



Sekcia pre neuromuskulárne ochorenia
Slovenskej neurologickej spoločnosti
A-medi management, s. r. o.

15. a 16. február 2024
Hotel Dubná Skala, Žilina

NEUROMUSKULÁRNE SYMPÓZIUM A VII. POMPEHO DEŇ

odborný garant
MUDr. Ivan Martinka, PhD.

Centrum pre neuromuskulárne ochorenia,
Neurologická klinika UNB Ružinov a SZU, Bratislava

Podujatie je zaradené do kontinuálneho medicínskeho vzdelávania
a má pridelené kredity CME.

PROGRAM

Prvá perorálna liečba pre pacientov s diagnózožou spinálnej svalovej atrofie.*

NALADENÍ NA BUDÚCNOŠ

Evrydsi pomáha žiť naplno, pretože každá minúta sa počíta



Evrydsi je indikovaný na liečbu 5q-SMA (spinálnej svalovej atrofie [spinal muscular atrophy]) u pacientov vo veku 2 mesiacov a starších, s klinickou diagnózožou SMA typu 1, typu 2 alebo typu 3 alebo s jednou až štyrmi kópiami génu SMN2.*

▼ Tento liek je predmetom ďalšieho monitorovania. To umožní rýchle získanie nových informácií o bezpečnosti. Od zdravotníckych pracovníkov sa vyžaduje, aby hlásili akékoľvek podozrenia na nežiaduce reakcie na www.sukl.sk/sk/bezpecnost-liekov, nežiaduce účinky na [sukl.sk](mailto:ucinky@sukl.sk). Táto informácia môže byť tiež hlásená spoločnosti Roche na slovakia.drug_safety@roche.com alebo +421 905 400 503.

Zloženie: Každá fľaška obsahuje 60 mg risdiplamu v 2 g prášku na perorálny roztok. Každý ml rekonštituovaného roztoku obsahuje 0,75 mg risdiplamu. **Terapeutické indikácie:** Evrydsi je indikovaný na liečbu 5q-SMA (spinálnej svalovej atrofie [spinal muscular atrophy]) u pacientov vo veku 2 mesiacov a starších, s klinickou diagnózožou SMA typu 1, typu 2 alebo typu 3 alebo s jednou až štyrmi kópiami génu SMN2. **Dávkovanie:** Liečbu liekom Evrydsi má začať lekár, ktorý má skúsenosti s manažmentom SMA. Odporúčaná dávka lieku Evrydsi podávaná jedenkrát denne sa stanoví podľa veku a telesnej hmotnosti. Vek 2 mesiace až < 2 roky, odporúčaná denná dávka 0,20 mg/kg. Vek ≥ 2 roky a telesná hmotnosť < 20 kg, odporúčaná denná dávka 0,25 mg/kg. Vek ≥ 2 roky a telesná hmotnosť ≥ 20 kg, odporúčaná denná dávka 5 mg. Liečbu dennou dávkou vyššou ako 5 mg nebola skúmaná. Spôsob podávania: *Zdravotnícky pracovník (napr. lekárik) musí Evrydsi rekonštituovať pred jeho vjadom. Evrydsi sa užíva perorálne jedenkrát denne po jedle, každý deň približne v rovnakom čase, pomocou poskytnutej opakovane použiteľnej perorálnej striekačky. U dojčiat, ktoré sú dojené, sa má Evrydsi podávať po dojení. Evrydsi sa nemá miešať s mliekom ani s náhradnou dojčenskou mliečnou výživou (mliečnou formulou). **Kontraindikácie:** Precitlivosť na liečivo alebo na ktorúkoľvek z pomocných látok. **Upozornenia:** Možná embryo-fetálna toxicita. V štúdiách na zvieratách bola pozorovaná embryo-fetálna toxicita. Pacientky a pacienti v reprodukčnom veku majú byť informovaní o rizikách a musia používať vysokocinnú antikoncepciu počas liečby a ešte aspoň 1 mesiac po poslednej dávke v prípade pacientok a 4 mesiace po poslednej dávke v prípade pacientov. U pacientov v reprodukčnom veku sa pred začiatkom liečby liekom Evrydsi má overiť, či nie sú tehotné. Možné účinky na mužskú fertilitu: Na základe zistení zo štúdií na zvieratách pacienti nemajú darovať spermie počas liečby a v priebehu 4 mesiacov po poslednej dávke lieku Evrydsi. Účinky lieku Evrydsi na mužskú fertilitu neboli u ľudí skúmané. Toxické účinky na sieťnicu: Účinky lieku Evrydsi na štruktúru sieťnice, ktoré boli pozorované v predklinických štúdiách

