

Program



27. BRNĚNSKÉ SETKÁNÍ DĚTSKÝCH NEUROLOGŮ A PEDIATRŮ

12. září 2025

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



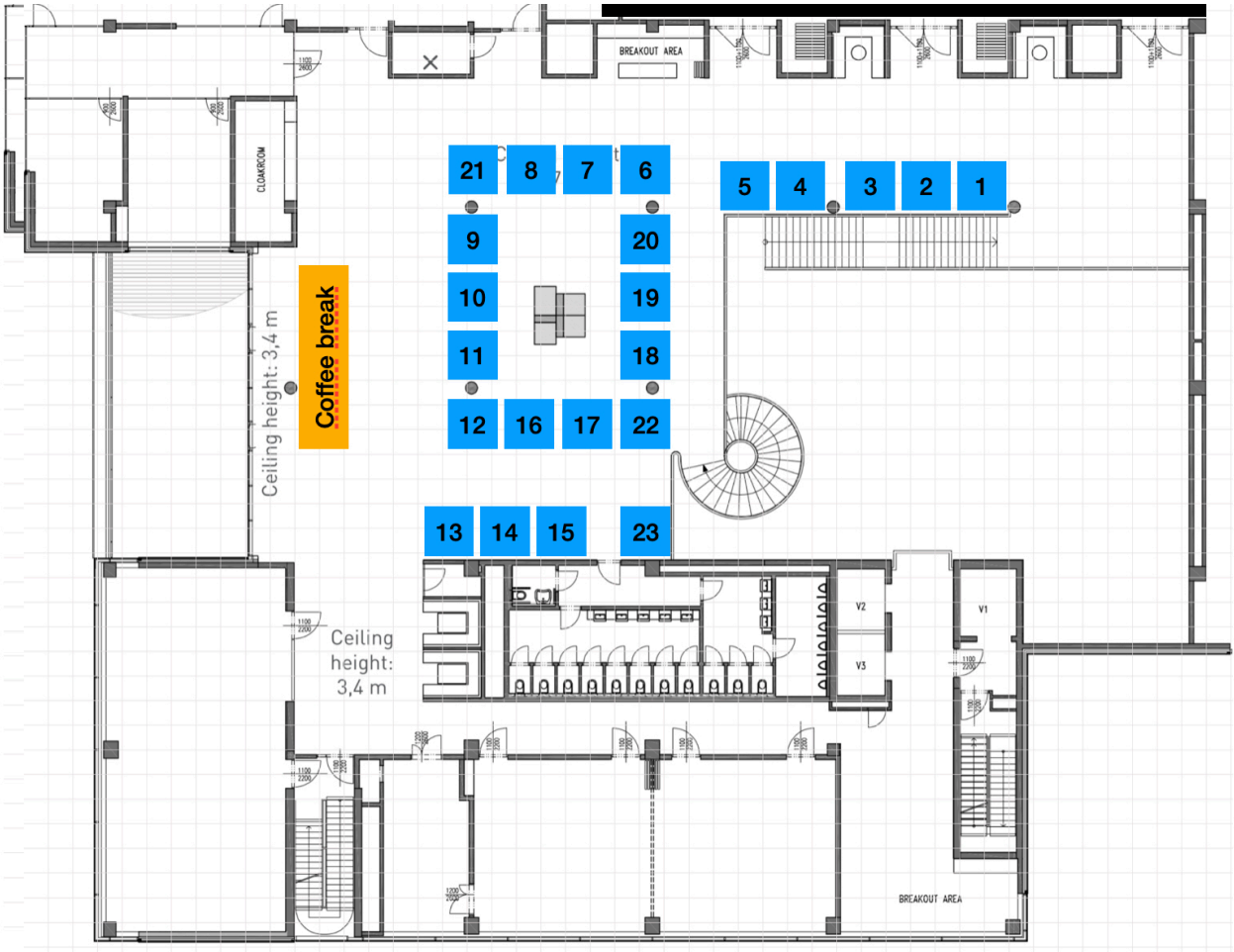
MUDr. Ondřej Horák

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.	17	Biogen (Czech Republic) s.r.o.	13	CARDION s.r.o.	19	Danone a.s.	7	Desitin Pharma, spol. s r.o.	15	DEYMED Diagnostic s.r.o.	21	EXCEED Orphan s.r.o.	12	Ipsen Pharma s.r.o.	16
Medis Pharma s.r.o.	23	NeuraxPharm Bohemia s.r.o.	9	Novartis s.r.o.	11	Qpharma s.r.o.	14	ROCHE s.r.o.	18	Sandoz s.r.o.	8	Swixx Biopharma s.r.o.	6	UCB s.r.o.	10



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

Oficální stránky akce na www.mhconsulting.cz.

