



ΕΠΙΣΤΗΜΟΝΙΚΗ ΕΤΑΙΡΕΙΑ

ΣΠΑΝΙΩΝ & ΟΡΦΑΝΩΝ
ΠΑΘΗΣΕΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ

2^ο ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ

ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ & ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



10 - 12 Σεπτεμβρίου 2021

Στο Συνέδριο χορηγούνται 20 Μόρια Συνεχιζόμενης Ιατρικής Εκπαίδευσης (CME – CPD credits) από τον Πανελλήνιο Ιατρικό Σύλλογο



ΟΡΓΑΝΩΣΗ - ΓΡΑΜΜΑΤΕΙΑ: ONE TO ONE S.A.

Νίκης 16, 105 57 Αθήνα • Τηλ.: 2107254383-385-386 • Fax: 2107254384

E-mail: info@one2onesa.com • <http://www.onetoone-congress.com> • [f onetoonecongress](https://www.facebook.com/onetoonecongress)

Consider how Galafold® may help

Keep Your Fabry Patients **MOVING FORWARD**



 **Galafold®**
(migalastat)

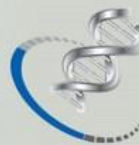
Από του στόματος χορήγηση, πολυσυστηματική επίδραση¹⁻⁵

Ένδειξη¹

Το Galafold® ενδείκνυται για τη μακροχρόνια θεραπεία ενηλίκων και εφήβων ηλικίας 16 ετών και άνω με επιβεβαιωμένη διάγνωση της νόσου Fabry (ανεπάρκεια α-γαλακτοσιδάσης Α) με μετάλλαξη επιδεκτική θεραπείας.

1. Περίληψη Χαρακτηριστικών Προϊόντος Galafold®, 2. Hughes DA, et al. *J Med Genet.* 2017;54(4):288-296 3. Feldt-Rasmussen U, et al. *Molecular Genetics and Metabolism*, <https://doi.org/10.1016/j.ymgme.2020.07.007> 4. Germain DP, et al. *N Engl J Med.* 2016;375(6):545-555, 5. Riccio E, et al. *European Journal of Human Genetics*, <https://doi.org/10.1038/s41431-020-0677-x12>.

Για συνταγογραφικές πληροφορίες ανατρέξτε στην σελίδα 20
Περαιτέρω πληροφορίες διατίθενται από τη Γένεσις Φάρμα Α.Ε.



ΧΑΙΡΕΤΙΣΜΟΣ

Αγαπητοί συνάδελφοι,

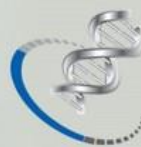
Με πολύ χαρά θα θέλαμε να σας προσκαλέσουμε στο 2^ο Πανελλήνιο Συνέδριο της Επιστημονικής Εταιρείας Σπανίων Παθήσεων και Ορφανών Φαρμάκων (ΕΕΣΠΟΦ), που θα πραγματοποιηθεί στην Αθήνα από τις 10 έως τις 12 Σεπτεμβρίου 2021. Το φετινό μας συνέδριο, παίρνοντας τη σκυτάλη από το πολύ επιτυχημένο 1^ο Πανελλήνιο Συνέδριο, διοργανώνεται σε μια ιδιαίτερη στιγμή για όλους μας, μεσούσης της πανδημίας του Covid-19, ελπίζοντας να διαμορφωθούν οι κατάλληλες συνθήκες, που θα επιτρέψουν να γίνει με φυσική παρουσία, σηματοδοτώντας την ανάκαμψη και την επιστροφή στην κανονικότητα.

Στόχος μας είναι το Συνέδριο μας να αποτελέσει ένα υψηλού επιστημονικού επιπέδου βήμα για την παρουσίαση και συζήτηση των συγχρόνων απόψεων στον τομέα των Σπανίων Παθήσεων και Ορφανών Φαρμάκων και να αναδείξουμε τις σύγχρονες επιστημονικές εξελίξεις. Οι ασθενείς με Σπάνια Νοσήματα δεν είναι σπάνιοι, όταν οι ασθένειες αυτές προσβάλλουν έως και 6% του συνολικού πληθυσμού της Ευρωπαϊκής Ένωσης και δυστυχώς τα φάρμακα για την θεραπεία τους είναι Ορφανά. Το πρόβλημα είναι δίπλα μας και πολύ συχνά διαλάθει της προσοχής μας, λόγω έλλειψης ειδικών πολιτικών υγείας για τις Σπάνιες Παθήσεις. Η ελλιπής ενημέρωση, ευαισθητοποίηση, και επαγρύπνηση από την πλειοψηφία των Ιατρών και των Υπηρεσιών Υγείας έχει σαν αποτέλεσμα καθυστερημένες διαγνώσεις και δυσχερή πρόσβαση στην περίθαλψη, προκαλώντας σωματικές, ψυχολογικές και κοινωνικές επιπτώσεις στους ασθενείς και τις οικογένειές τους. Και όλα αυτά σε μια εποχή, που αρκετές Σπάνιες Παθήσεις μπορούν να είναι συμβατές με ένα φυσιολογικό τρόπο ζωής, εφόσον διαγνωστούν και αντιμετωπιστούν εγκαίρως.

Στην κατάρτιση του επιστημονικού προγράμματος καταβάλαμε κάθε δυνατή προσπάθεια, παρά τις αντιξοότητες της πανδημίας, ώστε να καλύψει τις επιστημονικές απαιτήσεις, όπως τις ορίζει το σύγχρονο διεθνές επιστημονικό περιβάλλον. Το πρόγραμμα θα περιλαμβάνει εισηγήσεις και στρογγυλά τραπέζια από Διακεκριμένους Επιστήμονες διαφόρων Ειδικοτήτων πάνω στα νεότερα δεδομένα και τις εξελίξεις στον τομέα των Σπανίων Παθήσεων σε ερευνητικό, κλινικό και θεραπευτικό επίπεδο. Πιστεύουμε ότι η επιτυχία ενός Συνεδρίου εξαρτάται κυρίως από την συμμετοχή και την παρουσία των Συνέδρων. Εμείς δεσμευόμαστε ότι θα προσπαθήσουμε για ένα υψηλού επιπέδου επιστημονικό πρόγραμμα, αλλά ζητούμε τη δική σας ενεργό συμμετοχή, τόσο με την παρουσία σας κατά την διάρκεια του Συνεδρίου, όσο και πλαισιώνοντας την ΕΕΣΠΟΦ και ενισχύοντας το έργο της.

Με τιμή

Γεώργιος Κολιός, MD PhD
Καθηγητής Φαρμακολογίας Δ.Π.Θ.
Πρόεδρος της Επιστημονικής Επιτροπής
του 2^{ου} Πανελληνίου Συνεδρίου της Ε.Ε.Σ.Π.Ο.Φ.



ΕΠΙΣΤΗΜΟΝΙΚΗ ΕΠΙΤΡΟΠΗ

ΠΡΟΕΔΡΟΣ ΕΠΙΣΤΗΜΟΝΙΚΗΣ ΕΠΙΤΡΟΠΗΣ

Κολιός Γεώργιος

ΜΕΛΗ ΕΠΙΣΤΗΜΟΝΙΚΗΣ ΕΠΙΤΡΟΠΗΣ

Δημόπουλος Αθανάσιος Μελέτιος

Καναβάκης Εμμανουήλ

Κονιτσιώτης Σπυρίδων

Κωδούνης Αντώνιος

Κωνσταντινίδης Θεόδωρος

Λιόσης Σταμάτης Νίκος

Λουκίδης Στυλιανός

Μάναλη Ευφροσύνη

Μανωλόπουλος Ευάγγελος

Μοσχονάς Νικόλαος

Μπάμιας Γεώργιος

Ντουράκης Σπυρίδων

Παπίρης Σπυρίδων

Στεφανής Λεωνίδα

Τσιβγούλης Γεώργιος

Χαρώνης Αλέξανδρος

Χρούσος Γεώργιος

ΟΡΓΑΝΩΤΙΚΗ ΕΠΙΤΡΟΠΗ

Πρόεδρος: Καραγεωργίου Ε. Κλημεντίνη

Αντιπρόεδρος: Κολιός Γεώργιος

Γενικός Γραμματέας: Αυγερινός Αντώνης

Ταμίας: Κουτσοστάθης Νικόλαος

Ειδικός Γραμματέας: Μπούρος Δημοσθένης

Μέλος: Παπαδήμας Γεώργιος

Μέλος: Τζήλας Βασίλειος



VOTUBIA®

— everolimus —



ΔΙΣΚΙΑ: VOTUBIA® 2,5 mg • VOTUBIA® 5 mg • VOTUBIA® 10 mg | ΔΙΑΣΠΕΙΡΟΜΕΝΑ ΔΙΣΚΙΑ: VOTUBIA® 2 mg • VOTUBIA® 3 mg • VOTUBIA® 5 mg



Κ.Α.Κ. Novartis (Hellas) Α.Ε.Β.Ε.
12^ο χλμ. Εθνικής Οδού
Αθηνών - Λαμίας,
14451 Μεταμόρφωση,
Τηλ.: +30 210 281 1712

Γραφείο Θεσσαλονίκης:
12^ο χλμ. Θεσσαλονίκης -
Νέων Μουδανιών,
570 01 Θέρμη,
Τηλ.: +30 2310 424 039

ΦΑΡΜΑΚΟΕΠΑΓΡΥΠΝΗΣΗ: +30 210 2828812



INNOPSISPHARMA Α.Ε.Β.Ε.
Λ. Κηφισίας 44, 151 25, Μαρούσι Αττικής
Τ: +30 216 200 5600 | F: +30 210 6664 804
www.innovispharma.gr

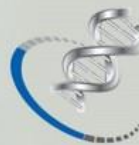
Η προώθηση του φαρμάκου στην Ελλάδα
πραγματοποιείται από την εταιρεία InnovisPharma Α.Ε.Β.Ε.

