Hlavní sál | Jiné

# Pátek

## 15. 09. 2023

Hlavní sál | **Občerstvení** | Foyer

**12:00-12:45**

**PŘESTÁVKA A STUDENÝ BUFET**
Občerstvení | Coffee Break

**15:00-16:30**

**TEPLÝ BUFET**
Občerstvení | Coffee Break

# Pátek

## 15. 09. 2023

Hlavní sál | Občerstvení | Foyer

**06:00-08:00**

**STAVBA STÁNKŮ**
Foyer | Registrace firem

**08:00-12:00**

**REGISTRACE ÚČASTNÍKŮ**
Foyer | Registrace účastníků

# ZESÍLENÁ OCHRANA

PROTI NEKONTROLOVANÝM FOKÁLNÍM ZÁCHVATŮM [1]

## BEZPRECEDENTNÍ ÚČINNOST

Mimořádně vysoký podíl pacientů s nekontrolovanými fokálními záchvaty léčených ONTOZRY® dosahuje bezzáchvatovosti. [2,3,4]

ONTOZRY®
cenobamát

Angelini Pharma

Angelini Pharma Česká republika s.r.o.,
Palachovo náměstí 5, 625 00 Brno, www.angelinipharma.cz

**ZKRÁCENÁ INFORMACE O PŘÍPRAVKU**

**▼Ontozry 12,5 mg, 25 mg, 50 mg, 100 mg, 150 mg, 200 mg**

**S:** Cenobamatum 12,5 mg v jedné tabletě, cenobamatum 25 mg, 50 mg, 100 mg, 150 mg, 200 mg v jedné potahované tabletě. **I:** Přídatná léčba fokálních záchvatů se sekundární generalizací nebo bez ní u dospělých pacientů s epilepsií bez adekvátní kontroly navzdory předchozí léčbě nejméně 2 antiepileptiky. **KI:** Hypersenzitivita na léčivou látku nebo na kteroukoli pomocnou látku. Vrozený syndrom krátkého QT. **ZU:** Pacienti mají být sledováni s ohledem na známky sebevražedných myšlenek a chování a pokud se u nich objeví, mají být poučeni, aby vyhledali lékařskou pomoc. Při zahájení podávání cenobamátu ve vyšších dávkách a při rychlém zvyšování dávek byla hlášena léková reakce s eozinofilií a systémovými příznaky (DRESS), která může být život ohrožující nebo fatální. V okamžiku předepisování přípravku mají být pacienti poučeni o známkách a příznacích DRESS (např. horečka, vyrážka spojená s postižením dalších orgánových systémů, lymfadenopatie, abnormální jaterní testy a eozinofilie) a mají být pečlivě sledováni s ohledem na kožní reakce. Pokud se objeví známky a příznaky naznačující tyto reakce, cenobamát má být okamžitě vysazen a má být zvážena alternativní léčba. Při podávání cenobamátu bylo pozorováno zkrácení intervalu QTcF závisející na dávce. Lékaři mají postupovat s opatrností při předepisování cenobamátu v kombinaci s jinými léčivými přípravky, u kterých se ví, že zkracují interval QT. Cenobamát nesmí být používán u pacientů s vrozeným syndromem krátkého QT. Obsahuje laktózu. **NÚ:** Velmi časté (≥ 1/10): somnolence, únava, sedace a hypersomnie, závrať, vertigo, porucha rovnováhy, ataxie, porucha chůze a abnormální koordinace, bolest hlavy. Časté (≥1/100 až <1/10): stav zmatenosti, podrážděnost, dysartrie, nystagmus, afázie, porucha paměti, diplopie, rozmazané vidění, zácpa, průjem, nauzea, zvracení, sucho v ústech, vyrážka, erytematózní vyrážka, vyrážka na kůži celého těla, makulózní vyrážka, makulopapulózní vyrážka, morbilliformní vyrážka, papulózní vyrážka, svědící vyrážka a zvýšení jaterních enzymů. **IT:** Současné užívání cenobamátu s jinými látkami tlumícími CNS (př. alkohol, barbituráty a benzodiazepiny) může zvyšovat riziko neurologických