QR kód níže

Program naleznete po nasazenování QR kódu níže:



12. 09. 2025

12. 09. 2025

	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 1.patro			Zahájení.. 08:30 - 08:45	Blok I 08:45 - 10:45			Blok II 11:15 - 12:55			Blok III 14:00 - 16:20	Interaktiv.. 16:20 - 16:35							
Občerstvení					Přestávka a .. 10:45 - 11:15			Obědový raut 13:00 - 14:00					Přestávka .. 16:35 - 17:05					
Foyer 1. patro	Montáž stánků 06:00 - 08:00			Registrace účastníků 07:45 - 14:30											Demontáž stánků 17:30 - 19:30			
	Registrace firem	Registrace firem a účastníků		Coffee Break	Oběd	Jiné	Ústní sdělení											

Pátek

12. 09. 2025

Hlavní sál Občerstvení Foyer

08:30-08:45



ZAHÁJENÍ
Hlavní sál 1.patro | Jiné
O. Horák, P. Danhofer

08:45-10:45



BLOK I
Hlavní sál 1.patro | Ústní sdělení
O. Horák

INDIKACE A MOŽNOSTI EPILEPTOCHIRURGICKÉHO PROGRAMU O. Horák	30 min
DRAVETOVÉ SYNDROM K. Španělová	30 min
LENNOX-GASTAUTŮV SYNDROM M. Ryzí	30 min
KOMPLEX TUBERÓZNÍ SKLERÓZY M. Macháček	30 min

Pátek

12. 09. 2025

📍 **Hlavní sál** Občerstvení Foyer

11:15-12:55



BLOK II
📍 Hlavní sál 1.patro | Ústní sdělení
K. Česká

DĚTSKÁ MOZKOVÁ OBRNA K. Česká	30 min
DUCHENNOVA SVALOVÁ DYSTROFIE O. Havlín	30 min
SPINÁLNÍ SVALOVÁ ATROFIE A. Podsedníková	40 min

Pátek

12. 09. 2025

Hlavní sál Občerstvení Foyer

14:00-16:20



BLOK III
Hlavní sál 1.patro | Ústní sdělení
P. Danhofer

ROZTROUŠENÁ SKLERÓZA P. Hanáková	30 min
FUNKČNÍ NEUROLOGICKÉ PORUCHY P. Danhofer	30 min
EXTRAPYRAMIDOVÁ ONEMOCNĚNÍ/HLUBOKÁ MOZKOVÁ STIMULACE (DBS) P. Všianská	30 min
NEUROFIBROMATÓZA TYPU 1 P. Danhofer	20 min
PAS P. Danhofer	30 min

16:20-16:35



INTERAKTIVNÍ DISKUZE VŠECH ÚČASTNÍKŮ A ZAKONČENÍ PROGRAMU
Hlavní sál 1.patro | Jiné

Pátek

12. 09. 2025

Hlavní sál  Občerstvení  Foyer

10:45-11:15		PŘESTÁVKA NA KÁVU  Občerstvení Coffee Break
13:00-14:00		OBĚDOVÝ RAUT  Občerstvení Oběd
16:35-17:05		PŘESTÁVKA NA KÁVU  Občerstvení Coffee Break

Pátek

12. 09. 2025

Hlavní sál Občerstvení  Foyer

06:00-08:00



MONTÁŽ STÁNKŮ
 Foyer 1. patro | Registrace firem

07:45-14:30



REGISTRACE ÚČASTNÍKŮ
 Foyer 1. patro | Registrace firem a účastníků

17:30-19:30



DEMONTÁŽ STÁNKŮ
 Foyer 1. patro | Registrace firem

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 presymptomatictí 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 01/2025. **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.