Vtb-K02-0321

Βοηθήστε να γίνουν τα φάρμακα πιο ασφαλή
και Αναφέρετε

ΟΛΕΣ τις ανεπιθύμητες ενέργειες
για **ΟΛΑ** τα φάρμακα

Συμπληρώνοντας την «**ΚΙΤΡΙΝΗ ΚΑΡΤΑ**»



ΠΑΡΑΣΚΕΥΗ 10 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2021

09:00 – 10:00

Προσέλευση – Εγγραφές

10:00 – 10:30

Χαιρετισμοί *

- Υπουργός Υγείας
- Αναπληρώτρια Υπουργός Υγείας
- Υφυπουργός Ψυχικής Υγείας
- Κώστας Μπακογιάννης, Δήμαρχος Αθηναίων
- Γιώργος Πατούλης, Πρόεδρος ΙΣΑ

* Έχουν προσκληθεί

10:30 – 12:00

Ορφανά Φάρμακα και Ελληνική Πραγματικότητα
Η άποψη της Βιομηχανίας για τα Ορφανά Φάρμακα

Συντονίστρια: Αμαλία Κάντζου, Δημοσιογράφος

Τοποθέτηση από τους κ.κ.: *

- Ολύμπιος Παπαδημητρίου, Πρόεδρος ΣΦΕΕ
- Θεόδωρος Τρύφων, Πρόεδρος ΠΕΦ
- Δημήτρης Π. Γιαννακόπουλος, Πρόεδρος ΣΑΦΕΕ
- Δημήτρης Πανταζής, Πρόεδρος ΙΦΕΤ
- Χρήστος Δάκας, Executive Director, Country Manager Greece, Cyprus and Malta – Novartis Gene Therapies

* Έχουν προσκληθεί

12:00 – 12:30

Διάλεξη

Νόσος Covid 19 – Η επόμενη ημέρα μετά τον εμβολιασμό

Ομιλητής: Παναγιώτης Γαργαλιάνο

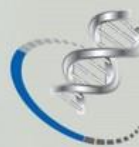
12:30 – 13:00

Διάλεξη

Σπάνια Νευρολογικά Νοσήματα:

Διαγνωστικές και θεραπευτικές προκλήσεις

Ομιλητής: Γεώργιος Τσιβγούλης



ΠΑΡΑΣΚΕΥΗ 10 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2021

13:00 – 13:20

Διάλεξη

“Clinical trials in rare diseases - Challenges and considerations”

Ομιλητής: **Dimitrios Arkillo**

13:20 – 14:30

Στρογγυλό Τραπέζι – Αμυλοείδωση

Προεδρείο: **Γ. Παπαδήμας, Κ. Παπαδόπουλος**

13:20 – 13:50

Γενετική Βάση Κληρονομικής Αμυλοείδωσης

Γ. Καραδήμα

13:50 – 14:20

Κλινικός Φαινότυπος Αμυλοείδωσης – Αντιμετώπιση

Γ. Κούτσης

14:20 – 14:30

Ερωτήσεις – Συζήτηση

14:30 – 15:30

Μεσημβρινή Διακοπή

15:30 – 17:00

Στρογγυλό Τραπέζι Ι – Διάχυτες Διάμεσες Πνευμονοπάθειες

Προεδρείο: **Δ. Μπούρος, Σ. Παπίρης**

15:30 – 15:50

Εισαγωγή στις διάχυτες διάμεσες πνευμονοπάθειες

Δ. Μπούρος

15:50 – 16:10

Κληρονομούμενες διάχυτες διάμεσες πνευμονοπάθειες

Ε. Μάναλη

16:10 – 16:30

Αυτοάνοσα ρευματικά νοσήματα και πνεύμονες: ERS-EULAR Guidelines

Κ. Αντωνίου

16:30 – 16:50

Έλλειψη A1 Αντιθρυψίνης

Σ. Παπίρης

16:50 – 17:00

Ερωτήσεις – Συζήτηση



ΠΑΡΑΣΚΕΥΗ 10 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2021

17:00 – 17:30

Διάλειμμα - Καφές

17:30 – 19:00

Στρογγυλό Τραπέζι II – Διάχυτες Διάμεσες Πνευμονοπάθειες
Προεδρείο: Δ. Μπούρος, Σ. Παπίρης

17:30 – 17:50 Πνευμονική κυψελιδική πρωτεΐνωση
Σ. Παπίρης

17:50 – 18:10 Πνευμονίτιδα εξ υπερευαισθησίας
Α. Τζουβελέκης

18:10 – 18:30 Ηωσινόφιλο κοκκίωμα
Λ. Κολιλέκας

18:30 – 18:50 Φλεγμονώδεις μυοσίτιδες και πνευμονική συμμετοχή
Β. Τζίλας

18:50 – 19:00 Ερωτήσεις – Συζήτηση

19:00

Λήξη Προγράμματος 1^{ης} ημέρας

Κάθε Ζωή είναι Σπάνια.

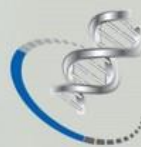
Στην Chiesi είμαστε Αφοσιωμένοι
στις Σπανιότερες Αυτών.

CHIESI HELLAS A.E.B.E.
Πλ. Γερουλάνου & Ρένου Πόγγη 1, 174 55 Άλιμος, Αττική
Τηλ.: +30 210 6179763, Fax: +30 210 6179786
Αρ. ΓΕΜΗ 002669501000
e-mail: chiesihellas@chiesi.com - www.chiesi.gr

Βοηθήστε να γίνουν τα φάρμακα πιο ασφαλή και Αναφέρετε
ΟΛΕΣ τις ανεπιθύμητες ενέργειες για ΟΛΑ τα φάρμακα
Συμπληρώνοντας την «ΚΙΤΡΙΝΗ ΚΑΡΤΑ»

Certified

Corporation



ΣΑΒΒΑΤΟ 11 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2021

09:00 – 10:30 **Στρογγυλό Τραπέζι - Ιδιαιτερότητες των σπανίων νοσημάτων και ορφανών φαρμάκων**
Προεδρείο: Γ. Κολιός, Σ. Ν. Λιόσης

09:00 – 09:20 Ιδιαιτερότητες των ορφανών φαρμάκων,
από την έρευνα στην κλινική πράξη
Ε. Μανωλόπουλος

09:20 – 09:40 Όταν τα σπάνια νοσήματα παύουν να είναι σπάνια,
το παράδειγμα της νόσου του Crohn
Γ. Μπάμιας

09:40 – 10:00 Διαγνωστικοί λαβύρινθοι στα σπάνια νοσήματα,
το παράδειγμα της νόσου του Wilson
Σ. Ντουράκης

10:00 – 10:20 Τα ασυνήθη συνήθως, το παράδειγμα του CAPS
Σ. Ν. Λιόσης

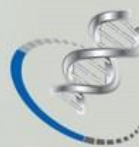
10:20 – 10:30 Ερωτήσεις – Συζήτηση

10:30 – 11:30 **Στρογγυλό Τραπέζι – Οξώδης Σκλήρυνση**
Προεδρείο: Α. Ντινόπουλος, Δ. Ζαφειρίου

10:30 – 10:55 Θεραπευτική Προσέγγιση Οξώδους Σκλήρυνσης
Ε. Βαργιάμη

10:55 – 11:20 Νεφρικά Αγγειολιπώματα στην Οξώδη Σκλήρυνση
Ε. Παπαχρήστου

11:20 – 11:30 Ερωτήσεις – Συζήτηση



ΣΑΒΒΑΤΟ 11 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2021

11:30 – 13:00

Στρογγυλό Τραπέζι – Νωτιαία Μυϊκή Ατροφία

Προεδρείο: Α. Ευαγγελίου, Ι. Ζαγανάς

11:30 – 11:50

Θεραπευτικές Προσδοκίες στην SMA

Ι. Ζαγανάς

11:50 – 12:10

Real World Data – Αποτελεσματικότητα στους ενήλικες με SMA

Λ. Παλαιοδήμου

12:10 – 12:30

Δεδομένα μακροχρόνιας Θεραπείας σε παιδιατρικούς ασθενείς

Δ. Γκούγκα

12:30 – 12:50

Αξιολογώντας την ανταπόκριση στη θεραπεία στους ενήλικες ασθενείς

Γ. Παπαδήμας

12:50 – 13:00

Ερωτήσεις – Συζήτηση

13:00 – 14:30

Στρογγυλό Τραπέζι – Ποιες είναι οι διαταραχές του Ύπνου?

Ανήκουν στα σπάνια νοσήματα?

Προεδρείο: Δ. Δικαίος, Α. Μπονάκης

13:00 – 13:25

Ναρκοληψία

Α. Μπονάκης

13:25 – 13:50

Συγγενές Σύνδρομο Κεντρικού Υποαερισμού στα παιδιά

Ι. Κουρή

13:50 – 14:20

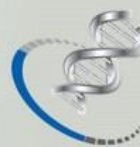
Μηχανισμοί Αϋπνίας και Υπερυπνίας σε Σπάνια Νοσήματα:

Από την Προϊούσα Υπερπυρηνική Παράλυση στο Σύνδρομο Kleine-Levin

Ε. Καραγεωργίου

14:20 – 14:30

Ερωτήσεις – Συζήτηση



ΣΑΒΒΑΤΟ 11 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2021

14:30 – 16:00

Στρογγυλό Τραπέζι – Νόσος Fabry
Προεδρείο: Γ. Τσιβγούλης, Ι. Μπολέτης

14:30 – 14:50 Τι νεότερο υπάρχει στην Καρδιολογική Προσέγγιση
Χ. Βλαχόπουλος

14:50 – 15:10 Ο νεφρολόγος αντιμέτωπος με τη Νόσο Fabry
Ε. Κάψια

15:10 – 15:30 Εργαστηριακή Προσέγγιση στη Νόσο Fabry
Π. Κοκότης

15:30 – 15:50 Ο νευρολόγος αντιμέτωπος με τη Νόσο Fabry
Χ. Ζόμπολα

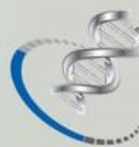
15:50 – 16:00 Ερωτήσεις - Συζήτηση

16:00 – 16:30

Διάλεξη
Νόσος Pompe

Προεδρείο: Γ. Παπαδήμας

Ομιλητής: Κ. Παπαδόπουλος



ΣΑΒΒΑΤΟ 11 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2021

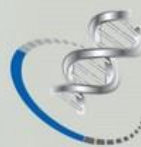
16:30 – 19:00	Στρογγυλό τραπέζι - Η συμβολή της γονιδιωματικής στα σπάνια νοσήματα: από την έρευνα στην κλινική πράξη Προεδρείο: Ν. Μοσχονάς, Γ. Κολιός
16:30 – 16:40	Εισαγωγή - Χαιρετισμός
16:40 – 17:00	Προκλήσεις τεχνολογίας αλληλούχησης νέας γενιάς. Διγονιδιακή κληρονομηση και γενετικοί τροποποιητές Κ. Δέλτας
17:00 – 17:20	Σύγχρονες μεθοδολογίες βιοπληροφορικής για την ανάδειξη υποψήφιων επανατοποθετημένων φαρμάκων Γ. Σπύρου
17:20 – 17:40	Πειραματικά μοντέλα ασθενειών του ανθρώπου στο zebrafish Δ. Μπέης
17:40 – 18:00	RNA, η σκοτεινή ύλη των γονιδιωμάτων Κ. Σταθόπουλος
18:00 – 18:20	Σπάνιες γενετικές μορφές νόσου Parkinson: κλειδί για την παθογένεια και τη θεραπεία της νόσου Λ. Στεφανής
18:20 – 18:40	Η γονιδιωματική στην υπηρεσία της δημόσιας υγείας Δ. Θάνος
18:40 – 19:00	Ερωτήσεις – Συζήτηση
19:00 – 20:00	Διακεκριμένη Ομιλία Stress, ανθρώπινος εγκέφαλος και νόσοι Ομιλητής: Γ. Χρούσος
20:00	Λήξη Προγράμματος 2 ^{ης} ημέρας