nežádoucích účinků. Při souběžném podávání cenobamátu s fenytoinem nebo fenobarbitalem není nutná úprava dávky cenobamátu, na základě individuální odpovědi během titrace cenobamátu však může být nutné snížit dávku fenytoinu nebo fenobarbitalu. Při souběžném podávání cenobamátu a klobazamu není nutná úprava dávky cenobamátu, může být ale nutné snížit dávku klobazamu. Souběžné podávání cenobamátu s lamotriginem nemělo žádný vliv na expozice cenobamátu, ale vedlo k poklesům koncentrací lamotriginu v závislosti na dávce. Při souběžném podávání s lamotriginem může být zapotřebí vyšších dávek cenobamátu (200–400 mg/den) pro udržení účinnosti. Při souběžném podávání cenobamátu s karbamazepinem, kyselinou valproovou, lakosamidem, levetiracetamem nebo oxkarbazepinem nejsou nutné úpravy dávkování. Cenobamát vykázal na dávce závislou indukci CYP3A4 a snížení expozice (AUC) substrátu CYP3A4 u zdravých subjektů. Může být proto snížena účinnost hormonální antikoncepce při souběžném podávání s cenobamátem. Při souběžném podávání s cenobamátem může být nutné zvýšit dávky léků metabolizovaných pomocí CYP3A4 (př. midazolam). Při souběžném podávání s cenobamátem může být nutné zvýšit dávky léků metabolizovaných pomocí CYP2B6 (př. bupropion). Při souběžném podávání s cenobamátem může být nutné snížit dávky léků metabolizovaných pomocí CYP2C19 (př. omeprazol). Cenobamát inhibuje transportér OAT3 zapojený do eliminace např. baricitinibu, cefakloru, empagliflozinu, penicilinu G, ritobegronu a sitagliptinu. Proto může souběžné podávání cenobamátu a léčivých přípravků transportovaných OAT3 vést k vyšší expozici těmto léčivým přípravkům. **TL:** Podávání cenobamátu se u žen, které mohou otěhotnět a nepoužívají antikoncepci, nedoporučuje. Ontozry lze v těhotenství použít pouze tehdy, když klinický stav ženy vyžaduje léčbu cenobamátem. Ženy, které mohou otěhotnět, mají používat účinné antikoncepční metody během léčby cenobamátem a ještě 4 týdny po ukončení léčby. Kojení má být během léčby přípravkem Ontozry přerušeno. **D:** Doporučená počáteční dávka cenobamátu je 12,5 mg denně, s postupnou titrací na doporučenou cílovou dávku 200 mg denně. Na základě klinické odpovědi může být dávka zvýšena na maximálně 400 mg denně. Doporučené titrační schéma je 12,5 mg 1. a 2. týden, 25 mg 3. a 4. týden, 50 mg 5. a 6. týden, 100 mg 7. a 8. týden, 150 mg 9. a 10. týden, cílová dávka 200 mg 11. a 12. týden. V případě nedosažení optimální kontroly záchvatů lze zvyšovat dávku nad 200 mg v krocích po 50 mg/den každé dva týdny až do maximální denní dávky 400 mg. **DRR:** Angelini Pharma S.p.A, Viale Amelia 70, 00181, Rome – Itálie. **Reg.č.:** Ontozry 12,5mg+25mg: EU/1/21/1530/001, Ontozry 50 mg: EU/1/21/1530/003, Ontozry 100 mg: EU/1/21/1530/006, Ontozry 150 mg: EU/1/21/1530/009, Ontozry 200 mg: EU/1/21/1530/012. **Uchovávání:** Nevyžaduje žádné zvláštní podmínky uchovávání. **Datum poslední revize textu SPC:** 27. 6. 2023. Přípravek je vázán na lékařský předpis a je hrazen zdravotními pojišťovnami. Seznamte se, prosím, se Souhrnem údajů o přípravku (SPC).

