Program



26. BRNĚNSKÉ SETKÁNÍ DĚTSKÝCH NEUROLOGŮ A PEDIATRŮ

13. září 2024

Courtyard by Marriott, Brno

Pořadatel

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

Prezident kongresu



doc. MUDr. Pavlína Danhofer, Ph.D.
Přednosta KDN LF MU a FN Brno

Viceprezident kongresu



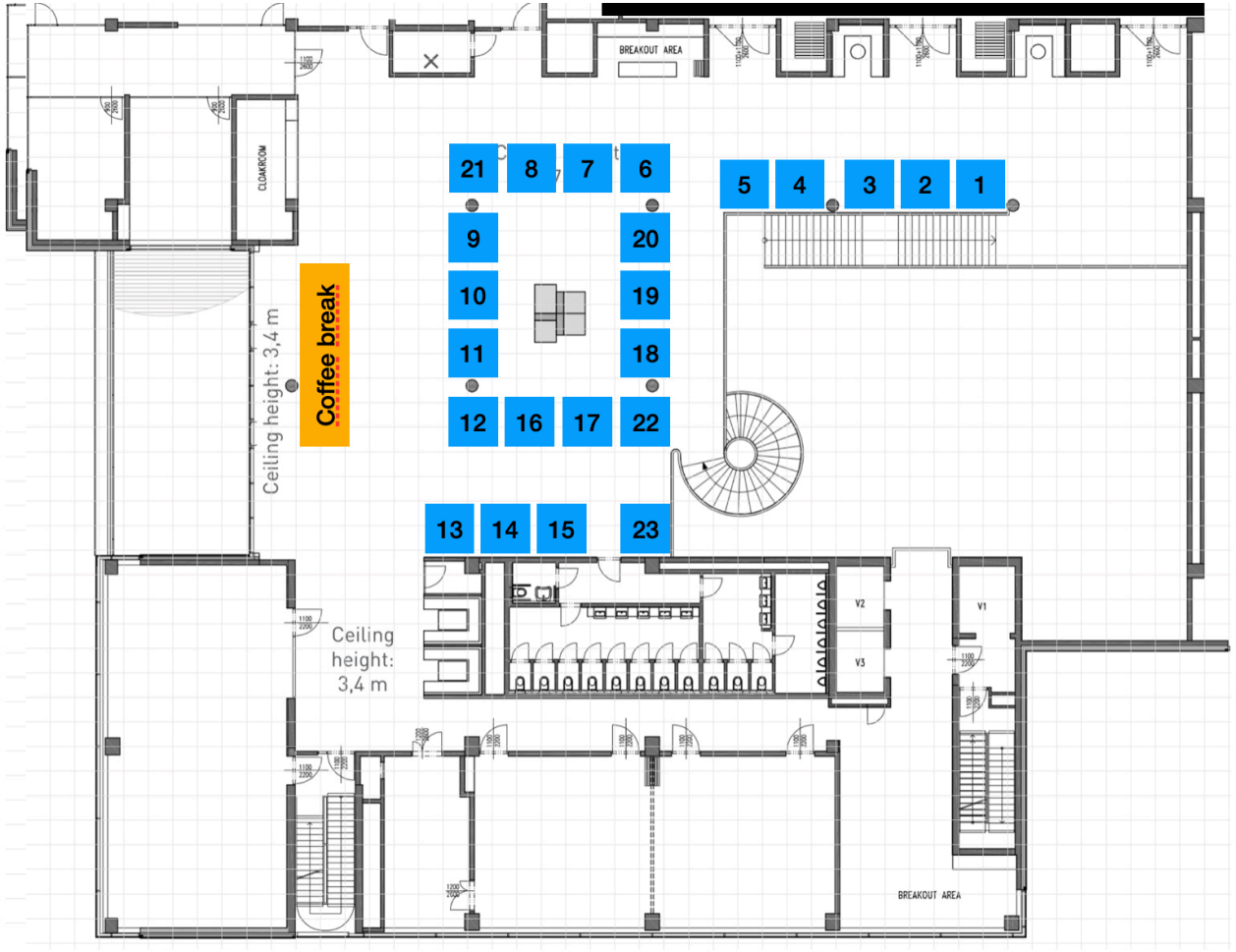
MUDr. Ondřej Horák

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. 11	Biogen (Czech Republic) s.r.o. 13	Bioxa Therapeutics, s.r.o. 19	CARDION s.r.o. 5	Danone a.s. 8	Desitin Pharma, spol. s r.o. 7	DEYMED Diagnostic s.r.o. 16	EXCEED Orphan s.r.o. 9
Ipsen Pharma s.r.o. 15	Medis Pharma s.r.o. 4	TBA 3	Novartis s.r.o. 22	Qpharma s.r.o. 12	ROCHE s.r.o. 10	Sandoz s.r.o. 21	Swixx Biopharma s.r.o. 6
UCB s.r.o. 23							