It is now more important than ever
to find the cause of your patient's hypotonia.

COULD IT BE AADC DEFICIENCY?

➤ Visit **AADCinsights.eu** to learn more about the signs, symptoms, and tests for Aromatic L-amino Acid Decarboxylase (AADC) deficiency.



ΚΥΡΙΑΚΗ 12 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2021

10:00 – 11:10

Στρογγυλό Τραπέζι – Μυική Δυστροφία (Duchenne)

Προεδρείο: Ε. Χρόνη, Α. Κωδούνης

10:00 – 10:20

Επιδημιολογία – Εργαστηριακή Διερεύνηση

Κ. Παπαδόπουλος

10:20 – 10:40

Η νόσος στα παιδιά

Μ. Κατσαλούλη

10:40 – 11:00

Η νόσος στους ενήλικες

Γ. Παπαδήμας

11:00 – 11:10

Ερωτήσεις – Συζήτηση

11:10 – 12:20

Στρογγυλό Τραπέζι – Νόσος Κινητικού Νευρώνα

Προεδρείο: Κ. Ε. Καραγεωργίου, Θ. Κωνσταντινίδης

11:10 – 11:25

Πόσο εύκολη είναι η κλινική διάγνωση της νόσου?

Κ. Ε. Καραγεωργίου

11:25 – 11:45

Παθογενετική Προσέγγιση

Θ. Κωνσταντινίδης

11:45 – 12:05

Εργαστηριακή Διερεύνηση

Μ. Γεωργάλα

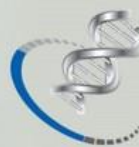
12:05 – 12:20

Τι νεότερο στη θεραπευτική προσέγγιση της ALS?

Ε. Χρόνη

12:10 – 12:20

Ερωτήσεις – Συζήτηση



ΚΥΡΙΑΚΗ 12 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2021

12:20 – 13:30	Στρογγυλό τραπέζι – Μυασθενικό Σύνδρομο Eaton Lambert και συγγενή μυασθενικά σύνδρομα Προεδρείο: Α. Κωδούνης, Θ. Κωνσταντινίδης
12:20 – 12:35	Επιδημιολογικά Στοιχεία – Κλινικός Φαινότυπος Κ. Παπαδόπουλος
12:35 – 12:50	Νευροφυσιολογική Προσέγγιση Α. Κωδούνης
12:50 – 13:05	Ανοσολογική Προσέγγιση Ι. Τζάρτος
13:05 – 13:20	Υπάρχει θεραπευτική αντιμετώπιση; – Νεότερα δεδομένα Ε. Χρόνη
13:20 – 13:30	Ερωτήσεις – Συζήτηση
13:30 – 14:00	Διάλεξη «Εγγενή Λάθη της Ανόσιας - Πρωτοπαθείς Ανοσοανεπάρκειες». Ομιλήτρια: Μ. Κανάριου
14.00	Λήξη Συνεδρίου



διαθέτουμε σπάνια δύναμη

March 2019, PP-5533

Στη Sobi αρνούμαστε να συμβιβαστούμε με το κατεστημένο. Οι προκλήσεις με τις οποίες έρχονται αντιμέτωποι καθημερινά όσοι πάσχουν από σπάνιες παθήσεις, μας εμπνέουν να συνεχίσουμε να ανακαλύπτουμε νέους τρόπους που θα βελτιώσουν την ποιότητα ζωής τους.

Ως βιοφαρμακευτική εταιρεία εξειδικευμένης φροντίδας, είμαστε αφοσιωμένοι στις σπάνιες παθήσεις. Μέσω των κλινικών μας ερευνών διασφαλίζουμε την πρόσβαση των ασθενών σε καινοτόμες θεραπείες, προσφέροντας παράλληλα περισσότερες δυνατότητες τόσο για τους ίδιους όσο και για εκείνους που τους φροντίζουν.

Προσφέρουμε κάτι σπάνιο στον τομέα των σπάνιων παθήσεων - την πίστη μας στη δύναμη της προσήλωσης, την ισχύ της ευελιξίας και το δυναμικό των ανθρώπων που υπηρετούμε με αφοσίωση.

Το ONPATTRO® ▼ (patisiran) ενδείκνυται για χρήση σε κληρονομική αμυλοείδωση που προκαλείται από τρανσθυρετίνη (αμυλοείδωση hATTR) σε ενήλικες ασθενείς με πολυνευροπάθεια σταδίου 1 ή σταδίου 2¹

ONPATTRO®: Επαναπροσδιορίζοντας τις προσδοκίες στη θεραπεία της hATTR αμυλοείδωσης με πολυνευροπάθεια¹⁻⁴

Οι πολυσυστηματικές εκδηλώσεις της hATTR αμυλοείδωσης επιδρούν σημαντικά στην καθημερινή ζωή^{3,4}

onpattro ▼
2 mg/mL concentrate for solution
for infusion patisiran

Η θεραπεία με ONPATTRO®:

- Αναστρέφει την πολυνευροπάθεια στην πλειοψηφία των ασθενών²
- Μειώνει τα συμπτώματα της αυτόνομης νευροπάθειας²
- Αναστέλλει την έκπτωση στην ικανότητα των ασθενών να πραγματοποιούν καθημερινές δραστηριότητες²
- Βελτιώνει την ποιότητα ζωής στην πλειοψηφία των ασθενών²

Το ONPATTRO® μπορεί να χρησιμοποιηθεί ως θεραπεία πρώτης γραμμής για τους ασθενείς σας με κληρονομική αμυλοείδωση που προκαλείται από τρανσθυρετίνη (hATTR) με πολυνευροπάθεια¹

1. Περίληψη Χαρακτηριστικών Προϊόντος ONPATTRO®, 2. Adams D, et al. N Engl J Med. 2018;379(1):11-21., 3. Coelho T, et al. Curr Med Res Opin. 2013;29(1):63-76., 4. Conceição I, et al. Amyloid. 2019;26(1):3-9.
ATTR: TTR amyloidosis, hATTR: hereditary ATTR (hATTR) amyloidosis, RNA: ribonucleic acid, RNAi: RNA interference, TTR: transthyretin

Περαιτέρω πληροφορίες διατίθενται από τη Γένεσις Φάρμα Α.Ε.

Για συνταγογραφικές πληροφορίες ανατρέξτε στη σελίδα 19

▼ Το φάρμακο αυτό τελεί υπό συμπληρωματική παρακολούθηση. Αυτό θα επιτρέψει το γρήγορο προσδιορισμό νέων πληροφοριών ασφαλείας. Ζητείται από τους επαγγελματίες υγείας να αναφέρουν οποιοδήποτε πιθανολογούμενο ανεπιθύμητο ενέργημα. Βλ. παράγραφο 4.2 για τον τρόπο αναφοράς ανεπιθύμητων ενεργειών.