23-07-E3-18653

**Reference:**
**1.** Aktuální SPC přípravku ONTOZRY. **2.** Specchio N et al. Int J Mol Sci 2021; 22(17): 9339. **3.** Krauss GL et al. Lancet Neurol. 2020;19(1):38–48 (incl. Supplementary Appendix). **4.** Halford JJ, Edwards JC. Acta Neurol Scand. 2020 Aug;142(2):91–107.

Angelini Pharma

Angelini Pharma Česká republika s.r.o.,
Palachovo náměstí 5, 625 00 Brno, www.angelinipharma.cz

**LÉČIVÝ PŘÍPRAVEK MODIFIKUJÍCÍ PRŮBĚH ONEMOCNĚNÍ K LÉČBĚ OSOB SE SMA SCHVÁLENÝ PRO VŠECHNY VĚKOVÉ SKUPINY A VŠECHNY TYPY SMA S PROKÁZANOU DLOUHODOBOU ÚČINNOSTÍ A BEZPEČNOSTNÍM PROFILEM.**

## ZKRÁCENÁ INFORMACE O LÉČIVÉM PŘÍPRAVKU SPINRAZA

**Název přípravku:** Spinraza 12 mg injekční roztok. **Složení:** Jedna injekční lahvička o objemu 5 ml obsahuje nusinersenum natricum, což odpovídá nusinersenum 12 mg. Úplný seznam pomocných látek je uveden v SPC. **Terapeutické indikace:** Přípravek Spinraza je indikován k léčbě spinální svalové atrofie vázané na dlouhé raménko 5. chromozomu. **Dávkování a způsob podání:** Léčbu přípravkem Spinraza má zahájit pouze lékař, který má zkušenosti s léčbou spinální svalové atrofie. Doporučená dávka je 12 mg (5 ml) při jednom podání. Léčba přípravkem Spinraza má být zahájena co nejdříve po stanovení diagnózy 4 nasycovacími dávkami ve dnech 0, 14, 28 a 63. Udržovací dávka má být potom podávána jednou za 4 měsíce. Přípravek Spinraza je určen k intratekálnímu podání pomocí lumbální punkce. Léčbu má podávat zdravotnický pracovník se zkušenostmi s prováděním lumbální punkce. Přípravek Spinraza se podává prostřednictvím intratekální bolusové injekce po dobu 1 až 3 minut za použití spinální anestetické jehly. Injekce se nesmí podat do míst na kůži, která vykazují známky infekce či zánětu. Doporučuje se, aby se před podáním přípravku Spinraza odebral takový objem cerebrospinálního moku, který odpovídá objemu přípravku Spinraza, který má být aplikován. Při podání přípravku Spinraza může být zapotřebí sedace. Při přípravě roztoku přípravku Spinraza k intratekálnímu podání se musí použít aseptický postup. Pokud dojde ke zpoždění nebo vynechání nasycovací nebo udržovací dávky, má být přípravek Spinraza podáván podle schématu uvedeném v tabulce 1 v části 4.2 SPC. **Kontraindikace:** Hypersenzitivita na léčivou látku nebo na kteroukoli pomocnou látku. **Zvláštní upozornění:** Lumbální punkce: V souvislosti s provedením lumbální punkce existuje riziko výskytu nežádoucích účinků (např. bolest hlavy, bolest zad, zvracení). Možné obtíže mohou nastat u velmi mladých pacientů a u pacientů se skoliózou. Pro usnadnění provedení intratekálního podání přípravku Spinraza lze podle uvážení lékaře zvážit použití ultrazvuku nebo jiných zobrazovacích technik. Trombocytopenie a koagulační abnormality: Po subkutánním nebo intravenózním podání jiných antisense oligonukleotidů byly pozorovány koagulační abnormality a trombocytopenie včetně akutní těžké trombocytopenie. Pokud je to klinicky indikováno, doporučuje se před podáním přípravku Spinraza provést laboratorní vyšetření trombocytů a koagulace. Renální toxicita: Po subkutánním nebo intravenózním podání jiných antisense oligonukleotidů byla pozorována renální toxicita. Pokud je to klinicky indikováno, doporučuje se provést vyšetření bílkovin v moči. Při přetrvávající zvýšené hladině bílkovin v