bezpečnosti, neboli pozorované v klinických štúdiách u pacientov so SMA. **Liekové interakcie:** Risdiplam je primárne metabolizovaný pečeňovými enzýmami flavín-obsahujúcimi monooxygenázami 1 a 3 (FMO1 a FMO3) a tiež enzýmami (CYP) 1A1, 2J2, 3A4 a 3A7 cytochrómu P450. Risdiplam nie je substrátom ľudského proteínu 1 súvisiaceho s mnohopočetnou liekovou rezistenciou (MDR1). Vplyv súběžného podávania risdiplamu na farmakokinetiku substrátov transportérov zabezpečujúcich extrúziu viacerých liekov a toxínov (multidrug and toxin extrusion transporter, MATE) MATE1 a MATE2-K u ľudí nie je známy. Na základe údajov získaných in vitro risdiplam môže zvýšiť plazmatické koncentrácie liekov eliminovaných prostredníctvom MATE1 alebo MATE2-K, napríklad metformínu. Ak sa súběžnému podávaniu nedá vyhnúť, majú sa sledovať toxické účinky súvisiace s liekom a v prípade potreby sa má zväziť zníženie dávky súběžne podávaného lieku. **Gravidita a dojenie:** Gravidita: Evrydsi sa neodporúča používať počas gravidity a u žien vo fertílnej veku nepoužívajúcich antikoncepciu. Dojenie: neodporúča sa počas liečby dojčiť. **Nežiaduce účinky:** U pacientov so SMA s nástupom v dojčenskom veku boli najčastejšie nežiaduce reakcie pyrexia (54,8%), vyrážka (29,0 %) a hnačka (19,4 %). U pacientov so SMA s neskorším nástupom boli najčastejšie nežiaduce reakcie pyrexia (21,7 %), bolesť hlavy (20,0 %), hnačka (16,7 %) a vyrážka (16,7 %). * Skúsenosti po uvedení lieku na trh: Po uvedení lieku na trh bola hlásená kožná vaskulitída. Priznaky ustúpili po trvalom ukončení liečby liekom Evrydsi. Frekvenciu nemožno odhadnúť na základe dostupných údajov. **Pokyny na uchovávanie:** Prášok na perorálny roztok: Uchovávať v pôvodnej jantárovo sfarbenej sklenenej fľaške na ochranu pred svetlom. Rekonštituovaný perorálny roztok: Perorálny roztok uchovávať v pôvodnej jantárovo sfarbenej sklenenej fľaške na ochranu pred svetlom a fľašku vždy uchovávať v zvislej polohe s dôkladne utiahnutým uzáverom v chladničke (2 až 8 °C). **Balenie:** Fľaška z jantárovo sfarbeného skla typu III s detským bezpečnostným skrútkovým uzáverom s poistným prstencom. Vydaj lieku je viazaný na lekársky predpis. Podrobné informácie sú uvedené v Súhrne charakteristických vlastností lieku. **Držiteľ rozhodnutia o registrácii:** Roche Registration GmbH, Emil-Barell-Strasse 1, 79639, Grenzach-Wyhlen, Nemecko **Zastúpenie v SR:** Roche Slovensko, s.r.o., Pribinova 19, 811 09 Bratislava, tel.: 02/5263 8201, fax: 02/5263 5014, www.roche.sk. Dátum revízie SPC: 18.11.2021