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

12. 09. 2024

	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 1. patro													Montáž stánků 18:00 - 23:00					

Registrace firem

Pátek

13. 09. 2024



Čtvrtek

12. 09. 2024

Foyer | Welcome desk

18:00-23:00

MONTÁŽ STÁNKŮ
Foyer 1. patro | Registrace firem

Pátek

13. 09. 2024

Hlavní sál | Foyer | Welcome desk

08:30-09:00 **ZAHÁJENÍ**
Hlavní sál 1. patro | Ústní sdělení

Doc. MUDr. Pavlína Danhofer, Ph.D. a prim. MUDr. Ondřej Horák

09:00-10:30 **DOPOLEDNÍ PROGRAM I (MODERUJE DOC. MUDR. PAVLÍNA DANHOFER, PH.D.)**
Hlavní sál 1. patro | Ústní sdělení

Cesta pacientů s regresem. ***doc. MUDr. Pavlína Danhofer, Ph.D.*** *(15´)*
Motorický regres *MUDr. Kateřina Slabá (12´+3)*
Autistický regres *MUDr. Lenka Knedlíková (12´+3)*
DMO vs. Expy *MUDr. Patrícia Mužlayová (12´+3)*
Progrese spasticity *MUDr. Katarína Česká, Ph.D. (12´+3)*

10:30-11:00 **KÁVOVÁ PŘESTÁVKA**
Hlavní sál 1. patro | Coffee Break

11:00-12:30 **DOPOLEDNÍ PROGRAM II (MODERUJE MUDR. LENKA JUŘÍKOVÁ)**
Hlavní sál 1. patro | Ústní sdělení

Cesta pacientů s podezřením na nervosvalové onemocnění. ***MUDr. Lenka Juříková*** *(15´)*
DMD a léčba *MUDr. Ondřej Havlín (12´+3)*
SMA a léčba Evrysdi/Zolgensma *MUDr. Lenka Juříková (12´+3)*
SMA a léčba Spinraza *MUDr. Sára Sládková (12´+3)*
Léčba a kompenzační pomůcky – pohled revizního lékaře *MUDr. Zdenka Bálintová, revizní lékař VZP (12´+3)*

12:30-13:45 **TEPLÝ BUFET**
Hlavní sál 1. patro | Coffee Break

Pátek

13. 09. 2024

Hlavní sál | Foyer | Welcome desk

13:45-15:15

ODPOLEDNÍ PROGRAM I (MODERUJE PRIM. MUDR. ONDŘEJ HORÁK)
Hlavní sál 1. patro | Ústní sdělení

Koncept epileptochirurgického programu. ***prim. MUDr. Ondřej Horák*** *(15´)*
Lezionální resekce *MUDr. Michal Ryzí, Ph.D. (12´+3)*
Nelezionální resekce *prim. MUDr. Ondřej Horák (12´+3)*
Funkční hemisferektomie *MUDr. Eva Štěpánová (12´+3)*
VNS. *MUDr. Martin Macháček (12´+3)*

15:15-16:00

ODPOLEDNÍ PROGRAM II
Hlavní sál 1. patro | Ústní sdělení

INTERAKTIVNÍ PANELOVÁ DISKUZE VŠECH ÚČASTNÍKŮ *(moderují: doc. MUDr. Hana Ošlejšková, PhD., MUDr. Petra Hanáková, MUDr. Klára Španělová)*
Pohled terénních specialistů na silná a slabá místa nastaveného systému péče, konkrétní případy z praxe aneb co všechno ještě společně můžeme zlepšovat.