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 dlouhý 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 známa a pokračování v léčbě po tomto zákroku je nutné pečlivě zvážit. **Interakce s jinými léčivými přípravky:** Nebyly provedeny žádné studie interakcí. *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 léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Přípravek je plně hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění jako zvlášť účtovaný léčivý přípravek (ZULP). **Datum revize textu:** 01/2025. 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, březen 2025



Průkopníci v léčbě neurologických onemocnění



Miliony lidí po celém světě jsou postiženy **roztroušenou sklerózou, Alzheimerovou chorobou či Parkinsonovou nemocí**. Mnoho lidí trpí také méně častými onemocněními, jako je **spinální muskulární atrofie (SMA), amyotrofická laterální skleróza (ALS)** nebo **Friedreichova ataxie**.

Od roku 1978, kdy Charles Weissmann, Heinz Schaller, Kenneth Murray a nositelé Nobelovy ceny Walter Gilbert a Phillip Sharp založili společnost Biogen jako jednu z prvních globálních biotechnologických společností, provádí Biogen inovativní vědecký výzkum. Cílem výzkumu, na který se společnost zaměřuje v posledním desetiletí, je najít způsob, jak vyléčit závažná neurologická onemocnění.



S pokorou vnímáme příležitost měnit životy lidí.



Biogen (Czech Republic) s.r.o.
Na Pankráci 1683/127, Praha 4, 140 00
tel.: +420 255 706 200, www.biogen.com.cz
Biogen-233162, leden 2024



zolgensma®
(onasemnogene
abeparvovec)

Kontinuální a setrvalá exprese proteinu SMN po jediné dávce^{*1,2}

ZOLGENSMA je genová terapie, která řeší
hlavní příčinu SMA^{*1} a prokazatelně nabízí:

- **Přetrvávající účinnost díky přežití bez příhod^{†‡2}**
- **Nezávislost na permanentní ventilační podpoře
až po dobu 9,6 let od podání dávky^{†‡2}**
- **Udržení dosažených motorických milníků
až po dobu 9,6 let od podání dávky^{†§**2}**

ZOLGENSMA je indikována k léčbě:¹

- pacientů s 5q spinální muskulární atrofií (SMA)
s bialelickou mutací genu *SMN1* a klinicky stanovenou
SMA 1. typu, nebo
- pacientů s 5q SMA a bialelickou 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 jakákoli podezření na nežádoucí účinky. Podrobnosti o hlášení nežádoucích účinků viz Souhrn údajů o přípravku, bod 4.8.