moči se mají zvážit další vyšetření. Hydrocefalus: V období po uvedení přípravku na trh byly u pacientů léčených nusinersenem hlášeny případy komunikujícího hydrocefalu bez souvislosti s meningitidou nebo krvácením. Některým pacientům byla implantována ventrikuloperitoneální drenáž (shunt). Přínosy a rizika léčby nusinersenem u pacientů s ventrikuloperitoneální drenáží nejsou v současnosti známy a pokračování v léčbě po tomto zákroku je nutné pečlivě zvážit. **Interakce s jinými léčivými přípravky:** Nebyly provedeny žádné studie interakcí. *In vitro* studie naznačily, že nusinersen není induktorem ani inhibitorem metabolismu zprostředkovaného CYP450. *In vitro* studie naznačují, že pravděpodobnost interakcí s nusinersenem kvůli kompetici o vazbu na plazmatické bílkoviny nebo kompetici s transportéry či kvůli inhibici transportérů je nízká. **Fertilita, těhotenství a kojení:** Podávání nusinersenu v těhotenství se z preventivních důvodů nedoporučuje. Není známo, zda se nusinersen/metabolity vylučují do lidského mateřského mléka. Riziko pro kojené novorozence/děti nelze vyloučit. Na základě posouzení prospěšnosti kojení pro dítě a prospěšnosti léčby pro matku je nutno rozhodnout, zda přerušit kojení nebo ukončit/přerušit podávání nusinersenu. Nejsou k dispozici žádné údaje o potenciálních účincích na fertilitu u člověka. **Účinky na schopnost řídit a obsluhovat stroje:** Nusinersen nemá žádný nebo má zanedbatelný vliv na schopnost řídit nebo obsluhovat stroje. **Nežádoucí účinky:** Velmi časté: bolest hlavy, bolest zad, zvracení. Není známo: meningitida, hypersenzitivita, aseptická meningitida. U pacientů léčených přípravkem Spinraza za použití lumbální punkce byly zaznamenány závažné infekce, např. meningitida. Taktéž byl hlášen výskyt komunikujícího hydrocefalu, aseptické meningitidy a hypersenzitivity (např. angioedém, kopřivka a vyrážka). Frekvence těchto účinků není známa. **Předávkování:** V případě předávkování je třeba poskytnout podpůrnou lékařskou péči, včetně konzultace se zdravotnickým pracovníkem a důkladného vyšetření klinického stavu pacienta. **Podmínky uchovávání:** Uchovávejte v chladničce (2 °C - 8 °C). Chraňte před mrazem. Uchovávejte injekční lahvičku v krabičce, aby byl přípravek chráněn před světlem. **Balení:** 5ml injekční lahvička. Jedna injekční lahvička v krabičce. **Držitel rozhodnutí o registraci:** Biogen Netherlands B.V., 1171 LP Badhoevedorp, Nizozemsko. **Reg. číslo:** EU/1/17/1188/001. **Způsob úhrady a výdeje:** Výdej přípravku je vázán na lékařský předpis. Přípravek je plně hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění jako zvlášť účtovaný léčivý přípravek (ZULP). **Datum revize textu:** 01/2022.

Žádáme zdravotnické pracovníky, aby hlásili jakákoli podezření na nežádoucí účinky. Před předepsáním léku se prosím seznamte s úplnou informací o přípravku.

Biogen (Czech Republic) s.r.o., Na Pankráci 1683/127, 140 00 Praha 4, tel.: 255 706 200, fax: 255 706 229, www.biogen.com.cz

Biogen

Biogen (Czech Republic) s.r.o., Na Pankráci 1683/127, Praha 4, 140 00
tel.: +420 255 706 200, www.biogen.com.cz
Biogen-82588, únor 2023

Zobrazené osoby jsou skuteční pacienti. Tito pacienti a jejich rodiny dali souhlas s použitím jejich příběhu. Fotografie slouží pouze pro ilustraci. Individuální výsledky se mohou lišit.