16:00-16:15

ZAKONČENÍ PROGRAMU
Hlavní sál 1. patro | Ústní sdělení

16:15-17:45

KÁVA
Hlavní sál 1. patro | Oběd

Pátek

13. 09. 2024

Hlavní sál | Foyer | Welcome desk

06:00-08:00

MONTÁŽ STÁNKŮ
Foyer 1. patro | Registrace firem

18:00-20:00

DEMONTÁŽ STÁNKŮ
Foyer 1. patro | Registrace firem

Pátek

13. 09. 2024

Hlavní sál | Foyer | Welcome desk

07:45-15:00

REGISTRACE ÚČASTNÍKŮ
Welcome desk | Registrace firem a účastníků



Mimořádně vysoký podíl pacientů s nekontrolovanými fokálními záchvaty léčených ONTOZRY® dosahuje bezzáchvatovosti[1,2,3,4]

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 potahované 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 anti-epileptiky. KI: Hypersenzitivita na léčivou látku nebo na kterýkoli pomocnou látku. Vrozený syndrom krátkého QT. ZÁ: Pacienti mají být sledováni s ohledem na známky sebevražedných myšlenek a chování a pokud se u nich objeví, mají být posouzeni, aby vyhledali lékařskou pomoc. Při zahájení podávání cenobamátu ve vyšších dávkách a při rychlém zvýšování dávek byla hlášena kožní 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 a ohledně na kožní reakce. Pokud se objeví známky a příznaky naznačující tyto reakce, cenobamát má být okamžitě vysazen a má být zvažována alternativní léčba. Při podávání cenobamátu bylo pozorováno zkrácení intervalu QTcF závislé 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, závratě a hypersomnie, závrať, ataxie, 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, zákal, průjem, nauzea, zvracení, sucho v ústech, vyrážka, erytematózní vyrážka, vyrážka na kůži celého těla, makulózní vyrážka, makulopapulózní vyrážka, morbiliformní vyrážka, papulózní vyrážka, svědicí vyrážka a zvýšení jaterních enzymů. Méně časté (≥1/1 000 až <1/100): hyponatremie, sebevražedné myšlenky. IT: Současné užívání cenobamátu s jinými léčivými kterými CNS (např. alkohol, 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 (300–400 mg/den) pro dosažení účinnosti. Při souběžném podávání cenobamátu s karbamazepinem, kyselinou valproovou, lakosamidem, levetiracetamem nebo zonisamidem 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 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 clearance např. baricitinibu, cefalexinu, empagliflozinu, pemetrexedu a ritobegronu a zvyšuje jejich. Proto může souběžné podávání cenobamátu s léčivými přípravky transportovanými OAT3 vést k vyšší expozici těmto léčivým přípravkům. TL: Podávání cenobamátu se ukončí, které mohou otěhotnět, se používají antikoncepci, metoprolu (ne Ontozry (ze v těhotenství použít pouze tehdy, když klinický stav vyžaduje léčbu cenobamátem. Ženy, které mohou otěhotnět, mají používat účinné antikoncepční metody během léčby cenobamátem a jeden 4 týdny po ukončení léčby. Kojení má být během léčby přípravkem Ontozry přerušeno. DÁ: Doporučená počáteční dávka cenobamátu je 12,5 mg denně, a 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 nedostatečné optimální kontroly záchvatů lze zvýšit 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, Roma – Itálie. Reg. č.: Ontozry 12,5mg+25mg: EU/1/21/1530/001, Ontozry 50 mg: EU/1/21/1530/003, Ontozry 100 mg: EU/1/21/1530/005, Ontozry 150 mg: EU/1/21/1530/007, Ontozry 200 mg: EU/1/21/1530/009. Uchovávání: Kmenový balíček žádné zvláštní podmínky uchovávání. Datum poslední revize textu SPC: 3. 11. 2023. Přípravek je vázán na lékařský předpis a je hrazen zdravotními pojišťovnami. Seznamte se, prosím, se Souhrnem údajů o přípravku (SPC).

24-08-2512400

Reference:

1. Specchio N et al. Int J Mol Sci 2021;22(17):9338. 2. Krauss GL et al. Lancet Neurol. 2020;19(10):38–48 (incl. Supplementary Appendix). 3. Halford J.J, Edwards J.C. Acta Neurol Scand. 2020 Aug;142(2):201–207. 4. Lattanzi S, et al. Drugs. 2022;82(2):159–218.