PROGRAM

ŠTVRTOK 15. 02. 2024

15.00 – 16.00	REGISTRÁCIA
16.00	ZAČIATOK PROGRAMU <i>Predsedníctvo: Martinka I., Hlavatá A.</i>
16.00 – 16.20	Hajaš G. (Nitra): Patofyziológia Pompeho choroby – nové náhľady <i>Prednáška podporená spoločnosťou Swixx</i>
16.20 – 16.45	Hlavatá A. (Bratislava): Klinická manifestácia infantilnej formy Pompeho choroby u slovenských pacientov <i>Prednáška podporená spoločnosťou Swixx</i>
16.45 – 17.10	Koprušáková M. (Martin): Typická a atypická klinická prezentácia adultnej formy Pompeho choroby <i>Prednáška podporená spoločnosťou Swixx</i>
17.10 – 17.35	Juríčková K. (Bratislava): Možnosti liečby Pompeho choroby a úskalia s ňou spojené
17.35 – 17.55	PRESTÁVKA
17.55 – 18.20	Zubaľová E. (Bratislava): Fyzioterapeutická intervencia v starostlivosti o pacientov s juvenilnou formou Pompeho choroby
18.20 – 18.40	Junas R. (Žiar nad Hronom): Enzymatická substitučná liečba (ERT) v podmienkach regionálneho neurologického pracoviska – aktuálna situácia
18.40 – 19.00	Mattošová S. (Bratislava): Molekulárno-genetická diagnostika Pompeho choroby – stará problematika, nové výzvy
19.00 – 19.30	DISKUSIA <i>Ako možno urýchliť diagnostiku a zlepšiť starostlivosť o pacientov s Pompeho chorobou v podmienkach SR?</i>
19.30	VEČERA

ORGANIZAČNÝ SEKRETARIÁT

Ing. Helena Šurinová

Mobil: 0910 230 209

e-mail: surinova@amedia.sk

A-medi management, s.r.o.

Jarošova 1, 831 03 Bratislava

REGISTRÁCIA TU >



PROGRAM

PIATOK 16. 02. 2024

SMA:

Predsedníctvo: Kurča E., Cibulčík F.

- 08.30 – 08.55 **Kurča E. (Martin):** Diferenciálna diagnostika ochorení motoneurónu/motorických neuropatií
- 08.55 – 09.10 **Vosátková A. (Bratislava):** Non5q- a 5q SMA – dve kazuistiky
- 09.10 – 09.35 **Cibulčík F. (Bratislava):** Elektrofyziologická diagnostika ochorení z okruhu MND
- 09.35 – 10.05 **Viestová K. (Bratislava):** SMA v detskom veku – klinická prezentácia, atypické prejavy
- 10.05 – 10.20 **Krivošík M.:** SMA v dospelom veku – typická klinická prezentácia
- 10.20 – 10.35 **Krivošík M.:** Extraskelétálne prejavy SMA v dospelom veku
"Prednáška podporená spoločnosťou Roche. Spoločnosť Roche žiadnym spôsobom nezasahovala do odborného obsahu podporenej prednášky."
- 10.35 – 10.50 PRESTÁVKA
- 10.50 – 11.10 **Balážová P. (Bratislava):** Starostlivosť o pacienta s SMA mimo centra
"Prednáška podporená spoločnosťou Roche. Spoločnosť Roche žiadnym spôsobom nezasahovala do odborného obsahu podporenej prednášky."
- 11.10 – 11.30 **Krchnáková S. (Piešťany):** Úloha fyzioterapeuta v starostlivosti o pacientov s SMA
- 11.30 – 11.50 **Halás M. (Bratislava):** Úloha ortopéda v starostlivosti o pacientov s neuromuskulárnymi ochoreniami
- 11.50 – 12.10 **Mikula P. (Bratislava):** Úloha rádiológa v starostlivosti o pacientov so SMA
- 12.10 – 12.30 **Jenigárová E. (Bratislava):** Úloha pneumológa v starostlivosti o pacientov s neuromuskulárnymi ochoreniami
- 12.30 – 13.10 DISKUSIA: Partner diskusného bloku spoločnosť Biogen
Ako možno zlepšiť záchyt SMA v dospelom veku? Ako možno zlepšiť medziodborovú spoluprácu pri starostlivosti o pacientov s neuromuskulárnymi ochoreniami
- 13.10 – 13.20 ZÁVER A UKONČENIE PODUJATIA
- 13.20 OBED

INFORMÁCIE O KREDITOCH:

Pasívna účasť:

15. 02.20243 kredity

16. 02. 20244 kredity

Aktívna účasť:

domáci autor.....10 kreditov

domáci spoluautori.....5 kreditov

zahraničný autor.....15 kreditov

zahraniční spoluautori.....10 kreditov

(kredity možno priznať 2 spoluautorom)

Aktívni účastníci dostávajú kredity za aktívnu aj pasívnu účasť.

Potvrdenie o účasti:

Podujatie bude zaradené do kreditného systému CME.

Potvrdenie o účasti obdržíte po absolvovaní prednášok.