**LÉČIVÝ PŘÍPRAVEK MODIFIKUJÍCÍ PRŮBĚH ONEMOCNĚNÍ K LÉČBĚ OSOB SE SMA SCHVÁLENÝ PRO VŠECHNY VĚKOVÉ SKUPINY A VŠECHNY TYPY SMA S PROKÁZANOU DLOUHODOBOU ÚČINNOSTÍ A PŘÍZNIVÝM BEZPEČNOSTNÍM PROFILEM.**

Biogen

Biogen (Czech Republic) s.r.o., Na Pankráci 1683/127, Praha 4, 140 00
tel.: +420 255 706 200, www.biogen.com.cz
Biogen-158713, únor 2023

## ZKRÁCENÁ INFORMACE O LÉČIVÉM PŘÍPRAVKU SPINRAZA

**Název přípravku:** Spinraza 12 mg injekční roztok. **Složení:** Jedna injekční lahvička o objemu 5 ml obsahuje nusinersenum natricum, což odpovídá nusinersenum 12 mg. Úplný seznam pomocných látek je uveden v SPC. **Terapeutické indikace:** Přípravek Spinraza je indikován k léčbě spinální svalové atrofie vázané na dlouhé raménko 5. chromozomu. **Dávkování a způsob podání:** Léčbu přípravkem Spinraza má zahájit pouze lékař, který má zkušenosti s léčbou spinální svalové atrofie. Doporučená dávka je 12 mg (5 ml) při jednom podání. Léčba přípravkem Spinraza má být zahájena co nejdříve po stanovení diagnózy 4 nasycovacími dávkami ve dnech 0, 14, 28 a 63. Udržovací dávka má být potom podávána jednou za 4 měsíce. Přípravek Spinraza je určen k intratekálnímu podání pomocí lumbální punkce. Léčbu má podávat zdravotnický pracovník se zkušenostmi s prováděním lumbální punkce. Přípravek Spinraza se podává prostřednictvím intratekální bolusové injekce po dobu 1 až 3 minut za použití spinální anestetické jehly. Injekce se nesmí podat do míst na kůži, která vykazují známky infekce či zánětu. Doporučuje se, aby se před podáním přípravku Spinraza odebral takový objem cerebrospinálního moku, který odpovídá objemu přípravku Spinraza, který má být aplikován. Při podání přípravku Spinraza může být zapotřebí sedace. Při přípravě roztoku přípravku Spinraza k intratekálnímu podání se musí použít aseptický postup. Pokud dojde ke zpoždění nebo vynechání nasycovací nebo udržovací dávky, má být přípravek Spinraza podáván podle schématu uvedeném v tabulce 1 v části 4.2 SPC. **Kontraindikace:** Hypersenzitivita na léčivou látku nebo na kteroukoli pomocnou látku. **Zvláštní upozornění:** Lumbální punkce: V souvislosti s provedením lumbální punkce existuje riziko výskytu nežádoucích účinků (např. bolest hlavy, bolest zad, zvracení). Možné obtíže mohou nastat u velmi mladých pacientů a u pacientů se skoliózou. Pro usnadnění provedení intratekálního podání přípravku Spinraza lze podle uvážení lékaře zvážit použití ultrazvuku nebo jiných zobrazovacích technik. Trombocytopenie a koagulační abnormality: Po subkutánním nebo intravenózním podání jiných antisense oligonukleotidů byly pozorovány koagulační abnormality a trombocytopenie včetně akutní těžké trombocytopenie. Pokud je to klinicky indikováno, doporučuje se před podáním přípravku Spinraza provést laboratorní vyšetření trombocytů a koagulace. Renální toxicita: Po subkutánním nebo intravenózním podání jiných antisense