Angelini Pharma

Angelini Pharma Česká republika s.r.o.,
Palachova náměstí 15, 625 00 Brno, www.angelinipharma.cz

HARMONIAMENTIS
www.harmoniamentis.cz

DATA Z KLINICKÝCH STUDIÍ A REÁLNÉ KLINICKÉ PRAXE LÉKU SPINRAZA™ PROKAZUJÍ, ŽE MOŽNÉ JE VÍCE[1, 2]



IS POSSIBLE*

* Možné je více

SPINRAZA™ POMÁHÁ PACIENTŮM DOSÁHNOUT VÍCE v porovnání s kontrolní skupinou a přirozeným průběhem onemocnění.[1, 2, **]

** Přípravek SPINRAZA™ prokázal v randomizovaných kontrolovaných studiích klinicky a statisticky významné zlepšení motorických funkcí v porovnání s kontrolní skupinou.[1] V podpůrných studiích a studiích z reálné klinické praxe se presymptomatičtí dětští i dospělí pacienti významně zlepšili v porovnání s přirozeným průběhem onemocnění. Jednotlivé výsledky se mohou lišit v závislosti na závažnosti onemocnění a délce léčby.[1, 2]

Reference: 1. SPC Spinraza, datum revize textu 05/2024. **2.** Coratti G, et al. Orphanet J Rare Dis. 2021;16:430.
SMA = spinální svalová atrofie.

Obrázky jsou inspirovány podobou skutečných lidí žijících se spinální svalovou atrofií a slouží pouze pro ilustraci.

Biogen

SPINRAZA™ (nusinersen) 12 mg solution for injection

ZKRÁCENÁ INFORMACE O LÉČIVÉM PŘÍPRAVKU SPINRAZA

Název přípravku: Spinraza 12 mg injekční roztok. **Složení:** Jedna injekční lahvička o objemu 5 ml obsahuje sodnou sůl nusinersenu odpovídající 12 mg nusinersenu. 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. arachnoiditida, 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. V případě podezření na arachnoiditidu je třeba provést vyšetření pomocí magnetické rezonance za účelem potvrzení arachnoiditidy a rozsahu zánětu. Po potvrzení arachnoiditidy lze místo vpichu použít až po vyloučení lokálního zánětu. 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, arachnoiditida. **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:** 05/2024.

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, www.biogen.com.cz

Biogen (Czech Republic) s.r.o., Na Pankráci 1683/127, Praha 4, 140 00, tel.: +420 255 706 200, www.biogen.com.cz
Biogen-209938, srpen 2024

▼Tento léčivý přípravek podléhá dalšímu sledování. To umožní rychlé získání nových informací o bezpečnosti.
Žádáme zdravotnické pracovníky, aby hlásili jakákoli podezření na nežádoucí účinky.

NYNÍ MŮŽETE OVLIVNIT ŽIVOT PACIENTŮ S FRIEDREICHOVOU ATAXIÍ (FA)[1]

I MALÉ VĚCI MOHOU MÍT VELKÝ VÝZNAM

PRVNÍ LÉK, KTERÝ POMÁHÁ ZPOMALIT PROGRESI FA A POMÁHÁ ZACHOVAT MOTORICKÉ FUNKCE[1, 2]

SKYCLARYS™
(omaveloxolone) 50 mg capsules



Přípravek SKYCLARYS je indikován k léčbě Friedreichovy ataxie (FA) u dospělých a dospívajících ve věku od 16 let.[1]

