Program



4. MOTOLSKÉ ODPOLEDNE NEUROMUSKULÁRNÍCH KAZUISTIK

11. února 2026

Malá pravá posluchárna 2.LF UK v budově ředitelství FN Motol, S1

Záštita

Neurologická klinika 2. LF UK a FN Motol

Pořadatel

MH Consulting s.r.o. ve spolupráci s Neurologickou klinikou 2. LF UK a FN Motol

Prezident kongresu



MUDr. Radim Mazanec

Organizační výbor

MH Consulting s.r.o.
Narcisová 2850
10600 Praha 10
www.mhconsulting.cz

Partneři a vystavovatelé

Biogen (Czech Republic) s.r.o. 4	CSL Behring s.r.o. 5	DEYMED Diagnostic s.r.o. 6	Grifols s.r.o. 7	Linde Gas a.s. 1	Novartis s.r.o. 8	ROCHE s.r.o. 3	Takeda Pharmaceuticals Czech Republic s.r.o. 2

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:

Středa

11. 02. 2026



Středa

11. 02. 2026

Malý přednáškový sál

13:00-14:00 **REGISTRACE ÚČASTNÍKŮ A FIREM**
Malý přednáškový sál | Registrace firem a účastníků

14:00-15:30 **BLOK I**
Malý přednáškový sál | Ústní sdělení

ZAHÁJENÍ: ÚVODNÍ SLOVO
Mazanec R., Baumgartner D.

JAK POZNAT, KDY LÉČBA SMA NENÍ ÚČINNÁ 20 + 10 min
Haberlová J.

PODIVUHODNÝ PŘÍBĚH MOTORKÁŘE SE SMUTNÝM KONCEM A PUKLÝM SRDCEM 20 + 10 min
Matějová K.

SNADNÁ DIAGNÓZA, KDYŽ SE NA NÍ POMYSLÍ 20 + 10 min
Týblová M.

15:30-16:00 **OBČERSTVENÍ**
Malý přednáškový sál | Coffee Break

Středa

11. 02. 2026

Malý přednáškový sál

16:00-17:40 **BLOK II**

Malý přednáškový sál | Ústní sdělení

TIME IS NERVE - VÝZNAM VČASNÉ CHIRURGICKÉ REVIZE U NEURALGICKÉ AMYOTROFIE 20 + 10 min
Brušáková Š.

DLOUHÁ CESTA K DIAGNÓZE ČASTÉ MYOPATIE 20 + 10 min
Drašnarová H.

MYOTONICKÉ DYSTROFIE:UZDRAVIT NEUMÍME, ALE ÚČINNĚ POMÁHAT ANO 20 + 10 min
Mensová L.

17:40-17:45 **ZÁVĚR**

Malý přednáškový sál | Jiné

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 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.

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 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

Biogen®

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®

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

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®
(onasemnogene abeparvovec)

5 let na trhu



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 abeparvovek 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 × 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 titr nad 1:50, testování lze opakovat. Zatím není známo, zda a za jakých podmínek lze onasemnogen abeparvovek 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 myší 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 anemií. 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 anemie 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 cílených 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 (≤ -60 °C). Uchovávejte v chladničce (2–8 °C) okamžitě po přijetí. Uchovávejte v původním obalu. Před uložením přípravku do chladničky se musí na původní krabičce 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, Merrion 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 kopií 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. †Hlášeno k 1. červenci 2024. Pacienti, kteří obdrželi navrhovanou terapeutickou dávku (1,1 × 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.[2] ‡Všichni pacienti (10/10), kteří obdrželi navrhovanou terapeutickou dávku (1,1 × 10[14] vg/kg), přežili a byli bez trvalé ventilace.[2,3] §Při posledním sběru dat všichni pacienti, kteří obdrželi navrhovanou terapeutickou dávku (1,1 × 10[14] vg/kg), udrželi dříve dosažené motorické milníky.[2-4] **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.[2]

Reference: 1. Souhrn údajů o přípravku ZOLGENSMA (onasemnogen abeparvovek), 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 atrofie; **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