oligonukleotidů byla pozorována renální toxicita. Pokud je to klinicky indikováno, doporučuje se provést vyšetření bílkovin v moči. Při přetrvávající zvýšené hladině bílkovin v moči se mají zvážit další vyšetření. Hydrocefalus: V období po uvedení přípravku na trh byly u pacientů léčených nusinersenem hlášeny případy komunikujícího hydrocefalu bez souvislosti s meningitidou nebo krvácením. Některým pacientům byla implantována ventrikuloperitoneální drenáž (shunt). Přínosy a rizika léčby nusinersenem u pacientů s ventrikuloperitoneální drenáží nejsou v současnosti známy a pokračování v léčbě po tomto zákroku je nutné pečlivě zvážit. **Interakce s jinými léčivými přípravky:** Nebyly provedeny žádné studie interakcí. *In vitro* studie naznačily, že nusinersen není induktorem ani inhibitorem metabolismu zprostředkovaného CYP450. *In vitro* studie naznačují, že pravděpodobnost interakcí s nusinersenem kvůli kompetici o vazbu na plazmatické bílkoviny nebo kompetici s transportéry či kvůli inhibici transportérů je nízká. **Fertilita, těhotenství a kojení:** Podávání nusinersenu v těhotenství se z preventivních důvodů nedoporučuje. Není známo, zda se nusinersen/metabolity vylučují do lidského mateřského mléka. Riziko pro kojené novorozence/děti nelze vyloučit. Na základě posouzení prospěšnosti kojení pro dítě a prospěšnosti léčby pro matku je nutno rozhodnout, zda přerušit kojení nebo ukončit/přerušit podávání nusinersenu. Nejsou k dispozici žádné údaje o potenciálních účincích na fertilitu u člověka. **Účinky na schopnost řídit a obsluhovat stroje:** Nusinersen nemá žádný nebo má zanedbatelný vliv na schopnost řídit nebo obsluhovat stroje. **Nežádoucí účinky:** Velmi časté: bolest hlavy, bolest zad, zvracení. Není známo: meningitida, hypersenzitivita, aseptická meningitida. U pacientů léčených přípravkem Spinraza za použití lumbální punkce byly zaznamenány závažné infekce, např. meningitida. Taktéž byl hlášen výskyt komunikujícího hydrocefalu, aseptické meningitidy a hypersenzitivity (např. angioedém, kopřivka a vyrážka). Frekvence těchto účinků není známa. **Předávkování:** V případě předávkování je třeba poskytnout podpůrnou lékařskou péči, včetně konzultace se zdravotnickým pracovníkem a důkladného vyšetření klinického stavu pacienta. **Podmínky uchovávání:** Uchovávejte v chladničce (2 °C - 8 °C). Chraňte před mrazem. Uchovávejte injekční lahvičku v krabičce, aby byl přípravek chráněn před světlem. **Balení:** 5ml injekční lahvička. Jedna injekční lahvička v krabičce. **Držitel rozhodnutí o registraci:** Biogen Netherlands B.V., 1171 LP Badhoevedorp, Nizozemsko. **Reg. číslo:** EU/1/17/1188/001. **Způsob úhrady a výdeje:** Výdej přípravku je vázán na lékařský předpis. Přípravek je plně hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění jako zvlášť účtovaný léčivý přípravek (ZULP). **Datum revize textu:** 01/2022.