Bulbárna funkcia

Post-hoc analýzy^{1,2}

Prostredníctvom dvoch post-hoc analýz sa preukázalo, že u pacientov s SMA liečených ZOLGENSMOU sa dosiahla a udržala bulbárna funkcia^{1,2}

ZOLGENSMA je indikovaná na liečbu:³

- Pacientov s 5q SMA s bialelickou mutáciou v géne *SMN1* a klinicky diagnostikovanou SMA 1. typu,
- pacientov s 5q SMA s bialelickou mutáciou v géne *SMN1* a až do 3 kópií génu *SMN2*

SMA – spinálna muskulárna atrofia.
Protein SMN – proteín prežívania motorických neurónov.

Referencie:

1. McGrattan KE, et al. J Neuromuscul Dis. 2023;10(4):531-540. 2. McGrattan KE, et al. Bulbar Function in Children with Two or Three SMN2 Copies Who Received Onasemnogene Amaparvovec Presymptomatically for Spinal Muscular Atrophy. Prezentované na: 2023 Muscular Dystrophy Association Clinical and Scientific Conference. Dallas, TX, USA. 19.-22. marec 2023. 3. Súhrn charakteristických vlastností lieku Zolgensma. Dostupné na: www.sukl.sk. Posledná aktualizácia: 12/2023.

▼ Tento liek je predmetom ďalšieho monitorovania.