που είναι διαθέσιμη κατά τη διάρκεια της χορήγησης. Εάν υπολογίζετε αυτών, πρέπει να τη διαμοιράσετε ομοίωμα να την τοπική συντήρηση πρακτική για μη φλυασιάζουσες ουσίες. • Ο ασθενής θα πρέπει να παρακολουθείται κατά τη διάρκεια της έγκυας και εάν ενδείκνυται κλινικά, μετά την έγκυα (βλ. παράγραφο 4.4). • Μετά την ολοκλήρωση της έγκυας, το σετ ενδοφλέβιας χορήγησης θα πρέπει να αποθηκεύεται με άλλους φάρμακους νατρίου 9 mg/mL (0,9%) να να βεβαιωθείτε ότι έχει χορηγηθεί από το φαρμακείο πριόνι. Η έγκυα του Onpatra θα είναι μπορεί να εξεταστεί για ασθενείς που έχουν αναβεί καλώς ταυτότητα 3 έτη στην κλινική. Η απόφαση εάν ο ασθενής θα λάβει ενδοφλέβια έγκυα, θα είναι θα πρέπει να ληφθεί επίσης από αξιολόγηση και σύσταση από τον θεράποντα ιατρό. Οι έγκυες θα είναι πρέπει να πραγματοποιούνται από επαγγελματίες της υγείας. **4.3 Αντενδείξεις** Σοβαρή υποπείραση (π.χ. αναπνευστική) στη δραστησιότητα ή σε κάποιο από τα ένδρα. **4.4 Ειδικές προειδοποιήσεις και προφυλάξεις κατά τη χρήση** Αντιπροσώπων αντενδείξεων (π.χ. συμφορητική καρδιοπάθεια) ή άλλη ασυμπτωματική καρπαλμία όπως ενδείκνυται κλινικά. Εάν ασθενής ή έγκυα, μπορεί να εξεταστεί το ενδεχόμενο επανόληξης της έγκυας με πιο αριθμό έσθον έχουν αποδοθεί τα συμπτώματα. Η έγκυα του Onpatra θα πρέπει να διακοπεί σε περίπτωση σοβαρής ή απειλητικής για τη ζωή ΙΡ. Μερικοί ασθενείς που εμφανίζουν ΙΡs μπορούν να ωφεληθούν από θρομβοειν ριζική έγκυα ή από προφύλαξη ή υψηλότερης δόσης, μιας ή περισσότερων από τις προκαταρκτικές φαρμακευτικές θεραπείες σε επανάληψη ενδείξεων για μείωση των κινδύνων των ΙΡs. Δυσταξία βλαμής **Α**: Με τη μείωση της πρωτεΐνης TTR στον ορό, η θεραπεία με Onpatra οδηγεί σε μείωση των επιπέδων βλαμής Α (πρωτεΐνη) στον ορό. Επίπεδα βλαμής Α στον ορό χαμηλότερα από το καλύτερο όριο των φυσιολογικών θα πρέπει να διαβιβάζονται και τυχόν ορθολογικά συμπτώματα ή σημεία λόγω ανεπάρκειας της βλαμής Α θα πρέπει να αξιολογούνται πριν από την έναρξη της θεραπείας με Onpatra. Οι ασθενείς που λαμβάνουν Onpatra θα πρέπει να λαμβάνουν συμπλήρωση από τον σύστημα με περίπου 2500 IU βλαμής Α την ημέρα, για τη μείωση του κινδύνου ορθολογικής τοξικότητας λόγω ανεπάρκειας βλαμής Α. Συνιστάται παραπομπή για ορθολογική αξιολόγηση εάν οι ασθενείς ενδείκνυται ορθολογικά συμπτώματα που υποδεικνύουν ανεπάρκεια της βλαμής Α, συμπεριλαμβανομένης της μείωσης της χωρητικότητας άνδρα ή της νευρολογίας, της επίμονης έσθον, της φλεγμονής των οφθαλμών, της φλεγμονής ή της εξάνθημα του κερατοειδούς, της πάλησης του κερατοειδούς ή της διάρρηξης του κερατοειδούς. Το επίπεδο της βλαμής Α στον ορό δεν θα πρέπει να χρησιμοποιούνται ως οδηγός για τη συμπλήρωση της βλαμής Α κατά τη διάρκεια της θεραπείας με Onpatra (βλ. παράγραφο 4.5). Κατά τη διάρκεια των πρώτων 60 ημερών της κλινικής, τόσο τα παιδιά χωρίς όσο και τα παιδιά χωρίς βλαμής βλαμής Α μπορεί να συσχετιστούν με αυξημένο κίνδυνο εμβολικής δυσταξίας. Συνεπώς, η κλινική θα πρέπει να αποκλείεται πριν από την έναρξη του Onpatra και οι γυναίκες με δυνατότητα τεκνοποίησης θα πρέπει να χρησιμοποιούν αποτελεσματική αντισύλληψη. Εάν μια γυναίκα σκοπεύει να μείνει έγκυα, το Onpatra και η συμπλήρωση της βλαμής Α θα πρέπει να διακοπτούν και τα επίπεδα βλαμής Α στον ορό θα πρέπει να παρακολουθούνται και να έχουν επιτηρείται στο φυσιολογικό πριν από την προσπάθεια σύλληψης. Σε περίπτωση μη προγραμματισμένης κλινικής, το Onpatra θα πρέπει να διακοπτούν (βλ. παράγραφο 4.6). Η αντισύλληψη της βλαμής Α θα πρέπει να διακοπτούν κατά τη διάρκεια του πρώτου τμήματος, εκτός εάν η έγκυα γυναίκα έχει κάποιο σημείο ανεπάρκειας βλαμής Α. Εάν υπάρχουν τέτοια σημεία, η αντισύλληψη της βλαμής Α δεν θα πρέπει να υπερβαίνει τα 2500 IU την ημέρα. Κατόπιν, η αντισύλληψη με 2500 IU βλαμής Α την ημέρα θα πρέπει να συνεχιστεί στο δεύτερο και το τρίτο τρίμηνο ενώ τα επίπεδα της βλαμής Α στον ορό δεν έχουν επανέλθει στο φυσιολογικό, λόγω του αυξημένου κινδύνου ανεπάρκειας βλαμής Α στο τρίτο τρίμηνο. Σύνδεση Το παρόν φαρμακείο προϊόν περιέχει 3,99 mg νατρίου ανά mL, ισοδύναμο με 0,2% της μείωσης ημερήσιας πρόσληψης των 2 g νατρίου για ενήλικες, όπως συνιστάται από τον ΠΟΥ. **4.5 Αλληλεπιδράσεις με άλλα φαρμακευτικά προϊόντα και άλλες μορφές αλληλεπίδρασης** Δεν έχουν πραγματοποιηθεί μελέτες αλληλεπίδρασης. Το Onpatra δεν αναμένεται να επηρεάσει από αναστολή ή επαγωγή των ενζύμων του κυτοχρώματος P450 να προκαλέσει αλληλεπιδράσεις μεταξύ φαρμάκων, εκτός της επαγωγής και της χρονοεξαρτώμενης αναστολής του CYP2B6 in vitro. Η καθόριση επίδραση στα υποσυστήματα του CYP2B6 (π.χ. βουπροπρίλη και εφεδρενίνη) in vivo είναι άγνωστη. Επιδράσεις βλαμής Α Η TTR στον ορό είναι ένας φορέας πρωτεΐνης οξυγόνο ρετινίου, που διακυβεύεται στη μεταφορά της βλαμής Α στο οστό. Η θεραπεία με Onpatra μειώνει τα επίπεδα της TTR στον ορό, με αποτέλεσμα μειωμένο επίπεδο πρωτεΐνης δεσμευτική μετάνλη και βλαμής Α στον ορό. Οποσδήποτε, ημερομηνία και η πρόσληψη βλαμής Α στους οστούς μπορεί να αυξηθεί μέσω αναλκτικών μηχανισμών, αποκλειστικά πρωτεΐνης δεσμευτική ρετινίου. Οι αποτελέσματα κατά τη διάρκεια της θεραπείας με Onpatra, οι εργαστηριακές εξετάσεις για τη βλαμής Α στον ορό δεν αναμένονται τη συνολική ποσότητα βλαμής Α στον οργανισμό και δεν πρέπει να χρησιμοποιούνται για να κατευθύνουν την αντισύλληψη της βλαμής Α (βλ. παράγραφο 4.4). **4.6 Γονιμότητα, κύηση και γαλουχία** Γυναίκες με δυνατότητα τεκνοποίησης Η θεραπεία με Onpatra μειώνει τα επίπεδα των βλαμής Α στον ορό. Τόσο τα παιδιά χωρίς όσο και τα παιδιά χωρίς επίπεδα βλαμής Α μπορεί να συσχετιστούν με αυξημένο κίνδυνο εμβολικής δυσταξίας. Συνεπώς, η κλινική θα πρέπει να αποκλείεται πριν από την έναρξη της θεραπείας και οι γυναίκες με δυνατότητα τεκνοποίησης θα πρέπει να χρησιμοποιούν αποτελεσματική αντισύλληψη. Εάν μια γυναίκα σκοπεύει να μείνει έγκυα, το Onpatra και η συμπλήρωση της βλαμής Α θα πρέπει να διακοπτούν και τα επίπεδα της βλαμής Α στον ορό θα πρέπει να παρακολουθούνται και να έχουν επιτηρείται στο φυσιολογικό πριν από την προσπάθεια σύλληψης. Κύηση Δεν υπάρχουν δεδομένα σχετικά με τη χρήση του Onpatra σε έγκυες γυναίκες. Οι μελέτες σε ζώα είναι ανεπαρκείς στον αφορά την αναπαραγωγική τοξικότητα. Λόγω του ενδεχόμενου κινδύνου τερατογένεσης που οφείλεται σε ότι ισορροπία μεταξύ επιπέδων βλαμής Α, το Onpatra δεν θα πρέπει να χρησιμοποιείται κατά τη διάρκεια της κύησης, εκτός εάν η κλινική κατάσταση της γυναίκας απαιτεί θεραπεία. Οι προληπτικό μέτρο, θα πρέπει να λαμβάνονται μετρήσεις των επιπέδων της βλαμής Α και της θυρεοειδοτρόπου ορμόνης (TSH) σε πρώιμο στάδιο της κύησης. Θα πρέπει να πραγματοποιείται στενή παρακολούθηση του εμβρύου σε περίπτωση μη προγραμματισμένης κύησης, ειδικά κατά τη διάρκεια του πρώτου τμήματος (βλ. παράγραφο 4.4). Οι γυναίκες σε αναπαραγωγική ηλικία πρέπει να χρησιμοποιούν αποτελεσματική αντισύλληψη κατά τη διάρκεια της θεραπείας με Onpatra. Βλαμής Δεν είναι γνωστό αν το Onpatra εκκρίνεται στο ανθρώπινο γάλα. Τα διαθέσιμα τελεολογικά δεδομένα σε ζώα έδειξαν απεκκρίση μικρών ποσοτήτων λιποειδών συστατικών Dlin-M3-DMA και PEG – –DMG στο γάλα. Πρέπει να αποφευχθούν εάν θα διακοπεί ή θα διακοπεί απόσπασμα ή η θεραπεία με Onpatra, λαμβάνοντας υπόψη το όσος του θηλασμού για το παιδί και το όσος της βλαμής για τη γυναίκα. Γαλουχία Δεν υπάρχουν δεδομένα σχετικά με τη εκκρίσεις του Onpatra στην ανθρώπινη γαλουχία. Δεν παρατηρήθηκε καμία επίδραση στη γονιμότητα σε μελέτες σε αρσενικά και θηλυκά ζώα. **4.7 Επιδράσεις στην ικανότητα οδήγησης και χειρισμού μηχανημάτων** Το Onpatra δεν έχει καμία ή έχει ασήμαντη επίδραση στην ικανότητα οδήγησης ή χειρισμού μηχανημάτων. **4.8 Ανεπιθύμητες ενέργειες** Περιλάμβανει τον ποσοφ ασφαλείας Οι πιο συχνά εμφανιζόμενες ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρονται σε ασθενείς που λαμβάνουν θεραπεία με Onpatra ήταν το περσιτικό πόνο (29,7%) και οι αναπνευστικές σχετιζόμενες με την έγκυα (18,9%). Η μόνη ανεπιθύμητη ενέργεια που οδήγησε στη διακοπή του Onpatra ήταν μία αντίδραση σχετιζόμενη με την έγκυα (10,7%). Ποσοφ ανεπιθύμητων ενεργειών Οι ανεπιθύμητες ενέργειες παραπομπή ως πρωταμηνία ορό με MedDRA από κατηγορία οργάνου συστήματος MedDRA (SOC) από οσχεύματα. Σε κάθε κατηγορία οσχεύματος, οι ανεπιθύμητες ενέργειες παραπομπή κατά φθίνουσα σειρά σοβαρότητας. Η οσχεύματα των ανεπιθύμητων ενεργειών εκφράζεται ομόσημα με τις ακόλουθες κατηγορίες: Πολύ συχνές ($\geq 1/10$). • Συχνές ($\geq 1/100$ έως $< 1/10$). • Οσχεύματα ($\geq 1/1000$ έως $< 1/100$). • Ραρέ ($\geq 1/10000$ έως $< 1/1000$). • Πολύ ραρές ($< 1/10000$).