Žádáme zdravotnické pracovníky, aby hlásili jakákoli podezření na nežádoucí účinky. Před předepsáním léku se prosím seznamte s úplnou informací o přípravku.

Biogen (Czech Republic) s.r.o., Na Pankráci 1683/127, 140 00 Praha 4, tel.: 255 706 200, fax: 255 706 229, www.biogen.com.cz

# ZVAŽOVALI JSTE MOŽNOST ALTERNATIVNÍ DIAGNÓZY U PACIENTŮ S PŘÍZNAKY DĚTSKÉ MOZKOVÉ OBRNY?[1-3]

## Vaši pacienti s dětskou mozkovou obrnou neznámé etiologie mohou mít vzácnou genetickou poruchu

Vaši pacienti mohou vykazovat příznaky dětské mozkové obrny, jako je dystonie, rigidita/hypertonie a motorické opoždění, což jsou také běžné příznaky nedostatku aromatické L-aminokyseliny dekarboxylázy (AADC).[1-6]

Navštivte stránky AADC*Insights*.eu a www.aadcd.cz, kde se dozvíte více o příznacích, symptomech a bezplatném testování, které vám pomůže diagnostikovat nedostatek AADC.

Reference: **1.** Kurian MA, Dale RC. Movement disorders presenting in childhood. *Continuum (Minneap Minn)*. 2016;22(4 Movement Disorders):1159-1185. **2.** Krigger KW. Cerebral palsy: an overview. *Am Fam Physician.* 2006;73(1):91-100. **3.** Ng J, Papandreou A, Heales SJ, et al. Monoamine neurotransmitter disorders—clinical advances and future perspectives. *Nat Rev Neurol.* 2015;11(10):567-584. **4.** Brun L, Ngu LH, Keng WT, et al. Clinical and biochemical features of aromatic L-amino acid decarboxylase deficiency. *Neurology*. 2010;75(1):64-71. **5.** Wassenberg T, Molero-Luis M, Jeltsch K, et al. Consensus guideline for the diagnosis and treatment of aromatic l-amino acid decarboxylase (AADC) deficiency. *Orphanet J Rare Dis.* 2017;12(1):12. doi: 10.1186/s13023-016-0522-z. **6.** Hallman-Cooper JL, Gossman W. *Cerebral Palsy*. StatPearls Publishing; 2020. Accessed April 28, 2020. https://www.ncbi.nlm.nih.gov/books/ NBK538147/.

Logo PTC je ochrannou známkou společnosti PTC Therapeutics.
© 2020 PTC Therapeutics. Všechna práva vyhrazena.
Vyhotoveno: září 2022, CZ-AADC-0220

PTC THERAPEUTICS™

Roche

Evrysdi® ▼
risdiplam

**Inovativní přípravek k perorálnímu podání určený k léčbě SMA[1]**
**Kontinuální zlepšení nebo stabilizace motorických funkcí[2]**

▼ Tento léčivý přípravek podléhá dalšímu sledování. To umožní rychlé získání nových informací o bezpečnosti. Žádáme zdravotnické pracovníky, aby hlásili jakákoli podezření na nežádoucí účinky na www.sukl.cz/nahlasit-nezadouci-ucinek.

Přípravek Evrysdi je indikován k léčbě spinální svalové atrofie (SMA) vázané na dlouhé raménko 5. chromozomu u pacientů s klinickou diagnózou SMA 1. typu, 2. typu nebo 3. typu nebo s jednou až čtyřmi kopiemi genu SMN2.[1]

▼ **Zkrácená informace o přípravku EVRYSDI** 0,75 mg/ml prášek pro perorální roztok