Zkrácená informace o léčivém přípravku • **Zolgensma** 2×10^{13} genomů vektoru/ml infuzní roztok • **Složení:** Jeden ml obsahuje onasemnogen abeparvovec s nominální koncentrací 2×10^{13} genomů vektoru (vg). **Indikace:** Přípravek Zolgensma je indikován k léčbě pacientů s 5q spinální muskulární atrofií (SMA) s bialelickou mutací genu *SMN1* a klinicky stanovenou SMA 1. typu, nebo pacientů s 5q SMA s bialelickou mutací genu *SMN1* a až 3 kopiemi genu *SMN2*. **Dávkování:** Pouze k jednorázové intravenózní infuzi. Pacienti dostanou dávku v nominální výši $1,1 \times 10^{14}$ vg/kg onasemnogenu abeparvoveku. Celkový objem je dán tělesnou hmotností pacienta. **Kontraindikace:** Hypersenzitivita na léčivou látku nebo na kteroukoli pomocnou látku. **Zvláštní upozornění/opatření:** Před infuzí onasemnogenu abeparvoveku je třeba provést test na přítomnost protilátek proti AAV9. Pokud bude jejich titer nad 1:50, testování lze opakovat. Zatím není známo, zda a za jakých podmínek lze onasemnogen abeparvovec bezpečně a účinně podávat za přítomnosti protilátek proti AAV9 s titrem nad 1:50. *Během infuze onasemnogenu abeparvoveku a/nebo krátce po ní se objevily reakce související s infuzí, včetně anafylaktických reakcí. U pacientů je třeba pečlivě sledovat klinické známky a příznaky reakcí souvisejících s infuzí. * Při použití onasemnogenu abeparvoveku bylo hlášeno akutní závažné poškození jater a akutní selhání jater, včetně fatálních případů, obvykle do 2 měsíců po infuzi a navzdory podávání kortikosteroidů před a po infuzi. * Po infuzi onasemnogenu abeparvoveku bylo pozorováno zvýšení hladin srdečního troponinu I. Zvýšené hladiny troponinu I, které jsou pozorovány u některých pacientů, mohou znamenat potenciální poškození tkáně myokardu. Na základě těchto zjištění a pozorované srdeční toxicity u myši mají být hladiny troponinu I sledovány před infuzí onasemnogenu abeparvoveku a monitorovány podle klinické indikace. * V souvislosti s podáním onasemnogenu abeparvoveku bylo hlášeno několik případů trombotické mikroangiopatie (TMA). Případy se obecně vyskytly během prvních dvou týdnů po infuzi onasemnogenu abeparvoveku. TMA je akutní a život ohrožující stav charakterizovaný trombocytopenií a mikroangiopatickou hemolytickou anémií. Byly hlášeny případy s fatálními následky. Současně bylo také pozorováno akutní poškození ledvin. V některých případech byla hlášena souběžná aktivace imunitního systému. * Trombocytopenie je klíčovým projevem TMA, proto je třeba pečlivě sledovat počty trombocytů během prvních tří týdnů po infuzi a pravidelně poté. * V případě trombocytopenie je třeba okamžitě provést další vyšetření, včetně diagnostiky hemolytické anémie a renální dysfunkce. Pokud pacienti vykazují klinické známky, příznaky nebo laboratorní nálezy shodné s TMA, je nezbytné se okamžitě poradit s odborníkem, aby byla TMA léčena podle klinické indikace. Pečovatelé mají být informováni o známkách a příznacích TMA a mají být poučeni, aby vyhledali neodkladnou lékařskou péči, pokud se takové příznaky objeví. Existuje teoretické riziko tumorogenity v důsledku integrace vektorové DNA AAV do genomu. **Interakce:** Nebyly provedeny žádné studie interakcí. Zkušenosti s používáním onasemnogenu abeparvoveku u pacientů užívajících hepatotoxické léčivé přípravky nebo hepatotoxické látky jsou omezené. Bezpečnost onasemnogenu abeparvoveku u těchto pacientů nebyla dosud stanovena. Zkušenosti se souběžným podáváním přípravků cenných na 5q SMA jsou omezené. **Těhotenství a kojení:** Data získaná u člověka týkající se použití během těhotenství a kojení nejsou k dispozici a studie fertility a reprodukční studie u zvířat nebyly provedeny. **Nežádoucí účinky:** Velmi časté: Zvýšení hladiny jaterních enzymů. Časté: Trombocytopenie (zahrnuje trombocytopenii a snížený počet trombocytů), zvracení, hepatotoxicita (zahrnuje fatální případy), pyrexie, zvýšená hladina troponinu. **Další nežádoucí účinky – viz úplná informace o přípravku.** **Podmínky uchovávání:** Uchovávejte a transportujte zmrazené ($\leq -60^\circ\text{C}$). Uchovávejte v chladničce ($2-8^\circ\text{C}$) okamžitě po přijetí. Uchovávejte v původním obalu. Před uložením přípravku do chladničky se musí na původní krabici vyznačit datum příjmu. Po rozmrazení se nesmí přípravek znovu zmrazovat. Jakmile je objem dávky natažen do injekční stříkačky, musí se během 8 hodin provést aplikace infuze. **Zvláštní opatření pro likvidaci přípravku a pro zacházení s ním:** Tento léčivý přípravek obsahuje geneticky modifikované organismy. Je třeba dodržovat příslušná opatření pro zacházení, likvidaci nebo náhodnou expozici. **Dostupné lékové formy/velikosti balení:** Přípravek se dodává ve dvou různých velikostech objemu injekční lahvičky, 5,5 ml nebo 8,3 ml. Dávka onasemnogenu abeparvoveku a přesný počet injekčních lahviček se vypočítá dle tělesné hmotnosti pacienta. **Držitel rozhodnutí o registraci:** Novartis Europharm Limited, Vista Building, Elm Park, Merlion Road, Dublin 4, Irsko. **Registrační číslo:** EU/1/20/1443/001-037. **Datum registrace/prodloužení registrace:** 18.5.2020/17.5.2022. **Datum poslední revize textu SPC:** 28.03.2025. **Poznámka:** Dříve než lék předepíšete, přečtěte si pečlivě úplnou informaci o přípravku. **Přípravek je poskytován při ústavní péči (hospitalizace) a je plně hrazen ze zdravotního pojištění.** * Všimněte si prosím změny (změn) v informacích o léčivém přípravku.