CZ/FA-11412328/04/2025

NOVARTIS | Reimagining Medicine







Evrysdi®
risdiplam

Evrysdi je jediný léčivý přípravek, který **díky dennímu perorálnímu podávání zajišťuje trvalé zvýšení funkčního a stabilního proteinu SMN v centrální i periferní nervové soustavě.** Této stabilní produkce dosahuje u široké a heterogenní populace pacientů s SMA typu 1–3, a to bez ohledu na jejich předchozí léčbu.[1]

Život se SMA nekončí – může být aktivní, plný zážitků a inspirace. Díky moderní péči, odhodlání a podpoře je možné překonat hranice, které dříve vypadaly jako nepřekročitelné.

Life in action.

Roche

Evrysdi®
risdiplam

Life in action.

Reference: 1. SPC Evrysdi, datum poslední revize textu 8. 1. 2026

Zkrácená informace o přípravku EVRYSDI 0,75 mg/ml prášek pro perorální roztok, EVRYSDI 5 mg potahované tablety
Účinná látka: Risdiplamum **Indikace:** Léčba spinální svalové atrofie (SMA) vázané na dlouhé raménko 5. chromozomu (5q) u pacientů s klinickou diagnózou SMA 1. typu, 2. typu nebo 3. typu nebo s jednou až čtyřmi kopiemi genu *SMN2*. **Dávkování:** Léčba risdiplamem má být zahájena lékařem se zkušenostmi s léčbou SMA. *Rekonstituovaný perorální roztok* se podává perorálně jednou denně z přiložené stříkačky pro perorální podání určené pro opakované použití, podává se s jídlem nebo bez jídla, vždy přibližně ve stejnou denní dobu. Pacientovi, který nemůže polykat a má zavedenu nasogastrickou nebo gastrostomickou sondu, lze podat sondou. 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. *Potahované tablety:* Doporučená dávka pro pacienty ve věku ≥ 2 roky s tělesnou hmotností ≥ 20 kg je 5 mg. Podává se perorálně jednou denně s jídlem nebo bez jídla vždy přibližně ve stejnou denní dobu. Tablety se polykají vcelku nebo se rozpustí v malém množství vody o pokojové teplotě (podrobněji viz SPC). **Pomocné látky:** *Rekonstituovaný perorální roztok:* Jeden ml roztoku obsahuje 0,38 mg natrium-benzoátu (E 211) a 2,97 mg isomaltu (E 953). *Tabletová forma* obsahuje méně než 1 mmol (23 mg) sodíku v jedné dávce 5 mg. **Kontraindikace:** Hypersenzitivita na léčivou látku nebo na kteroukoli pomocnou látku (podrobný seznam viz SPC). **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 může podle údajů *in vitro* zvyšovat plazmatické koncentrace léčivých přípravků vylučovaných pomocí MATE1 nebo MATE2 K, jako je metformin. Nelze-li se souběžnému podání vyhnout, je třeba sledovat lékové toxicity a v případě potřeby je třeba zvážit snížení dávky souběžně podávaného léčivého přípravku **Nežádoucí účinky:** U pacientů s SMA s nástupemonemocnění v novorozeneckém/kojeneckém věku byly nejčastějšími nežádoucími účinky: pyrexie (54,8 %), vyrážka (29,0 %) a průjem (19,4 %). U pacientů s SMA s pozdějším nástupem onemocnění 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:** *Prášek pro perorální roztok/Rekonstituovaný perorální roztok:* Jantarově hnědá skleněná lahvička třídy III s dětským bezpečnostním šroubovacím uzávěrem garantujícím neporušenost obalu. Skleněná lahvička obsahuje risdiplamum 60 mg ve 2 g prášku pro perorální roztok. Jeden ml rekonstituovaného roztoku obsahuje risdiplamum 0,75 mg. Ve formě *potahovaných tablet* je přípravek Evrysdi dostupný v hliníkových/hliníkových perforovaných jednodávkových blistrech, které obsahují 7 potahovaných tablet. Velikost balení: 28 x 1 potahovaná tableta. **Podmínky uchovávání:** *Prášek pro perorální roztok:* Uchovávejte při teplotě do 25 °C. Uchovávejte lahvičku dobře uzavřenou. *Rekonstituovaný perorální roztok:* Uchovávejte ve svislé poloze v původní jantarově hnědé skleněné lahvičce v chladničce (2 °C až 8 °C), aby byl přípravek chráněn před světlem. Perorální roztok je možno uchovat při pokojové teplotě (do 40 °C) po dobu, která nepřesáhne v součtu 120 hodin (5 dnů) (podrobněji viz SPC). Tabletová forma nevyžaduje žádné zvláštní teplotní podmínky uchovávání. Uchovávejte v původním obalu, aby byl přípravek chráněn před vlhkostí. **Datum registrace** 26.3.2021. **Datum vytvoření textu Zkrácené informace o přípravku:** 8. 1. 2026, aktuální verze Souhrnu údajů o přípravku je dostupná na www.sukl.gov.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.gov.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/.