Zolgensma 2 × 10⁹ vektorových genómov/ml infúzy roztok

Prezentácia: Zolgensma je liek na génovú terapiu, ktorý exprimuje ľudský proteín prežívania motorických neurónov (SMN, survival motor neuron) a je produkovaný v ľudských embryonálnych bunkách obličiek rekombinantnou DNA technológiou. Jeden ml obsahuje onasemnogén abeparvovek s nominálnou koncentráciou 2 × 10⁹ vektorových genómov (vg). Injekčné liekovky budú obsahovať odoberateľný objem minimálne 5,5 ml alebo 8,3 ml. Celkový počet injekčných liekoviek a kombinácia plniacich objemov v každom finálnom balení bude prispôbená pre individuálny pacientov v závislosti od ich telesnej hmotnosti. **Indikácie:** Zolgensma je indikovaná na liečbu ● pacientov s 5q spinálnou muskulárnou atrofiou (SMA) s bielelickou mutáciou v géne *SMN1* a klinicky diagnostikovanou SMA 1. typu ● pacientov s 5q SMA s bielelickou mutáciou v géne *SMN1* a až do 3 kópií génu *SMN2*. **Dávkovanie a spôsob podávania:** Liečba sa má podávať v klinických centrách pod dohľadom lekára so skúsenosťami s liečbou pacientov s SMA. Pred podaním onasemnogénu abeparvoveku je potrebné vykonať základné laboratórne testovanie - vyšetrenie na protilátky AAV9, vyšetrenie funkcie pečene (alaninaminotransferáza (ALT), aspartátaminotransferáza (AST), celkový bilirubín, albumín, protrombínový čas, parciálny trombotoplastínový čas (PTT) a medzinárodný normalizovaný pomer (INR)), kreatinín, celkový krvný obraz (vrátane hemoglobínu a počtu trombocytov), troponín-I. Pri stanovení načasovania liečby onasemnogénu abeparvovekom je potrebné vziať do úvahy potrebu dôkladného monitorovania funkcie pečene, počtu trombocytov a hladiny troponínu-I po podaní a tiež potrebu liečby kortikosteroidmi pred a po infúzii onasemnogénu abeparvoveku. Vzhľadom na zvýšené riziko závažnej systémovej imunitnej odpovede sa odporúča, aby boli pacienti pred infúziou onasemnogénu abeparvoveku klinicky stabilní. V prípade akútneho alebo chronického nekontrolovaných aktívnych infekcií sa má liečba odložiť, kým infekcia neozdie a pacient nie je klinicky stabilný. **Imunomodulačný režim** 24 hodín pred infúziou onasemnogénu abeparvoveku sa odporúča začať imunomodulačný režim podľa plánu, uvedeného v tabuľke 2 v SPC. **Dávkovanie** Pacienti dostanú nominálnu dávku 1,1 × 10¹⁴ vg/kg onasemnogénu abeparvoveku ako jednorazovo intravenóznou infúziou. Celkový objem sa určí podľa telesnej hmotnosti pacienta podľa tabuľky 1, uvedenej v SPC. **Osobitné skupiny pacientov** **Porucha funkcie obličiek** Bezpečnosť a účinnosť onasemnogénu abeparvoveku u pacientov s poruchou funkcie obličiek neboli stanovené a liečbu onasemnogénu abeparvovekom je potrebné dôkladne zvážiť. **Porucha funkcie pečene** U pacientov s poruchou funkcie pečene je potrebné dôkladne zvážiť liečbu onasemnogénu abeparvovekom. **Pediatrická populácia** Bezpečnosť a účinnosť onasemnogénu abeparvoveku u predčasne narodených novorodencov pred dosiahnutím gestačného veku donoseného dieťaťa neboli stanovené. Podanie onasemnogénu abeparvoveku je potrebné dôkladne zvážiť, pretože súběžná liečba kortikosteroidmi môže nežiaducim spôsobom ovplyvniť neurologický vývoj. U pacientov vo veku 2 rokov a starších alebo s telesnou hmotnosťou vyššou ako 13,5 kg sú obmedzené skúsenosti. Bezpečnosť a účinnosť onasemnogénu abeparvoveku u týchto pacientov neboli stanovené. **Kontraindikácie:** Precitlivosť na liečivo alebo na ktorúkoľvek z pomocných látok. **Upozornenia/Varovania:** Aby sa zlepšila (dopsledovateľnosť biologického lieku, má sa zrozumiteľne zaznamenať názov a číslo šarže podaného lieku. **Existujúca imunita proti AAV9** Po prirodzenej expozícii môže dochádzať k tvorbe protilátok proti AAV9. **Pokročilá SMA** Profil prínosu a rizika onasemnogénu abeparvoveku u pacientov s pokročilou SMA, udržiavaných naživo pomocou permanentnej ventilácie a bez schopnosti prosperovať, nie je stanovený. **Imunogenita** Imunitná odpoveď na kapsid AAV9 sa objaví po infúzii onasemnogénu abeparvoveku vrátane tvorby protilátok proti kapsidu AAV9 a imunitnej odpovede sprostredkovejanej T bunkami napriek imunomodulačnému režimu. **Hepatotoxicita** Akútne závažné poškodenie pečene a akútne zlyhanie pečene, vrátane prípadov úmrtí, boli hlásené pri použití onasemnogénu abeparvoveku včasnýe do 2 mesiacov po infúzii a to aj napriek podávaniu kortikosteroidov pred a po infúzii. Imunitne sprostredkovaná hepatotoxicita môže vyžadovať úpravu imunomodulačného režimu vrátane dlhšieho trvania, zvýšenej