ZKRÁCENÁ INFORMACE O LÉČIVÉM PŘÍPRAVKU SKYCLARYS
Název přípravku: Skyclarys 50 mg tvrdé tobolky. **Složení:** Jedna tvrdá tobolka obsahuje 50 mg omaveloxolonu. Úplný seznam pomocných látek je uveden v SPC. **Terapeutické indikace:** Přípravek Skyclarys je indikován k léčbě Friedreichovy ataxie u dospělých a dospívajících ve věku od 16 let. **Dávkování a způsob podání:** Léčbu omaveloxolonem má zahájit a sledovat lékař se zkušeností v léčbě pacientů s Friedreichovou ataxií. Doporučená dávka je 150 mg omaveloxolonu (3 tvrdé tobolky, jedna o síle 50 mg) jednou denně. Pokud po užití přípravku dojde ke zvracení, nemá být lék nahrazen další dávkou. Pokud dojde k vynechání dávky, má být další dávka užita následující den jako obvykle. Nemá se užít dvojnásobná dávka, aby se nahradila vynechaná dávka. Přípravek je určen k perorálnímu podání. Omaveloxolon se má užívat nalačno nejméně 1 hodinu před jídlem nebo 2 hodiny po jídle. Tobolky přípravku Skyclarys se mají polykat celé. U pacientů, kteří nejsou schopni polykat celé tobolky, je možné tobolky přípravku Skyclarys otevřít a celý obsah nasypat na 2 polévkové lžíce jablečného pyré. Pacienti musí celou směs léčivého přípravku a jídla okamžitě zkonzumovat nalačno nejméně 1 hodinu před jídlem nebo 2 hodiny po jídle. Připravená směs se nesmí uchovávat k dalšímu použití. *Porucha funkce jater:* U pacientů s lehkou poruchou funkce jater (třída A dle Childa-Pugha) není nutná úprava dávky. U pacientů se středně těžkou poruchou funkce jater (třída B dle Childa-Pugha) se má dávka snížit na 100 mg jednou denně, přičemž je nutné pečlivě sledovat nežádoucí účinky. Pokud se objeví nežádoucí účinky, má se zvážit snížení dávky na 50 mg jednou denně. U pacientů s těžkou poruchou funkce jater (třída C dle Childa-Pugha) se nemá přípravek používat. Bezpečnost a účinnost přípravku Skyclarys u dětí a dospívajících ve věku do 16 let nebyly dosud stanoveny. **Kontraindikace:** Hypersenzitivita na léčivou látku nebo na kteroukoli pomocnou látku. **Zvláštní upozornění:** Zvýšení hladin aminotransferáz: Léčba omaveloxolonem v klinických hodnoceních s pacienty s Friedreichovou ataxií byla spojena se zvýšením hladin alaninaminotransferázy (ALT) a aspartátaminotransferázy (AST). Hladiny ALT, AST a bilirubinu mají být před zahájením léčby omaveloxolonem monitorovány jednou měsíčně během prvních 3 měsíců léčby a poté pravidelně podle klinické indikace. Pokud se hladiny ALT nebo AST zvýší na > 5 × ULN, je třeba léčbu omaveloxolonem okamžitě přerušit a co nejdříve zopakovat vyšetření funkce jater. Pokud se laboratorní abnormality stabilizují nebo ustoupí, může být podávání omaveloxolonu znovu zahájeno. Pokud se hladiny ALT nebo AST zvýší na > 3 × ULN a hladina bilirubinu se zvýší na > 2 × ULN, je třeba léčbu omaveloxolonem okamžitě přerušit a co nejdříve zopakovat vyšetření funkce jater. Ve vyšetřeních se má pokračovat podle potřeby. Jakmile se laboratorní abnormality stabilizují nebo ustoupí, může být podávání přípravku Skyclarys znovu zahájeno s odpovídající frekvencí monitorování funkce jater. Lékové interakce: Omaveloxolon je primárně metabolizován prostřednictvím CYP3A4. Souběžné používání silných nebo středně silných inhibitorů CYP3A4 může významně zvýšit systémovou expozici omaveloxolonu. Pokud se nelze vyhnout souběžnému používání silných nebo středně silných inhibitorů CYP3A4, je třeba zvážit snížení dávky omaveloxolonu a monitorování stavu pacienta. Souběžné používání omaveloxolonu se silnými nebo středně silnými induktory CYP3A4 může významně snížit expozici omaveloxolonu, což může snížit účinnost omaveloxolonu. Pacienty, kteří jsou léčeni omaveloxolonem, je třeba upozornit, aby se při užívání omaveloxolonu vyhnuli souběžnému používání induktorů CYP3A4. Pokud je to možné, je třeba zvážit alternativní léčiva. Abnormality hladin lipidů: Léčba omaveloxolonem byla spojena se zvýšením hladiny cholesterolu v lipoproteinech o nízké hustotě (LDL) a snížením hladiny cholesterolu v lipoproteinech o vysoké hustotě (HDL). Před zahájením léčby omaveloxolonem mají být vyhodnoceny parametry lipidů a během léčby mají být tyto hodnoty pravidelně monitorovány. Abnormality hladin lipidů je třeba léčit podle standardních klinických doporučení. Zvýšení hladiny natriuretického peptidu typu B (BNP): Léčba omaveloxolonem byla spojena se zvýšením hladin BNP, ale bez současného zvýšení krevního tlaku nebo přidružených příhod