Πίνακας 1: Ανεπιθύμητες ενέργειες που αναφέρθηκαν για το Onpattro, 300 μικρογραμμάρια ανά χιλιόγραμμα

Κατηγορία/οργανικό σύστημα	Ανεπιθύμητη ενέργεια	Συχνότητα
Λοιμώξεις και παροπύσεις	Βρογχίτιδα	Συχνές
	Παραρρινοκολπίτιδα	Συχνές
	Ριτίτιδα	Συχνές
Διαταραχές του ανοσοποιητικού συστήματος	Αντίδραση υπερίσχυση με την έγχυση	Πολύ συχνές
Διαταραχές του ωτός και του λαβυρίνθου	Ψαλλισμός	Συχνές
Διαταραχές του αναπνευστικού συστήματος, του θώρακα και του μεσοθωράκιου	Δυσπνοια	Συχνές
Διαταραχές του γαστρεντερικού	Δυσπεψία	Συχνές
Διαταραχές του δέρματος και του υποδόριου ιστού	Ερύθημα	Συχνές
Διαταραχές του μυοσκελετικού συστήματος και του συνδετικού ιστού	Αρθροαλγία	Συχνές
	Μυϊκοί σπασμοί	Συχνές
Γενικές διαταραχές και καταστάσεις της οδού χορήγησης	Περφερικό οίδημα	Πολύ συχνές
	Εξάνθημα	Όχι συχνές

[illegible]

Εισαφίσητε να γίνουν τα φάρμακα πιο ασφαλή και **Αναφέρετε**
ΟΛΕΣ τις ανεπιθύμητες ενέργειες για
ΌΛΑ τα φάρμακα Συμπληρώνοντας
 την «**ΚΙΤΡΙΝΗ ΚΑΡΤΑ**»

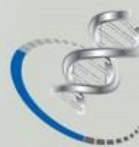
ΣΥΝΤΑΓΟΓΡΑΦΙΚΕΣ ΠΛΗΡΟΦΟΡΙΕΣ 1. ΟΝΟΜΑΣΙΑ ΤΟΥ ΦΑΡΜΑΚΕΥΤΙΚΟΥ ΠΡΟΪΟΝΤΟΣ Galafold 123 mg σκληρά καψάκια **2. ΠΟΙΟΤΙΚΗ ΚΑΙ ΠΟΣΟΤΙΚΗ ΣΥΝΘΕΣΗ** Κάθε καψάκιο περιέχει υδροχλωρική μιγαλαστάτη ισοδύναμη με 123 mg μιγαλαστάτης. Για τον πλήρη κατάλογο των εκδόχων, βλ. παράγραφο 6.1. **3. ΦΑΡΜΑΚΟΤΕΧΝΙΚΗ ΜΟΡΦΗ** Σκληρό καψάκιο. Σκληρό καψάκιο μεγέθους 2 (6,4 x 18,0 mm) με μπλε αδιαφανές κάλυμμα και λευκό αδιαφανές σώμα το οποίο φέρει το τύπωμα "A1001" με μαύρο μελάνι και περιέχει λευκή έως ανοιχτή καφέ κόνι. **4. ΚΛΙΝΙΚΕΣ ΠΛΗΡΟΦΟΡΙΕΣ 4.1 Θεραπευτικές ενδείξεις** Το Galafold ενδείκνυται για τη μακροχρόνια θεραπεία ενηλίκων και εφήβων ηλικίας 16 ετών και άνω με επιβεβαιωμένη διάγνωση της νόσου Fabry (ανεπάρκεια α-γαλακτοσιδάσης Α) με μεταλλάξη επιδεκτική θεραπείας. **4.2 Δοσολογία και τρόπος χορήγησης** Η έναρξη και η επίβλεψη της θεραπείας με Galafold πρέπει να πραγματοποιείται από εξειδικευμένους γιατρούς με εμπειρία στη διάγνωση και θεραπεία της νόσου Fabry. Το Galafold δεν προορίζεται για χρήση σε συνδυασμό με θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης (βλ. παράγραφο 4.4). **Δοσολογία** Το συνιστώμενο δοσολογικό σχήμα για ενήλικες και εφήβους ηλικίας 16 ετών και άνω είναι 123 mg μιγαλαστάτης (1 καψάκιο) μία φορά ανά δύο ημέρες την ίδια ώρα κάθε ημέρα. **Παράλειψη δόσης** Το Galafold δεν πρέπει να λαμβάνεται σε 2 συνεχόμενες ημέρες. Εάν παραλειφθεί εντελώς η δόση μιας ημέρας, ο ασθενής θα πρέπει να πάρει τη δόση του Galafold που χάθηκε μόνον εάν αυτό συμβεί εντός 12 ωρών από την κανονική ώρα λήψης της δόσης. Εάν έχουν περάσει παραπάνω από 12 ώρες, ο ασθενής θα πρέπει να συνεχίσει τη λήψη Galafold στην επόμενη προγραμματισμένη ημέρα και ώρα σύμφωνα με το δοσολογικό σχήμα που προβλέπει λήψη δόσης κάθε δεύτερη ημέρα. **Ειδικό πληθυσμό Ηλικιωμένος πληθυσμός** Δεν απαιτείται προσαρμογή της δοσολογίας με βάση την ηλικία. **Νεφρική δυσλειτουργία** Το Galafold δεν ενδείκνυται για χρήση σε ασθενείς με νόσο Fabry και εκτιμώμενο ρυθμό σπειραματικής διήθησης (GFR) μικρότερο από 30 ml/min/1,73 m². **Ηπατική δυσλειτουργία** Δεν απαιτείται προσαρμογή της δόσης του Galafold σε ασθενείς με ηπατική δυσλειτουργία. **Παιδιατρικός πληθυσμός** Η ασφάλεια και η αποτελεσματικότητα του Galafold σε παιδιά ηλικίας κάτω των 16 ετών δεν έχουν ακόμη τεκμηριωθεί. Δεν υπάρχουν διαθέσιμα δεδομένα. **Τρόπος χορήγησης** Από στόματος χρήση. Η έκθεση στο Galafold μειώνεται κατά περίπου 40% με την ταυτόχρονη λήψη τροφής και, για τον λόγο αυτό, δεν θα πρέπει να καταναλώνεται γεύμα τουλάχιστον 2 ώρες πριν και 2 ώρες μετά τη λήψη Galafold ώστε να υπάρξει τουλάχιστον 4 ώρες νηστεία. Διαιτή ηγρή, συμπεριλαμβανομένων και αναψυκτικών, μπορούν να καταναλωθούν στη διάρκεια αυτή. Για τη βελτιστοποίηση του οφέλους του ασθενή, το Galafold πρέπει να λαμβάνεται κάθε δύο ημέρες την ίδια ώρα. Τα καψάκια πρέπει να καταπίνονται ολόκληρα. Τα καψάκια δεν πρέπει να τεμαχίζονται, ούτε να συνθλίβονται ή να μασώνται. **4.3 Αντενδείξεις** Υπερευαισθησία στη δραστική ουσία ή σε κάποιο από τα έκδοχα που αναφέρονται στην παράγραφο 6.1. **4.4 Ειδικές προειδοποιήσεις και προφυλάξεις κατά τη χρήση** Στους ασθενείς που ξεκινούν θεραπεία με μιγαλαστάτη ή αντικαθιστούν με αυτό προηγούμενη θεραπεία, συνιστάται να υποβάλλονται σε τακτική (ανά 6 μηνύ) παρακολούθηση της νεφρικής λειτουργίας, των ηχοκαρδιογραφικών παραμέτρων και των βιοχημικών δεικτών τους. Σε περίπτωση σημαντικής κλινικής επιδείνωσης, πρέπει να εξετάζεται το ενδεχόμενο περαιτέρω κλινικής αξιολόγησης ή διακοπής της θεραπείας με Galafold. Το Galafold δεν ενδείκνυται για χρήση σε ασθενείς με μεταλλάξεις μη επιδεκτικές θεραπείας. Στους υπό θεραπεία ασθενείς με Galafold δεν έχει παρατηρηθεί μείωση της πρωτεϊνουρίας. Το Galafold δεν ενδείκνυται για χορήγηση σε ασθενείς με σοβαρή νεφρική ανεπάρκεια, χαρακτηριζόμενη από εκτιμώμενο ρυθμό σπειραματικής διήθησης (GFR) μικρότερο από 30 ml/min/1,73m². Υπάρχει περιορισμένος αριθμός δεδομένων που υποδεικνύουν ότι η χορήγηση μιας δόσης μιγαλαστάτης σε συνδυασμό με έγχυση καθιερωμένης θεραπείας ενζυμικής υποκατάστασης αυξάνει την έκθεση στην αγγαιόδοξη έως 5 φορές. Από την ίδια μελέτη προκύπτει ότι η αγγαιόδοξη δεν επιδρά στη φαρμακοκινητική της μιγαλαστάτης. Το Galafold δεν προορίζεται για χορήγηση σε συνδυασμό με θεραπεία ενζυμικής υποκατάστασης. **4.5 Αλληλεπιδράσεις με άλλα φαρμακευτικά προϊόντα και άλλες μορφές αλληλεπίδρασης** Με βάση *in vitro* δεδομένα, η μιγαλαστάτη δεν είναι επαγωγέας των CYP1A2, 2B6 ή 3A4. Επιπλέον, η μιγαλαστάτη δεν είναι αναστολέας ούτε υπόστρωμα των CYP1A2, 2A6, 2B6, 2C8, 2C9, 2C19, 2D6, 2E1 ή 3A4/5. Η μιγαλαστάτη δεν είναι υπόστρωμα των μεταφορέων MDR1 ή BCRP, ούτε αναστολέας των ανθρώπινων μεταφορέων εκροής BCRP, MDR1, ή BSEP. Επιπλέον, η μιγαλαστάτη δεν είναι υπόστρωμα των μεταφορέων MATE1, MATE2-K, OAT1, OAT3 ή OCT2 ούτε αναστολέας των ανθρώπινων μεταφορέων πρόσληψης OATP1B1, OATP1B3, OAT1, OAT3, OCT1, OCT2, MATE1 ή MATE2-K. **4.6 Γονιμότητα, κύηση και γαλουχία** **Γυναίκες σε αναπαραγωγική ηλικία/Αντισύλληψη σε άνδρες και γυναίκες** Το Galafold δεν συνιστάται σε γυναίκες αναπαραγωγικής ηλικίας που δεν χρησιμοποιούν αντισύλληψη. **Κύηση** Τα δεδομένα σχετικά με τη χρήση του Galafold στις έγκυες γυναίκες είναι περιορισμένα. Στα κουνέλια, αναπτυξιακή τοξικότητα παρατηρήθηκε μόνο σε δόσεις τοξικές για τη μητέρα. Δεν συνιστάται η χρήση του Galafold κατά τη διάρκεια της κύησης. **Θηλασμός** Δεν είναι γνωστό εάν το Galafold απεκκρίνεται στο μητρικό γάλα. Έχει καταδειχθεί, ωστόσο, ότι η μιγαλαστάτη απεκκρίνεται στο γάλα επίμυων που θηλάζουν. Ως εκ τούτου, δεν μπορεί να αποκλειστεί ο κίνδυνος έκθεσης στη μιγαλαστάτη για το βρέφος που θηλάζει. Συνεπώς, πρέπει να αποφασιστεί εάν θα διακοπεί ο θηλασμός ή εάν θα διακοπεί το Galafold, σταθμίζοντας το όφελος του θηλασμού για το παιδί με το όφελος της θεραπείας για τη μητέρα. **Γονιμότητα** Τα αποτελέσματα του Galafold στη γονιμότητα δεν έχουν μελετηθεί σε ανθρώπους. Σε όλες τις δόσεις που αξιολογήθηκαν, η θεραπεία αρσενικών επίμυων με μιγαλαστάτη συσχετίστηκε με παροδική και πλήρως αναστρέψιμη στειρότητα. Πλήρης αναστροφή επήλθε 4 εβδομάδες μετά τη διακοπή του δοσολογικού σχήματος. Παρόμοια αποτελέσματα παρατηρήθηκαν στο προκλινικό στάδιο, κατόπιν θεραπείας με άλλα μινο-σάκχαρα. Η μιγαλαστάτη δεν επηρέασε τη γονιμότητα των θηλυκών επίμυων. **4.7 Επιδράσεις στην ικανότητα οδήγησης και χειρισμού μηχανημάτων** Το Galafold δεν έχει καμία ή έχει ασήμαντη επίδραση στην ικανότητα οδήγησης και χειρισμού μηχανημάτων. **4.8 Ανεπιθύμητες ενέργειες** **Περιγραφή του προφίλ ασφαλείας** Η πιο συχνή ανεπιθύμητη ενέργεια ήταν η κεφαλαλγία, η οποία παρατηρήθηκε σε περίπου 10% των ασθενών που έλαβαν Galafold. **Κατάλογος ανεπιθύμητων ενεργειών σε μορφή πίνακα** Η συχνότητα εμφάνισης ορίζεται ως ακολούθως: πολύ συχνές ($\geq 1/10$), συχνές ($\geq 1/100$ και $< 1/10$), όχι συχνές ($\geq 1/1.000$ και $< 1/100$), σπάνιες ($\geq 1/10.000$ και $< 1/1.000$), πολύ σπάνιες ($< 1/10.000$) και μη γνωστές (δεν μπορούν να εκτιμηθούν με βάση τα διαθέσιμα δεδομένα). Για κάθε κατηγορία συχνότητας εμφάνισης, οι ανεπιθύμητες ενέργειες παρατίθενται κατά φθίνουσα συχνότητα εμφάνισης σε κάθε κατηγορία/οργανικό σύστημα.