dávky alebo predĺženia znížovania kortikosteroidov. Riziká a prínosy liečby onasemnogénu abeparvovekom sa majú starostlivo zvážiť u pacientov s už existujúcou poruchou funkcie pečene. Pacienti s už existujúcou poruchou funkcie pečene alebo akútnou vírusovou infekciou pečene môžu mať vyššie riziko akútneho závažného poškodenia pečene. Podanie vektora AAV9 často vedie k zvýšeniu hladín aminotransféráz. Vyskytlo sa akútne závažné poškodenie pečene a akútne zlyhanie pečene s onasemnogénu abeparvovekom. Boli hlásené prípady závažného zlyhanie pečene s následkom úmrtia. Na zmiernenie potenciálneho zvýšenia hladín aminotransféráz je potrebné všetkým pacientom podať systémovej kortikosteroid pred infúziou a po infúzii. V pravidelných intervaloch najmenej 3 mesiace po infúzii a kedykoľvek, ak je to klinicky indikované, sa má monitorovať funkcia pečene. Pacienti so zhoršujúcimi sa výsledkami testov funkcie pečene a/alebo prejavmi alebo príznakmi akútneho ochorenia sa majú okamžite klinicky vyšetriť a starostlivo monitorovať. V prípade podozrenia na poškodenie pečene sa odporúča ďalšie testovanie (napr. albumín, protrombínový čas, PTT a INR). **Trombocytopenia** Pred infúziou onasemnogénu abeparvoveku je potrebné stanoviť počet trombocytov a starostlivo ho monitorovať počas prvých dvoch týždňov po infúzii a potom pravidelne; počas prvého mesiaca aspoň jedenkrát za týždeň a počas druhého a tretieho mesiaca každý druhý týždeň, kým sa počet trombocytov nevráti na východiskovú úroveň. **Trombotická mikroangiopatia (TMA)** Prípady TMA sa vo všeobecnosti vyskytli počas prvých dvoch týždňov po podaní infúzie onasemnogénu abeparvoveku. TMA je akútne a život ohrozujúce ochorenie charakterizované trombocytopeniou a mikroangiopatickou hemolytickou anémiou. Boli hlásené prípady úmrtí. Ak pacienti vykazujú klinické prejavy, príznaky alebo laboratórne nálezy zodpovedajúce TMA, je potrebné okamžite kontaktovať špecialistu na liečbu TMA, ak je klinicky indikovaná. **Zvýšená hladina troponínu-I** Po infúzii onasemnogénu abeparvoveku sa pozorovalo zvýšenie hladiny srdcovej troponínu I. **Systémová imunitná odpoveď** Vzhľadom na zvýšené riziko závažnej systémovej imunitnej odpovede sa odporúča, aby boli pacienti pred infúziou onasemnogénu abeparvoveku klinicky stabilní. **Riziko tumorogenity ako dôsledok integrácie vektora** Existuje teoretické riziko tumorogenity v dôsledku integrácie vektorovej DNA AAV do genómu. V prípade tumoru je potrebné kontaktovať držiteľa rozhodnutia o registrácii so žiadosťou o usmernenie týkajúce sa odberu vzoriek pacientov na testovanie. **Vylučovanie lieku** Dochádza k dočasnému vylučovaniu onasemnogénu abeparvoveku, najmä prostredníctvom telesného odpadu, preto je potrebné opatrťovateľne a členov rodiny pacientov informovať o pokynoch na správne zaobchádzanie so stolicou pacienta. **Darčovstvo krvi, orgánov, tkanív a buniek** Pacienti liečení Zolgensmom nesmú darovať krv, orgány, tkanivá alebo bunky na transplantáciu. **Fertilita, gravidita a laktácia:** Nie sú k dispozícii údaje o použití počas gravidity alebo dočenia u ľudí a štúdie fertily alebo reprodukcie na zvieratách sa neuskutočnili. **Interakcie:** Neuskutočnili sa žiadne interakčné štúdie. Ak je to možné, harmonogram očkovania pacienta sa má upraviť tak, aby umožnil súběžné podávanie kortikosteroidov pred infúziou a po infúzii onasemnogénu abeparvoveku. Živé vakcíny, ako napr. MMR a vakcína proti ovčím kiahňam, sa nemajú podávať pacientom užívajúcim dávku kortikosteroidov spôsobujúcu imunosupresiu. **Nežiaduce účinky: veľmi časté:** zvýšená hladina pečeňových enzýmov, **časté:** trombocytopenia, vracanie, hepatotoxicita, pyrexia, zvýšená hladina troponínu. Mimo klinických štúdií, vrátane po uvedení lieku na trh, boli u detí hlásené prípady rozvoja prejavov a príznakov akútneho zlyhanie pečene (napr. žltacka, koagulopatia, encefalopatia) včasnýe do 2 mesiacov od liečby napriek tomu, že dostávali kortikosteroidy pred a po infúzii. **Balenie/Balena:** injekčná liekovka so zátkou, viečkom a farebným krytom v dvoch rôznych veľkostiach plniacich objemu injekčnej liekovky (5,5 ml alebo 8,3 ml). Dávka onasemnogénu abeparvoveku a presný počet injekčných liekoviek potrebných pre každého pacienta sa vypočíta podľa hmotnosti pacienta. **Registračné čísla:** EU/1/20/1443/001- EU/1/20/1443/037 **Dátum poslednej revízie SPC:** December 2023
 * Prosim, všimnite si zmeny v súhrne charakteristických vlastností lieku.