ROCHE s.r.o., Futurama Business Park Bld F, Sokolovská 685/136f, 18600 Praha 8
tel.: +420220382111, e-mail: prague.info@roche.com, www.roche.cz
M-CZ-00004982

Roche



* Typické dávkování přípravku HyQvia je každé 3–4 týdny, v závislosti na klinické odpovědi pacienta.

Zkrácené informace o léčivém přípravku: HyQvia 100 mg/ml – infuzní roztok k subkutánnímu podání • Dříve než začnete přípravek předepisovat, seznamte se, prosím, s úplným souhrnem údajů o přípravku (SPC). **Složení:** * Přípravek HyQvia je jednotka a dvou injekčních lahviček tvořená jednou injekční lahvičkou normálního lidského imunoglobulinu (IG 10%) a jednou injekční lahvičkou rekombinantní vorhyaluronidázy alfa (rHuPH20). Léková látka: Jeden ml obsahuje 100 mg normálního lidského imunoglobulinu (o čistotě alespoň 98 % IgG). Maximální obsah IgA je 140 mikrogramů/ml. Pomocné látky: Rekombinantní vorhyaluronidáza alfa (rHuPH20) - purifikovaný glykoprotein o 447 aminokyselinách produkovaný buňkami vaječníků čínského křečka činidlo (CHO) technologií rekombinantní DNA. Sodík (jako chlorid a jako fosforečnan). Úplný seznam viz bod 6.1. SPC. **Indikace:** Substituční léčba dospělých, dětí a dospívajících (0–18 let) v syndromů primární imunodeficience s narušenou tvorbou protilátek a u sekundárních imunodeficiencií (SID) u pacientů, kteří trpí závažnými nebo rekurentními infekcemi, neúčinnou antimikrobální léčbou a buďto prokázaným selháním specifické protilátky (“PSAF” = nevhodná odpověď alespoň dvojnásobného zvýšení titru IgG protilátek po podání pneumokokových polysacharidových a proteinových antigenních vakcín), nebo mají hladinu IgG v séru < 4 g/l. Imunomodulační léčba dospělých, dětí a dospívajících (0 až 18 let) u chronické zánětlivé demyelinizační polyneuropatie (CIDP) jako udržovací léčba po stabilizaci s léky. **Dávkování a způsob podání:** * Substituční léčba má být zahájena a monitorována lékařem zkušeným v léčbě poruch imunitního systému. Dávka a dávkovací režim závisí na indikaci. Při substituční terapii se dávka u každého pacienta individuálně závisí na konkrétní farmakokinetice a klinické odpovědi. Dávkování a léčební hmotnostní režim závisí odpovědi upraven u pacientů s podváhou nebo nadváhou. Následující dávkovací režimy jsou pouze doporučeními: *Substituční léčba při SID: Pacienti dosud neléčení imunoglobuliny:* Dávku potřebná k dosažení minimální hladiny IgG 6 g/l v rovnovážném stavu je řádově 0,4 až 0,8 g/kg tělesné hmotnosti/ měsíc. Dávkovací intervalů, udržení hladin v rovnovážném stavu se liší v rozmezí 2 až 4 týdny. Minimální hladiny IgG rovnovážném stavu mají být měřeny a hodnoceny ve spojení s incidencí infekce. Ke snížení frekvence infekce může být nezbytné zvýšit dávku a zvážit pro ně vyšší minimální hladiny IgG v rovnovážném stavu (> 6 g/l). Při zahájení léčby se doporučuje léčebné intervaly prvních infuzí postupně prodlužovat od jedné dávky jednou týdně až po jednu dávku za 3 nebo 4 týdny. Kumulativní měsíční dávka IG 10% by měla být rozdělena do jednotlivých, dvou týdenních dávek pro dosažení cílových intervalů přípravkem HyQvia. *Pacienti dříve léčení rozpustným imunoglobulinem (IVIg):* U pacientů, kteří