**Účinná látka:** Risdiplamum **Indikace:** Léčba spinální svalové atrofie (SMA) vázané na dlouhé raménko 5. chromozomu u pacientů s klinickou diagnózou SMA 1. typu, 2. typu nebo 3. typu nebo s jednou až čtyřmi kopiemi genu *SMN2*. **Dávkování:** Léčba přípravkem Evrysdi má být zahájena lékařem se zkušenostmi s léčbou SMA. Přípravek se podává perorálně jednou denně po jídle vždy přibližně ve stejnou denní dobu. Doporučená denní dávka se stanoví podle věku a tělesné hmotnosti pacienta: 0,15 mg/kg pokud <2 měsíce; 0,20 mg/kg pokud <2 roky; 0,25 mg/kg pokud ≥2 roky a <20 kg; 6 mg pokud ≥2 roky a ≥20 kg. **Pomocné látky:** Jeden ml roztoku obsahuje 0,38 mg natrium-benzoátu (E 211) a 2,97 mg isomaltu (E 953). **Kontraindikace:** Hypersenzitivita na léčivou látku nebo na kteroukoli pomocnou látku. **Upozornění:** Možná embryofetální toxicita: Ve studiích na zvířatech byla zjištěna embryofetální toxicita. Pacienty ve fertilním věku je třeba seznámit s riziky a pacienti musí používat vysoce účinnou antikoncepci během léčby a nejméně 1 měsíc po poslední dávce v případě žen a 4 měsíce po poslední dávce v případě mužů. U pacientek ve fertilním věku je třeba před zahájením léčby vyloučit případné těhotenství. Možné účinky na mužskou fertilitu: Na základě údajů ze studií na zvířatech nemají muži během léčby a 4 měsíce po poslední dávce darovat sperma. **Lékové interakce:** Risdiplam je metabolizován primárně jaterními enzymy flavinmonooxygenázou 1 a 3 (FMO1 a 3) a také enzymy cytochromu P450 (CYP) 1A1, 2J2, 3A4 a 3A7. Risdiplam není substrátem lidského proteinu mnohočetné lékové rezistence 1 (MDR1) a je slabým inhibitorem CYP3A. **Nežádoucí účinky:** U pacientů s SMA s nástupem v dětství byly nejčastějšími nežádoucími účinky: pyrexie (54,8 %), vyrážka (29,0 %) a průjem (19,4 %). U pacientů s SMA s pozdějším nástupem byly nejčastějšími nežádoucími účinky pyrexie (21,7 %), bolest hlavy (20,0 %), průjem (16,7 %) a vyrážka (16,7 %). Podle průběžných údajů se zdá, že bezpečnostní profil léčby presymptomatických pacientů odpovídá bezpečnostnímu profilu léčby pacientů s nástupem SMA v dětství a později. **Těhotenství a kojení:** V těhotenství a u žen ve fertilním věku, které nepoužívají antikoncepci, se nedoporučuje přípravek užívat. Během léčby se nedoporučuje kojit. **Balení přípravku:** Skleněná lahvička obsahuje risdiplamum 60 mg ve 2 g prášku pro perorální roztok. Jeden ml rekonstituovaného roztoku obsahuje risdiplamum 0,75 mg. **Podmínky uchovávání:** Rekonstituovaný perorální roztok uchovávejte ve svislé poloze v chladničce (2 °C až 8 °C). Uchovávejte v původním obalu, aby byl přípravek chráněn před světlem. **Datum registrace:** 26.3.2021. **Datum vytvoření textu Zkrácené informace o přípravku:** 16. 8. 2023, aktuální verze Souhrnu údajů o přípravku je dostupná na www.sukl.cz **Registrační číslo:** EU/1/21/1531/001. Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčivý přípravek je za určitých podmínek hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění, více na www.sukl.cz. Před předepsáním přípravku se prosím seznamte s úplným zněním SPC. Další informace dostupné na adrese: Roche s.r.o., Futurama Business Park Bld F, Sokolovská 685/136f, 186 00 Praha 8, telefon 220 382 111. **Držitel rozhodnutí o registraci:** Roche Registration GmbH, Německo. Podrobné informace na http://www.ema.europa.eu/.

▼ Tento léčivý přípravek podléhá dalšímu sledování. To umožní rychlé získání nových informací o bezpečnosti. Žádáme zdravotnické pracovníky, aby hlásili jakákoli podezření na nežádoucí účinky na www.sukl.cz/nahlasit-nezadouci-ucinek.

**REFERENCE: 1.** SPC přípravku Evrysdi, datum poslední revize textu 16.8.2023; **2.** Oskoui, M. et al, SUNFISH Part 2, MDA Conference 2021.

**Roche s.r.o.,** Futurama Business Park Bld F, Sokolovská 685/136f, 186 00 Praha 8, tel.: +420 220 382 111, www.roche.cz

M-CZ-00002258

# Poznámky:

# Poznámky:

## Platinový partner

NOVARTIS

## Zlatý partner

Angelini Pharma

Swixx BioPharma
Modern Medicines for All

## Stříbrný partner

Roche

ucb

## Bronzový partner

Eisai

PTC THERAPEUTICS

## Vystavovatel

ARDEZ

BIOMARIN

BIOXA Therapeutics

cardion

DANONE ONE PLANET. ONE HEALTH

DESITIN SUCCESS IN CNS

Deymed DIAGNOSTIC

IPSEN

MEDIS

Medtronic

Qpharma POMÁHÁME LÉČIT

SANDOZ A Novartis Division

Zlatá rybka

**Děkujeme všem zúčastněným firmám za podporu této akce**