* ZOLGENSMA je léčivý přípravek pro genovou terapii, který je navržen jako vektor s funkční kopii genu *SMN1* pro konstitutivní expresi lidského proteinu SMN. Očekává se, že poskytnutím alternativního zdroje pro expresi proteinu SMN se podpoří přežití a funkce transdukovaných motoneuronů. ¹Hlášeno k 1. červenci 2024. Pacienti, kteří obdrželi navrhovanou terapeutickou dávku ($1,1 \times 10^{14}$ vg/kg; n = 10), byli sledováni až po dobu 9,6 let (průměrná doba sledování 8,3 let). 5 z těchto 10 pacientů předčasně ukončilo sledování ve studii a jsou pro ně k dispozici pouze data do ukončení sledování. ²Všichni pacienti (10/10), kteří obdrželi navrhovanou terapeutickou dávku ($1,1 \times 10^{14}$ vg/kg), přežili a byli bez trvalé ventilace. ³Při posledním sběru dat všichni pacienti, kteří obdrželi navrhovanou terapeutickou dávku ($1,1 \times 10^{14}$ vg/kg), udrželi dříve dosažené motorické milníky. ⁴†††70% (7/10) pacientů dostávalo přídatnou léčbu (nusinersen a/nebo risdiplam) před vstupem do nebo během studie; 6 pacientů stále dostávalo přídatnou léčbu při posledním sběru dat.

Reference: 1. Souhrn údajů o přípravku ZOLGENSMA (onasemnogen abeparvovec), datum poslední revize textu 28. března 2025. 2. Waldrop MA, et al. Prezentace posteru #P278 na: Muscular Dystrophy Association Clinical and Scientific Conference: 16-19. března 2025, Dallas, Texas, USA. 3. Mendell JR, et al. Prezentace posteru na: Muscular Dystrophy Association Clinical and Scientific Conference: 19-22. března 2023, Dallas, Texas, USA. 4. Mendell JR et al. JAMA Neurol. 2021;78:834-41.

SMA – spinální muskulární atrofi; SMN – protein nezbytný pro přežívání motoneuronu.

Novartis s. r. o., Na Pankráci 1724/129, 140 00 Praha 4

Tel.: +420 225 775 111, www.novartis.cz, info.cz@novartis.com



NOVARTIS | Reimagining Medicine

CZ/FA-11412328/04/2025



**Přípravek k perorálnímu podání
určený k léčbě SMA¹**

**Kontinuální zlepšení nebo
stabilizace motorických funkcí²**



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: Risdiplam. **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 zkušeností 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 0,36 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. Pacienti 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 vodorovné 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 Souhrnnu 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 seznámte 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 jakýkoliv podezření na nežádoucí účinky na www.sukl.cz/nahlasit-nezadouci-ucinek.

REFERENCE: 1. SPC Evrysdi, datum poslední revize textu 16. 8. 2023. Roche s.r.o., Futurama Business Park Bld F, Sokolovská 685/136f 186 00 Praha 8, tel.: +420 220 382 111, www.roche.cz
2. Maryam Oskoui et al, SUNFISH Part 2, MDA Conference 2021



MACZ.000101530

K LÉČBĚ ZÁCHVATŮ SPOJENÝCH S

LENNOXOVÝM-GASTAUTOVÝM SYNDROMEM

U PACIENTŮ OD 2 LET

Fintepla[®]
(fenfluramin)
2,2 mg/ml perorální roztok

ZMĚŇTE JEJICH SMĚR s léčivým přípravkem FINTEPLA

Pacienti léčení přípravkem Fintepla[®] dosáhli podle investigátorů*
a pečovatelů† klinicky významných zlepšení ve škále CGI-I.

Přípravek Fintepla[®] (fenfluramin) je indikován k léčbě epileptických záchvatů spojených se syndromem Dravetové a Lennoxovým-Gastautovým syndromem jako přídatná terapie k dalším antiepileptikům u pacientů od 2 let.¹

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

*Investigátoři: 0,7 mg/kg/den, n=21 (26 %), p=0,001; 0,2 mg/kg/den, n=17 (20 %), p=0,01; placebo, n=5 (6 %)†
†Pečovatelé: 0,7 mg/kg/den, n=27 (34 %), p<0,001; 0,2 mg/kg/den, n=23 (27 %), p<0,001; placebo, n=4 (5 %)
Vybrazen je skutečný pacient. Individuální reakce pacienta na léčbu se může lišit a obrázek je pouze ilustrační.