Πίνακας 1: Ανεπιθύμητες ενέργειες με το Galafold

Κατηγορία/οργανικό σύστημα	Πολύ συχνές	Συχνές
Ψυχιατρικές διαταραχές		Κατάθλιψη
Διαταραχές του νευρικού συστήματος	Κεφαλαλγία	Παραισθησία, Ζάλη, Υπαισθησία
Διαταραχές του ωτός και του λαβυρίνθου		Ίλιγγος
Καρδιακές διαταραχές		Αίσθημα παλμών
Διαταραχές του αναπνευστικού συστήματος, του θώρακα και του μεσοθωράκιου		Δύσπνοια, Επίσπαση
Διαταραχές του γαστρεντερικού		Διάρροια, Ναυτία, Πόνος στην κοιλιά, Δυσκοιλιότητα, Ξηροστομία, Επιτακτική ανάγκη για αφόδευση, Δυσπεψία
Διαταραχές του δέρματος και του υποδόριου ιστού		Εξάνθημα, Κνησμός
Διαταραχές του μυοσκελετικού συστήματος και του συνδετικού ιστού		Μυϊκοί σπασμοί, Μυαλγία, Ραιβόκρανο, Άλγος των άκρων
Διαταραχές των νεφρών και των ουροφόρων οδών		Πρωτεϊνουρία
Γενικές διαταραχές και καταστάσεις της οδού χορήγησης		Κόπωση, Άλγος
Παρακλινικές εξετάσεις		Αυξημένη κρεατινοφωσφοκινάση αίματος, Αύξηση βάρους

Αναφορά πιθανολογούμενων ανεπιθύμητων ενεργειών Η αναφορά πιθανολογούμενων ανεπιθύμητων ενεργειών μετά τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας του φαρμακευτικού προϊόντος είναι σημαντική. Επιτρέπει τη συνεχή παρακολούθηση της σχέσης οφέλους-κινδύνου του φαρμακευτικού προϊόντος. Ζητείται από τους επαγγελματίες υγείας να αναφέρουν οποιοδήποτε πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες μέσω του εθνικού συστήματος αναφοράς: **Ελλάδα** Εθνικός Οργανισμός Φαρμάκων, Μεσογείων 284, GR-15562 Χολαργός, Αθήνα, Τηλ: + 30 21 32040380/337, Φαξ: + 30 21 06549585, Ιστότοπος: <http://www.eof.gr>. **Κύπρος** Φαρμακευτικές Υπηρεσίες, Υπουργείο Υγείας, CY-1475 Λευκωσία, Τηλ: +357 22608607, Φαξ: + 357 22608669, Ιστότοπος: www.moh.gov.cy/phs. **4.9 Υπερδοσολογία** Σε περίπτωση υπερδοσολογίας, συνιστάται η προσφυγή σε υπηρεσίες γενικής ιατρικής περίθαλψης. Η συχνότερες ανεπιθύμητες ενέργειες με το Galafold ήταν κεφαλαλγία και ζάλη και αναφέρθηκαν σε δόσεις άνω των 1.250 mg και 2000 mg, αντιστοίχως. **7. ΚΑΤΟΧΟΣ ΤΗΣ ΑΔΕΙΑΣ ΚΥΚΛΟΦΟΡΙΑΣ** Amicus Therapeutics Europe Limited, Block 1, Blanchardstown Corporate Park, Ballycoolin Road, Blanchardstown, Dublin, D15 AKK1, Ιρλανδία, Τηλ.: +353 (0) 1 588 0836, Φαξ: +353 (0) 1 588 6851, e-mail: info@amicusrx.co.uk. **8. ΑΡΙΘΜΟΣ(ΟΙ) ΑΔΕΙΑΣ ΚΥΚΛΟΦΟΡΙΑΣ** EU/1/15/1082/001 **9. ΗΜΕΡΟΜΗΝΙΑ ΠΡΩΤΗΣ ΕΓΚΡΙΣΗΣ/ΑΝΑΝΕΩΣΗΣ ΤΗΣ ΑΔΕΙΑΣ** Ημερομηνία πρώτης έγκρισης: 26 Μαΐου 2016, Ημερομηνία τελευταίας ανανέωσης: 11 Φεβρουαρίου 2021 **10. ΗΜΕΡΟΜΗΝΙΑ ΑΝΑΘΕΩΡΗΣΗΣ ΤΟΥ ΚΕΙΜΕΝΟΥ** 03.2021 Λεπτομερείς πληροφορίες για το παρόν φαρμακευτικό προϊόν είναι διαθέσιμες στον δικτυακό τόπο του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων <http://www.ema.europa.eu>. **ΤΡΟΠΟΣ ΔΙΑΘΕΣΗΣ:** Περιορισμένη ιατρική συνταγή από ειδικό ιατρό και παρακολούθηση κατά τη διάρκεια της αγωγής. **ΤΙΜΗ Ενδεικτική (Ν.Τ.):** GALAFOLD CAPS 123MG/CAP BtX14 (PVC/PCTFE/PVC/Al Blister): 12.904,9€

Βοηθήστε να γίνουν τα φάρμακα πιο ασφαλή και Αναφέρετε
ΟΛΕΣ τις ανεπιθύμητες ενέργειες για
ΟΛΑ τα φάρμακα
Συμπληρώνοντας την "ΚΙΤΡΙΝΗ ΚΑΡΤΑ"



ΟΜΙΛΗΤΕΣ - ΠΡΟΕΔΡΕΙΑ

Arkillo Dimiitrios

MD, VP Clinical Development Rare Disease Acadia Pharmaceuticals inc.