přecházejí přímo z IVIg nebo kteří dříve dostávali pomocí subkutánní dávku IVIg, má být léčivý přípravek podáván ve stejné dávce a se stejným intervalů jako jejich předchozí IVIg léčba. Pokud byl dříve pacient na 3týdenním dávkovacím režimu, zvýšení intervalu na 4 týdny k dosažení podávání stejných týdenních intervalů. *Pacienti dříve léčení subkutánními imunoglobulinem (SCIg):* Úvodní dávka nového přípravku jednající jako u SCIg může být v jeden přípravek 3 nebo 4týdenním intervalu. První infuze může být podána jeden týden po poslední infuzní předchozím imunoglobulinem. *Substituční léčba při SID:* Doporučená dávka přípravku je 0,2 až 0,4 g/kg každé 3 až 4 týdny. Minimální hladiny IgG mají být měřeny a hodnoceny ve spojení s incidencí infekce. Dávka má být podle potřeby upravena k dosažení optimální ochrany proti infekcím, zvýšení dávek může být nutné u pacientů s přetrvávající infekcí. *Imunomodulační léčba při CIDP:* Před zahájením léčby může být týdenní dávkování účinné díky vysoušení dávky pro dosažení cílových intervalů. Typické rozmezí intervalu dávky v týdnech. Typické rozmezí intervalu dávkování přípravku HyQvia je 3 až 4 týdny. Doporučená subkutánní dávka je 0,8 až 2,4 g/kg tělesné hmotnosti za měsíc podávaná v 1 nebo 2 infuzích během 1 nebo 2 dnů. Při úpravě dávky má být primárním hlediskem klinická odpověď pacienta. K dosažení požadované klinické odpovědi může být nutné upravit dávku. Při klinickém zhoršení může být dávka zvýšena na doporučené maximum 2,4 g/kg měsíčně. Pokud je pacient klinicky stabilní, je zapotřebí pravidelné snižování dávky, aby byla možné dávkovat, zda pacient ještě potřebuje IG terapii. Doporučuje se použít titrační schéma, které umožňuje postupné zvyšování dávky v průběhu času (ramp-up), aby byla zajištěna snášenlivost pacienta až do dosažení plné dávky. Během titračního schématu musí být pro první a druhou infuzi dodržena vypočítaná dávka přípravku HyQvia a doporučené intervaly mezi dávkami. V závislosti na snížení obtížného lékaře mohou být u pacientů, kteří dobře snášejí první 2 infuze, podávány další infuze s postupným zvyšováním dávek a dávkovacích intervalů s ohledem na objem a celkovou dobu infuze. Zrychlené titrační schéma může být zvažováno, pokud pacient snáší objemy s.c. infuzí agresivní 2 infuze. Dávky menší než orientačně 0,4 g/kg mohou být podávány bez titračního schématu, pokud pacient vykazuje přijatelnou snášenlivost, viz informace v SPC. *Přechod z populace:* Dávkovací schéma u dětí a dospívajících (0 až 18 let) je stejné jako dávkování u dospělých. Dávkování je založeno na tělesné hmotnosti a upravuje se podle klinického výsledku. *„Způsob podání“* pouze k subkutánnímu podání, nepodávejte intravenózně. Přípravek HyQvia je tvořen dvěma injekčními lahvičkami. Každá injekční lahvička IG 10% je dodávána odpovídajícím množstvím rHuPH20, viz informace v SPC. **Kontraindikace:** * HyQvia se nesmí podávat intravenózní-koni intramuskulárně. Hypersenzitivita na léčivou látku (IgG) nebo na kteroukoli pomocnou látku. Hypersenzitivita na lidské imunoglobulinu, zejména ve velmi vzácných případech deficitu IgA, kdy má pacient proti IgA