Zkrácená informace o přípravku

Fintepla 2,2 mg/ml perorální roztok. Složení: Jeden ml obsahuje fenfluraminum 2,2 mg (jako fenfluraminu hydrochloridum 2,5 mg). **Indikace:** Léčba epileptických záchvatů spojených se syndromem Dravetové a Lennoxovým-Gastautovým syndromem jako přídatná terapie k dalším antiepileptikům u pacientů od 2 let. **Dávkování:** Podávání přípravku Fintepla má zahájit a dohlížet na něj lékař se zkušenostmi v léčbě epilepsie. **Pediatrická populace (dětí od 2 let) a dospělá populace: Bez stiripentolu:** počáteční dávka - 0,1 mg/kg užívaný dvakrát denně (0,2 mg/kg/den), 7. den - 0,2 mg/kg dvakrát denně (0,4 mg/kg/den), 14. den - 0,35 mg/kg dvakrát denně (0,7 mg/kg/den), maximální doporučená dávka - 26 mg (13 mg dvakrát denně, tj. 6,0 ml dvakrát denně). **Se stiripentolem:** počáteční dávka - 0,1 mg/kg užívaný dvakrát denně (0,2 mg/kg/den), 7. den - udržovací dávka 0,2 mg/kg dvakrát denně (0,4 mg/kg/den), 14. den - neuplatňuje se, maximální doporučená dávka - 17 mg (8,6 mg dvakrát denně, tj. 4,0 ml dvakrát denně) - více viz SmPC. Přípravek Fintepla se podává perorálně a lze jej užívat s jídlem nebo bez něj. **Kontraindikace:** Hypersenzitivita na léčivou látku nebo na kteroukoli pomocnou látku. Onemocnění aortální nebo mitrální srdeční chlopně. Plicní arteriální hypertenze. Období 14 dnů od podání inhibitorů monoaminoxidázy kvůli zvýšenému riziku serotoninového syndromu. **Zvláštní upozornění a opatření při používání:** Onemocnění aortální nebo