Αντωνίου Αικατερίνη

Αν. Καθηγήτρια Πνευμονολογίας
Πανεπιστημίου Κρήτης, Υπεύθυνη
Εργαστηρίου Μοριακής και Κυτταρικής
Πνευμονολογίας Πανεπιστημίου
Κρήτης, ERS ASSEMBLY 12 Secretary

Βαργιάμη Ευθυμία

Αναπληρώτρια Καθηγήτρια, Τμήμα
Ιατρικής

Βλαχόπουλος Χαράλαμπος

Καθηγητής Α Καρδιολογική Κλινική
Πανεπιστημίου Αθηνών, Ιπποκράτειο
Νοσοκομείο

Γαργαλιάνος Παναγιώτης

Λοιμωξιολόγος, Πρόεδρος Ελληνικής
Εταιρείας Λοιμώξεων, Διευθυντής
Παθολογικής - Λοιμωξιολογικής Κλινικής
Ιατρικό Κέντρο Αθηνών, Μέλος της
επιτροπής των εμπειρογνομόνων για
τον νέο κορονοϊό

Γεωργάλα Μαρία

Νευρολόγος, Κλινική Νευροφυσιολόγος

Γκούγκα Διονυσία

Νευρολόγος, Επιμελήτρια Νευρολογικής
Κλινικής Γ.Ν. Παίδων Πεντέλης

Δάκας Χρήστος

Executive Director, Country Manager
Greece, Cyprus and Malta at Novartis
Gene Therapies

Δέλτας Κωνσταντίνος

Professor of Genetics, UCY Medical
School, Director, Center of Excellence in
Biobanking and Biomedical Research &
Molecular Medicine Research Center,
University of Cyprus

Δικαίος Δημήτριος

Καθηγητής Ψυχιατρικής, Α' Ψυχιατρική
Κλινική ΕΚΠΑ, Αιγινήτειο Νοσοκομείο

Ευαγγελίου Αθανάσιος

Παιδίατρος - Παιδονευρολόγος,
Καθηγητής Ιατρικής Σχολής Α.Π.Θ,
Δ' Παιδιατρική Κλινική, Νοσοκομείο
«ΠΑΠΑΓΕΩΡΓΙΟΥ», Θεσσαλονίκη

Ζαγανάς Ιωάννης

Επίκουρος Καθηγητής Νευρολογίας

Ζαφειρίου Δημήτριος

MD, PhD, Professor of Child Neurology
and Developmental Pediatrics
1st Department of Pediatrics
Aristotle University of Thessaloniki

Ζόμπολα Χριστίνα

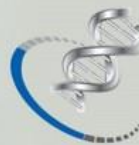
Νευρολόγος, Επιστημονική συνεργάτης
Β' Νευρολογικής Κλινικής ΕΚΠΑ, Π.Γ.Ν
«ΑΤΤΙΚΟΝ»

Θάνος Δημήτριος

Τακτικό Μέλος της Ακαδημίας Αθηνών.
Πρόεδρος του Επιστημονικού
Συμβουλίου (IIBEAA)

Καναρίου Μαρία

Παιδίατρος, Διευθύντρια Παιδιατρικής
Ανοσολογίας ΙΑΣΩ Παίδων



ΟΜΙΛΗΤΕΣ - ΠΡΟΕΔΡΕΙΑ

Κάντζου Αμαλία

Δημοιογράφος

Καραγεωργίου Ελισσαίος

Division Chief, Sleep & Memory Center,
and Scientific Director, Neurological
Institute of Athens, Atlantic Senior
Fellow for Equity in Brain Health, Atlantic
Institute

Καραγεωργίου Ε. Κλημεντίνη

Πρόεδρος ΕΕΣΠΟΦ, Νευρολόγος -
Ψυχίατρος, MD, PhD, Διευθύντρια
Νευρολογικής Κλινικής Ιατρικό Κέντρο
Αθηνών, τ. Πρόεδρος Ελληνικής
Εταιρείας Κεφαλαλγίας

Καραδήμα Γεωργία

BSc, PhD Επίκουρη Καθηγήτρια
Βιολογίας-Νευρογενετικής,
Συνυπεύθυνη Μονάδας
Νευρογενετικής, Α' Νευρολογική
Κλινική ΕΚΠΑ

Κατσαλούλη Μαρίνα

Παιδονευρολόγος - Διευθύντρια
Νοσοκομείου Παιδων Αγία Σοφία

Κάψια Ελένη

Επικουρική Νεφρολόγος, Κλινικής
Νεφρολογίας & Μεταμόσχευσης
Νεφρού, Ιατρικής Σχολής του Εθνικού
και Καποδιστριακού Πανεπιστημίου
Αθηνών, Νοσοκομείο Λαϊκών

Κοκότης Παναγιώτης

Αναπληρωτής Καθηγητής Νευρολογίας
Εθνικό και Καποδιστριακό Πανεπιστήμιο
Αθηνών Α' Νευρολογική Κλινική-
Αιγινήτειο Νοσοκομείο Εργαστήριο
Κλινικής Νευροφυσιολογίας

Κολιλέκας Λυκούργος

Πνευμονολόγος - Φυματιολόγος, MD,
PhD, Επιμελητής Α', 7^η Πνευμονολογική
Κλινική, ΓΝΝΘΑ "Η ΣΩΤΗΡΙΑ"

Κολιός Γεώργιος

Καθηγητής Φαρμακολογίας, Τμήμα
Ιατρικής, Δημοκρίτειο Πανεπιστήμιο
Θράκης

Κουρή Ιωάννα

Παιδονευρολόγος - Ειδική Ιατρός Ύπνου

Κούτσης Γεώργιος

Επίκουρος Καθηγητής Νευρολογίας -
Νευρογενετικής, Α' Νευρολογική Κλινική
ΕΚΠΑ, Αιγινήτειο Νοσοκομείο

Κωδούνης Αντώνιος

Νευρολόγος, Διευθυντής Παθολογικού
τομέα «251 ΓΝΑ», Διδάκτωρ
Πανεπιστημίου Αθηνών, Γεν.
Γραμματέας Ελληνικής Εταιρείας
Κλινικής Νευροφυσιολογίας

Κωνσταντινίδης Θεόδωρος

Δρ. Νευρολόγος, Πρόεδρος Ελληνικής
Εταιρείας Κλινικής Νευροφυσιολογίας

Λιόσης Σταμάτιος Νικόλαος

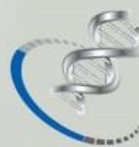
Καθηγητής Ρευματολογίας, Τμήμα
Ιατρικής, Πανεπιστήμιο Πατρών

Μάναλη Ευφροσύνη

Επίκουρη Καθηγήτρια Πνευμονολογίας
ΕΚΠΑ

Μανωλόπουλος Ευάγγελος

Καθηγητής Φαρμακολογίας,
Φαρμακογονιδιωμικής και Ιατρικής
Ακριβείας, Τμήμα Ιατρικής, Δ.Π.Θ.



ΟΜΙΛΗΤΕΣ - ΠΡΟΕΔΡΕΙΑ

Μοσχονάς Νικόλαος

Ομότιμος Καθηγητής Ιατρικής Μοριακής Γενετικής, Ιατρική Σχολή, Πανεπιστήμιο Πατρών, Αντεπιστέλλων Ερευνητής Ινστιτούτο Επιστημών Χημικής Μηχανικής, ΙΕΧΜΗ/ΙΤΕ

Μπάμιας Γεώργιος

Αναπληρωτής Καθηγητής Γαστρεντερολογίας, Ιατρική Σχολή, Ε.Κ.Π.Α., Γ.Ν.Ν.Θ.Α. «Η Σωτηρία»

Μπέης Δημήτριος

Ερευνητής Β', Εργαστήριο Αναπτυξιακής Βιολογίας, Κέντρο Βασικής Έρευνας, Ίδρυμα Ιατροβιολογικών Ερευνών της Ακαδημίας Αθηνών (ΙΙΒΕΑΑ)

Μπολέτης Ιωάννης

Καθηγητής Παθολογίας – Νεφρολογίας, Διευθυντής Πανεπιστημιακής Κλινικής Νεφρολογίας & Μεταμόσχευσης Νεφρού της Ιατρικής Σχολής του Εθνικού και Καποδιστριακού Πανεπιστημίου Αθηνών, Νοσοκομείο Λαϊκόν

Μπονάκης Αναστάσιος

Επίκουρος Καθηγητής Νευρολογίας, Β' Νευρολογική Κλινική, Ιατρική Σχολή ΕΚΠΑ, ΠΓΝ Αττικών

Μπούρος Δημοσθένης

Ομότιμος Καθηγητής Πνευμονολογίας ΕΚΠΑ, Ιατρικό Κέντρο Αθηνών

Ντινόπουλος Αργύριος

Καθηγητής Παιδιατρικής - Παιδιατρικής Νευρολογίας Ε.Κ.Π.Α.

Ντουράκης Σπυρίδων

Καθηγητής Παθολογίας, Β' Πανεπιστημιακή Παθολογική Κλινική, Ε.Κ.Π.Α.)

Πανταζής Δημήτριος

Πρόεδρος Ινστιτούτου Φαρμακευτικής Έρευνας και Τεχνολογία (ΙΦΕΤ ΜΑΕ)

Παλαιοδήμου Λίνα

Νευρολόγος Β' Νευρολογική Κλινική ΕΚΠΑ

Παπαδήμας Γεώργιος

Νευρολόγος, ΕΔΙΠ Α', Αιγινήτειο Νοσοκομείο, ΕΚΠΑ

Παπαδόπουλος Κωνσταντίνος

Νευρολόγος, ΕΔΙΠ, Αιγινήτειο Νοσοκομείο, ΕΚΠΑ

Παπαχρήστου Ευάγγελος

Αναπλ. Καθηγητής, Πανεπιστημιακό Γενικό Νοσοκομείο Πατρών, Νεφρολογικό Κέντρο

Παπίρης Σπυρίδων

Καθηγητής Πνευμονολογίας, Διευθυντής Β' Πανεπιστημιακής Πνευμονολογικής Κλινική Π.Γ.Ν. ΑΤΤΙΚΟΝ

Σπύρου Γεώργιος

Bioinformatics European Research Area Chair and Department Head, Bioinformatics Department, The Cyprus Institute of Neurology & Genetics Professor, The Cyprus School of Molecular Medicine"



ΟΜΙΛΗΤΕΣ - ΠΡΟΕΔΡΕΙΑ

Σταθόπουλος Κώστας

Καθηγητής Βιοχημείας, Διευθυντής Εργ.
Βιολογικής Χημείας, Τμήμα Ιατρικής,
Πανεπιστήμιο Πατρών

Στεφανής Λεωνίδας

Καθηγητής Νευρολογίας, Ιατρική Σχολή
ΕΚΠΑ, Διευθυντής Α' Νευρολογικής
Κλινικής, Αιγινήτειο Νοσοκομείο.
Συνεργαζόμενος Ερευνητής ΙΙΒΕΑΑ

Τζάρτος Ιωάννης

Νευρολόγος, Επιστημονικός συνεργάτης
Β' Νευρολογικής Κλινικής Ε.Κ.Π.Α.,
Νοσοκομείο «ΑΤΤΙΚΟΝ».