protilátky. Známá systémová hypersenzitivita na hyaluronidázu nebo rHuPH20. **Upozornění:** * Pokud je přípravek HyQvia náhodně aplikován do žíly, může u pacienta vyvolat šok. Používejte doporučené rychlosti infuze. Pacienty je nutné důsledně sledovatby průběhu celé infuze, a to především pacienty zahajující léčbu. Určité nežádoucí účinky se mohou objevovat častěji u pacientů, kteří dostávají normální lidský imunoglobulin poprvé nebo (ve vzácných případech) jej mění nebo pokud uběhla dlouhá doba od předchozí infuze. V případě nežádoucích účinků je nutné buď snížit rychlost podávání infuze, nebo ji úplně zastavit. V případě šoku okamžitě ukončete infuzi a zahajte pacienta léčbu šoku. *Hypersenzitivita na IG:* Pravé reakce přecitlivělosti jsou vzácné. Může k nim docházet především u pacientů s protilátkami proti IgA, kteří je třeba léčit se zvýšenou opatrností. *Hypersenzitivita na rHuPH20:* Lékařská pozorování na reakci podobnou alergické nebo anafylaktické reakci po podání rHuPH20 vyžaduje okamžité přerušení infuze a – podle konkrétní potřeby – zahájení standardního léčebného postupu. *Imunogenita rHuPH20:* U pacientů léčených přípravkem HyQvia v klinických studiích již hlášen vznik jiných než neutralizačních protilátek proti rHuPH20. *Tromboembolismus:* S použitím imunoglobulinů byly spojeny arteriální a venózní tromboembolické příhody, včetně infarktu myokardu, mozkové příhody, hluboké žilní trombózy a plicní embolie. Před použitím imunoglobulinů musí být pacienti dostatečně hydratováni. U pacientů s preexistujícími rizikovými faktory vzniku trombembolické příhody je třeba postupovat s opatrností. *Hemolytická anémie:* Imunoglobulinová přípravky obsahují protilátky proti krevním skupinám (např. A, B, D), které se mohou chovat jako hemolyziny. *Syndrom aseptické meningopatie (AMS):* Ve spojení s intravenózní a subkutánní imunoglobulinovou léčbou byl hlášen výskyt syndromu aseptické meningitidy. AMS se může Sestřely objevovat ve spojitosti s vysokou dávkou (2 g/kg) intravenózní imunoglobulinovou léčbou. *Důležité informace o některých složkách přípravku HyQvia:* Složka IG 10% jev podstatě „bezsodíku“, rHuPH20 obsahuje následující množství (mg) sodíku v jedné injekční lahvičce: 1,25 ml – 5,0 mg; 2,5 ml – 10,0 mg; 5 ml – 20,2 mg; 10 ml – 40,0 mg; 15 ml – 60,5 mg. *Interference se sérologickými testy:* Po imunoglobulinové infuzi může mít přechodný vzestup různých pasivně přenášených protilátek v krvi pacienta za následek zavádějící pozitivní výsledky sérologických testů. *Přenosné agens:* Normální lidský imunoglobulin a lidský sérový albumin (stabilizátor rekombinantní vorhyaluronidázy alfa) se vyrábějí z lidské plazmy. Standardní opatření zabraňující přenosu infekce zahrnují pečlivý výběr dárců, testování jednotlivých odběrů krve a plazmatických pouů na specifické ukazatele infekce a určité výrobní kroky, při nichž jsou inaktivovány nebo odstraněny viry. Přes všechna tato opatření při přípravě léčivých přípravků vyrábějících z lidské krve nebo plazmy nelze úplně přenosu infekce zcela vyloučit. Důrazně se doporučuje zaznamenat při každém podání přípravku HyQvia pacientovi název a číslo šarže