přetížení organismu tekutinami nebo městnavého srdečního selhání. Kardiomyopatie a diabetes mellitus jsou u pacientů s Friedreichovou ataxií časté. Hladiny BNP mají být monitorovány před léčbou a pravidelně během léčby. Pacienti mají být upozorněni na známky a příznaky městnavého srdečního selhání souvisejícího s přetížením organismu tekutinami, jako jsou náhlý přírůstek tělesné hmotnosti (≥ 1,4 kg za 1 den nebo ≥ 2,3 kg za 1 týden), periferní otoky a dušnost. Pokud se objeví známky a příznaky přetížení organismu tekutinami, má být hladina BNP (nebo NT-proBNP) monitorována a má se postupovat podle standardních klinických doporučení. Léčba přípravkem Skyclarys má být během řešení přetížení organismu tekutinami přerušena. Pokud nelze přetížení organismu tekutinami náležitě řešit, má být léčba přípravkem Skyclarys ukončena. Podle klinického posouzení se důrazně doporučuje častější sledování pacientů, kteří byli nedávno hospitalizováni z důvodu přetížení organismu tekutinami v důsledku základního onemocnění jako kardiomyopatie, diabetické CKD IV. stupně nebo jiné etiologie. Snížení tělesné hmotnosti: Léčba přípravkem Skyclarys byla spojena s mírným poklesem tělesné hmotnosti. Je třeba pacientům doporučit, aby pravidelně sledovali svou tělesnou hmotnost. Pokud dojde k nevysvětlitelnému nebo klinicky významnému poklesu tělesné hmotnosti, pacient má být dále vyšetřen. **Interakce s jinými léčivými přípravky:** Omaveloxolon je substrátem CYP3A4. Souběžné podávání silných nebo středně silných inhibitorů CYP3A4 (např. klarithromycinu, itrakonazolu, ketokonazolu, ciprofloxacinu, cyklosporinu, flukonazolu a fluvoxaminu) nebo induktorů CYP3A4 (např. karbamazepinu, fenobarbitalu, fenytoinu, primidonu, rifampicinu, třezalky tečkované a efavirenu) ovlivní farmakokinetiku omaveloxolonu. Grapefruit a grapefruitová šťáva jsou inhibitory CYP3A4, proto je třeba pacienty upozornit, aby se jejich konzumaci při užívání přípravku Skyclarys vyhnuli. **Fertilita, těhotenství a kojení:** Přípravek Skyclarys se v těhotenství a u žen ve fertilním věku, které nepoužívají antikoncepci, nemá používat. Pacientky mají před zahájením léčby přípravkem Skyclarys, během léčby a po dobu 28 dnů po jejím ukončení používat účinnou antikoncepci. Používání přípravku Skyclarys může snížit účinnost hormonální antikoncepce. Je třeba doporučit pacientkám, aby se vyhnuly souběžnému používání s kombinovanou hormonální antikoncepcí (např. ve formě tablet, náplastí, vaginálních kroužků). Ženy, které užívají hormonální antikoncepci, mají být poučeny, aby během souběžného používání a po dobu 28 dnů po ukončení užívání přípravku Skyclarys používaly alternativní metodu antikoncepce (např. nehormonální nitroděložní tělísko) nebo další nehormonální antikoncepční prostředky (např. kondomy). Údaje o přítomnosti omaveloxolonu v lidském mateřském mléce nejsou k dispozici. Riziko pro kojené děti nelze vyloučit. Přípravek Skyclarys se v období kojení nemá podávat. Údaje o účincích přípravku Skyclarys na fertilitu u člověka nejsou k dispozici. **Účinky na schopnost řídit a obsluhovat stroje:** Omaveloxolon má malý vliv na schopnost řídit nebo obsluhovat stroje. Po užití omaveloxolonu se může objevit únava. **Nežádoucí účinky:** Velmi časté: chřipka, snížená chuť k jídlu, bolest hlavy, orofaryngeální bolest, nauzea, průjem, zvracení, zvýšená hladina ALT, zvýšená hladina AST, bolest zad, svalové spazmy, únava, snížení tělesné hmotnosti. Časté: infekce močových cest, hypertriacylglycerolemie, zvýšená hladina lipoproteinů o velmi nízké hustotě, bolest horní části břicha, bolest břicha, zvýšená hladina GGT, dysmenorea, zvýšená hladina BNP. **Předávkování:** Pro přípravek Skyclarys neexistuje žádné specifické antidotum. Stav pacientů, u nichž dojde k předávkování, je nutno pečlivě sledovat a poskytnout jim odpovídající podpůrnou léčbu. **Podmínky uchovávání:** Tento léčivý přípravek nevyžaduje žádné zvláštní podmínky uchovávání. **Balení:** 50 mg: Balení obsahující 90 (1 lahvička) tvrdých tobolek. Lahvička z HDPE s polypropylenovým dětským bezpečnostním uzávěrem zapečetěná indukční fólií. **Držitel rozhodnutí o registraci:** Biogen Netherlands B.V., 1171 LP Badhoevedorp, Nizozemsko **Reg. číslo:** EU/1/23/1786/001. **Způsob úhrady a výdeje:** Výdej přípravku je vázán na lékařský předpis. Přípravek není hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění. **Datum revize textu:** 08/2024.