Poznámka: Výdaj lieku je viazaný na lekársky predpis s obmedzením predpisovania. Pred predpísaním lieku si prečítajte súhrn charakteristických vlastností lieku, ktorý získate na adrese:

OBJEDNÁVKA PREDPLATNÉHO 2024

NEUROLOGÍA



Garantovaný
AD test



Prístup do
archívu



Recenzované
články

Objednávka predplatného na
www.amedisk.sk



Hotel Turiec, Martin
11. - 12. apríl 2024

www.amedi.sk

A-MEDI MANAGEMENT, S.R.O.

POD ZÁŠTITOU:
Slovenskej neurologickej
spoločnosti SLS

8 Festival NEURO KAZUISTÍK

ONLINE
REGISTRÁCIA
www.amedi.sk
Uprednostňujeme online registráciu

PARTNERI PODUJATIA

HLAVNÍ PARTNERI:



PARTNERI:



DÁTA Z KLINICKÝCH ŠTÚDIÍ A REÁLNEJ KLINICKEJ PRAXE LIEKU SPINRAZA™ PREUKAZUJÚ, ŽE VIAC JE MOŽNÉ^{1,2}



IS POSSIBLE*

* Viac je možné

SPINRAZA™ POMÁHA PACIENTOM DOSIAHNUŤ VIAC
V POROVNANÍ S KONTROLNOU SKUPINOU A PRIRODZENÝM PRIEBEHOM OCHORENIA. ^{1,2**}

** SPINRAZA™ preukázala v randomizovaných kontrolovaných štúdiách klinicky a štatisticky významné zlepšenie motorických funkcií v porovnaní s kontrolnou skupinou.¹ V podporných štúdiách a štúdiách v reálnej klinickej praxi sa presymptomaticki, detski aj dospelí pacienti významne zlepšili v porovnaní s prirodzeným priebehom ochorenia. Jednotlivé výsledky sa môžu líšiť od závažnosti ochorenia a dĺžky liečby.^{1,2}

 **SPINRAZA™**
(nusinersen) ^{12 mg}
injekčný roztok

Skrátaná informácia o lieku SPINRAZA PRED PREDPISANÍM LIEKU SA OBOZNÁMTE S ÚPLNÝM ZMENÍM SUHRN CHARAKTERISTICKÝCH VLASTNOSTÍ LIEKU (SPC).

Názov lieku: Spinraza 12 mg injekčný roztok. **Kvalitatívne a kvantitatívne zloženie:** jedna injekčná liekuvka s objemom 5 ml obsahuje 12 mg nusinersenu. **Terapeutické indikácie:** Spinraza je indikovaná na liečbu 5q spinálnej svalovej atrofie. **Dávkovanie a spôsob podávania:** Odporúčaná dávka je 12 mg (5 ml) na jedno podanie. Liečba Spinrazou sa musí začať čo najskôr po stanovení diagnózy 4 nasycovacími dávkami v dňoch 0, 14, 28 a 63. Udržiavacia dávka sa má potom podávať každé 4 mesiace. **Vynechané alebo oneskorené dávky:** Ak sa podanie nasycovacej alebo udržiavacej dávky oneskorí alebo vynechá, Spinraza sa musí podať podľa schémy uvedenej v tabuľke 1 v SPC. Spinraza sa podáva ako intratekálna bolusová injekcia počas 1 až 3 minút použitím ihly na spinálnu anestéziu. Injekcia sa nesmie podať do oblasti kože, na ktorých sú prejavy infekcie alebo zápalu. **Odporúčajú sa,** aby sa pred podaním odobral taký objem cerebrospinálneho moku (CSF), ktorý je ekvivalentný objemu Spinrazy určenej na podanie injekcie. Pri podaní Spinrazy môže byť potrebná sedácia, a to v závislosti od klinického stavu pacienta. **Kontraindikácie:** Precitlivosť na liečivo alebo na ktorúkoľvek z pomocných látok. **Osobitné upozornenia a opatrenia pri používaní:** **Procedúra lumbálnej punkcie:** Možné obtiaže s touto cestou podania môžu byť u veľmi mladých pacientov a u pacientov so skoliózou. Použitie ultrasonografie alebo inej zobrazovacej techniky sa môže zväziť pre uľahčenie intratekálneho podania podľa uváženia lekára. **Trombocytopénia a koagulačné abnormality:** Po subkutánnom alebo intravenóznom podaní iných