mitrální srdeční chlopně a plicní arteriální hypertenze. Vzhledem k hlášeným případům onemocnění srdečních chlopní a plicní arteriální hypertenze, které mohly být způsobeny fenfluraminem ve vyšších dávkách podávaným k léčbě obezity u dospělých, se musí provádět monitorování srdce pomocí echokardiografie. K onemocnění srdečních chlopní a plicní arteriální hypertenzi může rovněž dojít při dávkách používaných k léčbě syndromu Dravetové a Lennoxova-Gastautova syndromu - více viz SmPC. **Snížená chuť k jídlu a pokles tělesné hmotnosti.** Tělesnou hmotnost pacienta je třeba sledovat. Byl vytvořen program kontrolovaného přístupu za účelem 1) zabránění použití mimo indikaci ke kontrole tělesné hmotnosti u obézních pacientů a 2) potvrzení, že předepisující lékaři byli informováni o nutnosti pravidelného monitorování srdce u pacientů užívajících přípravky Fintepla. **Somnolence.** Fenfluramin může způsobit somnolenci. **Sebevražedné chování a myšlenky.** U některých pacientů léčených antiepileptiky v různých indikacích byly hlášeny případy sebevražedných představ a chování. **Serotoninový syndrom.** Stejně jako u jiných serotonergních látek se může při léčbě fenfluraminem objevit serotoninový syndrom, potenciálně život ohrožující stav, zejména při souběžném užívání dalších serotonergních látek (včetně SSRI, SNRI, tricyklických antidepresiv nebo triptanů); látek, které narušují metabolismus serotoninu, jako jsou MAOI; nebo antipsychotik, která mohou ovlivnit serotonergní neurotransmiterové systémy. Při podezření na serotoninový syndrom je třeba zvážit snížení dávky nebo přerušení léčby přípravkem Fintepla a/nebo jinými serotonergními přípravky. **Zvýšená frekvence záchvatů.** Stejně jako u jiných antiepileptik může při léčbě fenfluraminem dojít ke klinicky významnému zvýšení frekvence záchvatů, které může vyžadovat úpravu dávky fenfluraminu a/nebo souběžně podávaných antiepileptik nebo ukončení léčby fenfluraminem, pokud je poměr přínosů a rizik nepřiznivý. **Cyproheptadin.** Cyproheptadin je silný antagonist serotoninových receptorů, a proto může snížit účinnost fenfluraminu. **Glaukom.** Fenfluramin může způsobit mydriázu a může urychlit rozvoj glaukomu s uzavřeným úhlem. U pacientů s akutním snížením zrakové ostrosti ukončete léčbu. Zvažte ukončení léčby, jestliže se objeví bolest oka a není možné zjistit jiný důvod. **Účinek inductorů CYP1A2 a CYP2B6.** Souběžné podávání se silnými induktory CYP1A2 nebo CYP2B6 sníží plazmatické koncentrace fenfluraminu, což může snížit účinnost fenfluraminu - více viz SmPC. **Účinek inhibitorů CYP1A2 nebo CYP2D6.** Zahájení souběžné léčby může mít za následek zvýšenou expozici fenfluraminu. Je nutno sledovat výskyt nežádoucích účinků a může být zapotřebí snížit dávku. **Interakce:** Farmakodynamické interakce s jinými látkami tlumícími centrální nervový systém zvyšují riziko zhoršeného účinku centrálního nervového systému - více viz SmPC. **Fertilita, těhotenství a kojení:** Podávání přípravku Fintepla v těhotenství se z preventivních důvodů nedoporučuje. Riziko pro kojení dětí nelze vyloučit. Nebyly zaznamenány žádné účinky fenfluraminu na lidskou fertilitu při klinických dávkách až 104 mg/den. **Nežádoucí účinky: Velmi časté:** snížená chuť k jídlu, somnolence, průjem, únava, **časté:** bronchitida, abnormální chování, agresivita, agitace, insomnie, výkyvy nálady, ataxie, hypotonie, letargie, epileptický záchvat, status epilepticus, tremor, zácpa, zvýšená tvorba slin, zvracení, vyrážka, pokles tělesné hmotnosti, snížená hladina glukózy v krvi, zvýšená hladina prolaktinu v krvi. **Doba použitelnosti:** 4 roky. **Doba použitelnosti po prvním otevření:** do 3 měsíců. **Zvláštní opatření pro uchovávání:** Tento léčivý přípravek nevyžaduje žádné zvláštní podmínky uchovávání. Chraňte před chladem nebo mrazem. **Dostupné lékové formy a velikosti balení:** Lahvička obsahující 120 ml perorálního roztoku, adaptér na lahvičku, dvě 3ml stříkačky pro perorální podání se stupnicí s 0,1ml dílky a dvě 6ml stříkačky se stupnicí s 0,2ml dílky. **Držitel rozhodnutí o registraci:** UCB Pharma S.A., Belgie Registrační čísla: EU/1/20/1491/002. **Datum revize textu:** 13. 3. 2025. Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Přípravek je hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění v indikaci léčby epileptických záchvatů spojených se syndromem Dravetové a s Lennoxovým-Gastautovým syndromem. Podrobné údaje najdete v Souhrnu údajů o přípravku a na <https://sukl.gov.cz/>. Podrobné údaje najdete v Souhrnu údajů o přípravku. **Přípravek Fintepla je předepisován a vydáván v souladu s programem kontrolovaného přístupu k přípravku Fintepla.**

Reference:

1. Fintepla[®] (fenfluramin) Souhrn údajů o přípravku; Datum poslední revize textu: 13. března 2025.
2. Sullivan J, et al. Fenfluramine HCl (Fintepla[®]) provides long-term clinically meaningful reduction in seizure frequency: Analysis of an ongoing open-label extension study. Epilepsia. 2020;61(11):2396-404.

UCB s.r.o.

Jankovcova 1518/2, 170 00 Praha 7
tel: +420 221 773 442

e-mail: UCBCares.CZ@ucb.com

www.ucb.cz

CZ-FA-2500083 Datum přípravy: srpen 2025

UCBCares[®]
About People

ucb Inspired by patients.
Driven by science.

Platinový partner



Zlatý partner



Stříbrný partner



Bronzový partner



Vystavovatel



SANDOZ

Děkujeme všem zúčastněným firmám za podporu této akce