přípravku, aby bylo možné spárné příhodlit k pacientovi číslo použité šarže. *Pediatrická populace:* Uvedená upozornění a opatření platí jak pro dospělé, tak pro děti. **Hlavní nežádoucí účinky:** *Normálně lidský imunoglobulin:* Příležitostí se mohou objevit nežádoucí účinky, jakými třeseníka, bolest hlavy, závratě, horečka, zvracení, alergické reakce, nausea, artralgie, nízký krevní tlak a středně závažné bolest dolní poloviny zad. Často se mohou vyskytnout lokální reakce v místech infuze: otoku, bolestivost, erytém, indurace, lokální zánětlivé, svědění, otevření a vyrážka. *rHuPH20:* Nejčastěji NÚ uváděné během postmarketingového užívání *rHuPH20* v podobném složení podávaném subkutánně za účelem dopravy a absorpce subkutánně aplikovaných roztoků nebo léčivých přípravků byly místní lokální reakce v místě infuze jako např. erytém a bolest. V souvislosti s aplikací velkého objemu subkutánních tekutin byl nejčastěji hlášen otok. NÚ hlášené v klinických studiích a postmarketingovém sledování s frekvencí velmi častá (≥ 1/10) byly bolest hlavy, zvýšený krevní tlak a hypertenze, nausea, bolest břicha jeho dolní a horní poloviny a otřesot, zrýjem, zvracení, artralgie, lokální reakce (celkové) a bolest v místě infuze. **Významné interakce:** Aplikace imunoglobulinu může na dobu nejméně 6 týdnů a nejvýše 3 měsíců narušit účinnost živých atenuovaných virových vakcín. V případě spalniček může tento narušení účinnosti trvat až 1 rok. Proto je potřebu u pacientů očkovaných vakcínou proti spalničkám zkontrolovat stav protilátek. **Uchovávání:** Uchovávejte v chladničce (2 °C – 8 °C). Přípravek lze uchovávat při teplotách nad +8 °C a do +25 °C po dobu až 3 měsíců. Po uzavření dílu pokojové teplotě nevracejte do chladničky. Zlikvidujte po 3 měsících nebo po uplynutí doby použitelnosti, podle toho, co nastane dříve. Datum výroby: číslo šarže a doba použitelnosti jsou uvedeny na krabičce. Chraňte před mrazem. Udržujte injekční lahvičky v krabičce, aby byly chráněny před světlem. **Držitel rozhodnutí o registraci:** Baxalta Innovations GmbH, Industriestrasse 67, A-1221 Vídeň, Rakousko. **Registrační čísla:** 2,5g/25ml EU/1/13/840/003, 5g/50ml EU/1/13/840/002, 10g/100ml EU/1/13/840/003, 20g/200ml EU/1/13/840/004, 30g/300ml EU/1/13/840/005 **Podmínky výdeje SPC:** 04/2025 * Kdmněte si, prosím, změny informace o léčivém přípravku. **Výdej tohoto přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčivý je úhrada z prostředků veřejného zdravotního pojištění. Úplné znění SPC naleznete na http://www.ema.europa.eu.**

Žádáme zdravotnické pracovníky, aby hlásili podezření na nežádoucí účinky na SÚKL nebo společnosti Takeda emailem na AE.CZECH@takeda.com. Podezření na nežádoucí účinky hlaste také podle národních legislativních požadavků.

REFERENCE: 1. Souhrnné informace o přípravku Hyqvia 04/2025.

C-APROM/CZ/0193/0106 • Datum přípravy 11/2025

Takeda Pharmaceuticals Czech Republic s.r.o., Šenitova 49/2, 120 00 Praha 2

Poznámky:

Poznámky:

Platinový partner

Biogen

Roche

Stříbrný partner

NOVARTIS

Takeda

Vystavovatel

CSL

Deymed DIAGNOSTIC

GRIFOLS

Linde

Děkujeme všem zúčastněným firmám za podporu této akce