antisense oligonukleotidov sa pozorovala trombocytopénia a koagulačné abnormality, vrátane akútnej závažnej trombocytopénie. Ak je to klinicky indikované, pred podaním Spinrazy sa odporúča laboratorné vyšetrenie hodnôt krvných doštičiek a koagulácie. **Renálna toxicita:** Po subkutánnom alebo intravenóznom podaní iných antisense oligonukleotidov sa pozorovala renálna toxicita. Ak je to klinicky indikované, odporúča sa vyšetrenie bielkovín v moči. V prípade pretrvávajúcej zvýšenej hladiny bielkovín v moči sa musí zväziť ďalšie vyšetrenie. **Hydrocefalus:** Pri použití lieku po uvedení na trh u pacientov liečených nusinersenom boli hlásené prípady komunikujúceho hydrocefalu bez súvislosti s meningitídou alebo krvácim. U niektorých pacientov bol implantovaný ventrikuloperitoneálny shunt. U pacientov so zníženým vedomím sa má zväziť vyšetrenie na hydrocefalus. **Prínosy a riziká liečby nusinersenom u pacientov s ventrikuloperitoneálnym shuntom nie sú súčasnosti známe a pokračovanie v liečbe je potrebné starostlivo zväziť.** **Liekové interakcie:** Neuskutočnili sa žiadne interakčné štúdie. **In vitro štúdie** naznačujú, že nusinersen nie je induktor ani inhibitor metabolizmu sprostredkovaného CYP450. **In vitro štúdie** naznačujú, že pravdepodobnosť interakcií s nusinersenom kvôli kompetícii o väzbu na plazmatické proteíny alebo kompetícii s prenášačmi, alebo ich inhibícií je nízka. **Fertilita, gravidita a laktácia:** Ako preventívne opatrenie je vhodnejšie vyhnúť sa užívaniu nusinersenu počas gravidity. Nie je známe, či sa nusinersen/metabolity vylučujú do ľudského mlieka. Rozhodnutie, či ukončiť dojčenie alebo či ukončiť/preušíť liečbu nusinersenom sa musí urobiť po zvažení prínosu dojčenia pre dieťa a prínosu liečby pre ženu. K dispozícii nie sú žiadne údaje o možných účinkoch na fertilitu ľudí. **Nežiaduce účinky:** veľmi

časté nežiaduce reakcie súvisiace s podávaním Spinrazy (možno považovať za prejavy postpunkčného syndrómu): bolesť hlavy, vracanie, bolesť chrbta. Po uvedení lieku na trh boli hlásené udalosti komunikujúceho hydrocefalu. **Imunogenita:** Celkovo bol výskyt protilátok proti lieku (ADA) nízky. Vplyv imunogenicity na bezpečnosť sa formálne neanalyzoval, pretože počet pacientov s ADA bol nízky. **Hlásenie podozrení na nežiaduce reakcie:** od zdravotníckych pracovníkov sa vyžaduje, aby hlásili akékoľvek podozrenia na nežiaduce reakcie na štátny ústav pre kontrolu liečiv, Sekcia klinického skúšania liekov a farmakovigilancie, Kvetná 11, SK-825 08 Bratislava, Tel: +421 2 507 01 206, e-mail: neziaduce.ucinky@sukl.sk. Tlačivo na hlásenie podozrení na nežiaduce účinky lieku je na webovej stránke www.sukl.sk v časti Bezpečnosť liekov/Hlásenie podozrení na nežiaduce účinky liekov. Formulár na elektronické podávanie hlásení: <https://portal.sukl.sk/eskadra/>. **Čas použiteľnosti:** 4 roky. **Druh obalu a obsah balenia:** Veľkosť balenia je jedna injekčná liekuvka v škatuli. **Registračné číslo:** EU/1/17/1188/001. **Dátum poslednej revízie SPC:** 01/2022. **Dátum revízie textu:** 06/2023. **Držiteľ rozhodnutia o registrácii:** Biogen Netherlands B.V., Prins Mauritslaan 13, 1171 LP Badhoevedorp, Holandsko. Vydaj lieky je viazaný na lekársky predpis s obmedzením predpisovania. Podrobné informácie o tomto lieku sú dostupné na internetovej stránke Európskej agentúry pre lieky: <http://www.ema.europa.eu>. **Kontakt v SR:** Biogen Slovakia s.r.o., Karadžičova 12, 821 08 Bratislava.

 **Biogen**

Referencie:

1. SPC SPINRAZA™, január 2022.
2. Coratti G, et al. Orphanet J Rare Dis. 2021;16:430.

Obrázky sú inšpirované skutočnými ľuďmi žijúcimi so spinálnou svalovou atrofiou a slúžia len na ilustračné účely.

Biogen Slovakia s.r.o., Karadžičova 12, 821 08 Bratislava
© 2023 Biogen. Všetky práva vyhradené.
Biogen-207207, dátum prípravy: august 2023