▼Tento léčivý přípravek podléhá dalšímu sledování. To umožní rychlé získání nových informací o bezpečnosti. 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, www.biogen.com.cz

Reference: 1. SPC léčivého přípravku Skyclarys, datum poslední revize textu 08/2024. **2.** Lynch DR et al. Ann Neurol. 2021; 89(2): 212 – 225.

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-238701, srpen 2024



Příznaky a symptomy deficitu AADC
((AADC = Deficit dekarboxylázy aromatických L-aminokyselin)

Symptomy pozorované v klinické studii 78 pacientů s diagnózou deficit AADC. [1]

Hypotonie

95%

pacientů[1]

› Nejčastější pozorovaný symptom.

Opožděný vývoj

63%

pacientův[1]

› Postihující držení hlavy, sed, lezení anebo stání.[1,5]
› Opožděný nástup řeči.[1,5]

Okulogyrické krize

86%

pacientů

› Epizody přetrvávajících vyvrácení očí vzhůru anebo do stran, rytmické orofaciální pohyby, zadní a boční flexe krku, protruze jazyka a křeče čelistí.[3]
› Tyto charakteristické symptomy mohou trvat pár sekund anebo i několik hodin. Objevují se víckrát během dne anebo týdne.[4]
› **Pacienti mohou mít i jiné poruchy pohybu jako dystonie (53 %) a/anebo hypokineze (32 %).[1]**

Autonomní symptomy
pozorované u pacientů[1]

› Hyperhidróza (65%).
› Hypersalivace (41%).
› Ptóza (39%).
› Nazální kongesce (31%).

V případě, že máte pacienta, který má některý z výše uvedených příznaků, kontaktujte Doc. MUDr. Hana Ošlejšková, Ph.D. Dětská nemocnice FN Brno, Klinika dětské neurologie Masarykovy univerzity | Lékařské fakulty a FN Brno, tel.: 532 234 919, email: oslejskova.hana@fnbrno.cz a požádejte o zaslání testu suché kapky krve.

*Vysvětlení AADC = Deficit dekarboxylázy aromatických L-aminokyselin

BIOXA Therapeutics
Medicína moderných technológií

info@bioxa.sk
www.bioxa.sk

Roche

Evrysdi®
risdiplam

Přípravek k perorálnímu podání určený k léčbě SMA[1]

Kontinuální zlepšení nebo stabilizace motorických funkcí[2]



TEĎ UŽ MĚ NIC NEZASTAVÍ.

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 jakákoliv podezření na nežádoucí účinky na www.sukl.cz/nahlasit-nezadouci-ucinek.

REFERENCE: 1. SPC Evrysdi, datum poslední revize textu 16. 8. 2023.
2. Maryam Oskoui 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-00001530

Poznámky:

Poznámky:

Platinový partner

Biogen

Zlatý partner

NOVARTIS

Bronzový partner

Angelini Pharma

BIOXA Therapeutics
Medicína moderných technológií

EXCEED ORPHAN

Roche

Swixx BioPharma
Modern Medicines for All

ucb

Vystavovatel

cardion

DANONE
ONE PLANET. ONE HEALTH

DESITIN
SUCCESS IN CNS

Degmed
DIAGNOSTIC

IPSEN

MEDIS healthy values

Qpharma
POMÁHÁME LÉČIT

SANDOZ

Děkujeme všem zúčastněným firmám za podporu této akce