Τζίλας Βασίλειος

Πνευμονολόγος-Φυματιολόγος,
Διδάκτωρ Πανεπιστημίου Αθηνών

Τζουβελέκης Αργύριος

Αναπληρωτής Καθηγητής
Πνευμονολογίας Πανεπιστημίου
Πατρών, Διευθυντής Πνευμονολογικής
Κλινικής ΠΓΝΠ "ΠΑΝΑΓΙΑ Η ΒΟΗΘΕΙΑ"

Τσιβγούλης Γεώργιος

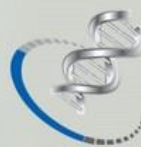
Καθηγητής Νευρολογίας Ε.Κ.Π.Α.,
Διευθυντής Β' Νευρολογικής Κλινικής
Ε.Κ.Π.Α. Νοσοκομείο «ΑΤΤΙΚΟΝ»,
Πρόεδρος Ε.Ν.Ε.

Χρόνη Ελισάβετ

Καθηγήτρια Νευρολογίας
Πανεπιστημίου Πατρών

Χρούσος Γεώργιος

Ομότιμος Καθηγητής Παιδιατρικής -
Ενδοκρινολογίας



ΧΟΡΗΓΟΙ

Με την ευγενική χορηγία των εταιρειών





ΟΡΓΑΝΩΣΗ - ΓΡΑΜΜΑΤΕΙΑ

ONE TO ONE S.A.



Νίκης 16, 105 57 Αθήνα

Τηλ.: 2107254383-385-386

Fax: 2107254384 • E-mail: info@one2onesa.eu

<http://www.onetoone-congress.gr>



onetoonecongress

ΣΥΝΤΑΓΟΓΡΑΦΙΚΕΣ ΠΛΗΡΟΦΟΡΙΕΣ

▼ Το φάρμακο αυτό τελεί υπό συμπληρωματική παρακολούθηση. Αυτό θα επιτρέψει το γρήγορο προσδιορισμό νέων πληροφοριών ασφάλειας. Ζητείται από τους επαγγελματίες υγείας να αναφέρουν οποιοδήποτε πιθανολογούμενο ανεπιθύμητο ενεργεία. Βλ. Παράγραφο 4.8 για τον τρόπο αναφοράς ανεπιθύμητων ενεργειών.

1. ΟΝΟΜΑΣΙΑ ΤΟΥ ΦΑΡΜΑΚΕΥΤΙΚΟΥ ΠΡΟΪΟΝΤΟΣ: Spinraza 12 mg ενέσιμο διάλυμα. **2. ΠΟΙΟΤΙΚΗ ΚΑΙ ΠΟΣΟΤΙΚΗ ΣΥΝΘΕΣΗ:** Κάθε φιαλίδιο των 5 ml περιέχει nusinersen sodium που αντιστοιχεί σε 12 mg nusinersen. Κάθε ml περιέχει 2,4 mg nusinersen. Για τον πλήρη κατάλογο των εκδόχων, βλ. Παράγραφο 6.1 της Περίληψης Χαρακτηριστικών του Προϊόντος. **3. ΦΑΡΜΑΚΟΤΕΧΝΙΚΗ ΜΟΡΦΗ:** Ενέσιμο διάλυμα. Διαυγές και άχρωμο διάλυμα με pH περίπου 7,2. **4. ΚΛΙΝΙΚΕΣ ΠΛΗΡΟΦΟΡΙΕΣ: 4.1 Θεραπευτικές ενδείξεις:** Το Spinraza ενδείκνυται για τη θεραπεία της Νωτιαίας Μυϊκής Ατροφίας 5q. **4.2 Δοσολογία και τρόπος χορήγησης:** Η έναρξη της αγωγής με το Spinraza θα πρέπει να γίνεται από γιατρό με εμπειρία στη διαχείριση της Νωτιαίας Μυϊκής Ατροφίας (Spinal muscular atrophy, SMA). Η απόφαση για θεραπεία θα πρέπει να βασίζεται στην εξαιρετικώς μειωμένη εκτίμηση του ειδικού, σταθμίζοντας τα αναμενόμενα οφέλη της θεραπείας, για το συγκεκριμένο άτομο, έναντι του δυνητικού κινδύνου της θεραπείας με Spinraza. Ασθενείς με σοβαρή υποτονία και αναπνευστική ανεπάρκεια κατά τη γέννηση, όπου το Spinraza δεν έχει μελετηθεί, ενδέχεται να μην εμφανίσουν κλινικά σημαντική όφελος λόγω σοβαρής έλλειψης της πρωτεΐνης Επιβίωσης του Κινητικού Νευρώνα (survival motor neuron, SMN). **Δοσολογία:** Το Spinraza προορίζεται για ενδορραχιαία χρήση μέσω οσφυονωτιαίας παρακέντησης. Η συνιστώμενη δοσολογία είναι 12 mg (5 ml) ανά χορήγηση. Η θεραπεία με Spinraza θα πρέπει να ξεκινά το συντομότερο δυνατό μετά τη διάγνωση με 4 δόσεις εφόδου τις Ημέρες 0, 14, 28 και 63. Δόση συντήρησης θα πρέπει να χορηγείται μία φορά κάθε 4 μήνες εφεξής. **Διάρκεια θεραπείας:** Δεν διατίθενται πληροφορίες για τη μακροπρόθεσμη αποτελεσματικότητα αυτού του φαρμακευτικού προϊόντος. Η ανάγκη για συνέχιση της θεραπείας θα πρέπει να αξιολογείται τακτικά και να εξετάζεται σε εξατομικευμένη βάση ανάλογα με την κλινική εικόνα του ασθενούς και την ανταπόκριση στη θεραπεία. **Παράλειψη ή καθυστέρηση δόσης:** Αν μια δόση εφόδου καθυστερήσει ή παραληφθεί, το Spinraza θα πρέπει να χορηγείται το συντομότερο δυνατόν, με διάστημα τουλάχιστον 14 ημερών μεταξύ των δόσεων, και η συχνότητα της δοσολογίας να συνεχίζεται σύμφωνα με τη συνταγογράφηση. Αν μια δόση συντήρησης καθυστερήσει ή παραληφθεί, το Spinraza θα πρέπει να χορηγείται το συντομότερο δυνατόν και η δοσολογία να συνεχίζεται κάθε 4 μήνες. **Ειδικό πληθυσμοί: Νεφρική δυσλειτουργία:** Το Spinraza δεν έχει μελετηθεί σε ασθενείς με νεφρική δυσλειτουργία. Η ασφάλεια και η αποτελεσματικότητα σε ασθενείς με νεφρική δυσλειτουργία δεν έχουν τεκμηριωθεί και θα πρέπει να παρακολουθούνται στενά. **Ηπατική δυσλειτουργία:** Το Spinraza δεν έχει μελετηθεί σε ασθενείς με ηπατική δυσλειτουργία. Το Spinraza δεν μεταβολίζεται μέσω του ενζυμικού συστήματος του κυτοχρώματος P450 στο ήπαρ, συνεπώς είναι απίθανο να απαιτείται προσαρμογή της δόσης σε ασθενείς με ηπατική δυσλειτουργία (βλ. παραγράφους 4.5 και 5.2 της Περίληψης Χαρακτηριστικών του Προϊόντος). **Τρόπος χορήγησης:** Η θεραπεία θα πρέπει να χορηγείται από επαγγελματίες υγείας με εμπειρία στη διενέργεια οσφυονωτιαίας παρακέντησης. Το Spinraza χορηγείται ως ταχεία (bolus) ενδορραχιαία ένεση για χρονικό διάστημα 1 έως 3 λεπτών, με χρήση βελόνας ραχιαίας αναισθησίας. Η ένεση δεν πρέπει να χορηγείται σε περιοχές δέρματος όπου υπάρχουν σημεία λοίμωξης ή φλεγμονής. Πριν από τη χορήγηση του Spinraza, συνιστάται να αφαιρείται ο άγκος του εκτεταμένου οσφυϊκού (ENY) που αντιστοιχεί στον όγκο του Spinraza που πρόκειται να ενεθεί. Μπορεί να απαιτείται καταστολή για τη χορήγηση του Spinraza, ανάλογα με την κλινική κατάσταση του ασθενούς. Θα πρέπει να εξετάζεται το ενδεχόμενο υπερχύου (ή άλλων τεχνικών απεικόνισης) ως οδηγός για την ενδορραχιαία χορήγηση του Spinraza, ιδιαίτερα σε νεότερους ασθενείς και σε ασθενείς με σκολίωση. Θα πρέπει να χρησιμοποιείται άσηπτη τεχνική κατά την προετοιμασία και τη χορήγηση του Spinraza. Βλ. οδηγίες χρήσης στην παράγραφο 6.6 της Περίληψης Χαρακτηριστικών του Προϊόντος. **4.3 Αντενδείξεις:** Υπερευαισθησία στη δραστική ουσία ή σε κάποιο από τα έκδοχα που αναφέρονται στην παράγραφο 6.1 της Περίληψης Χαρακτηριστικών του Προϊόντος. **4.4 Ειδικές προειδοποιήσεις και προφυλάξεις κατά τη χρήση: Διαδικασία οσφυονωτιαίας παρακέντησης:** Υπάρχει κίνδυνος ανεπιθύμητων ενεργειών που εμφανίζονται ως μέρος της διαδικασίας οσφυονωτιαίας παρακέντησης (π.χ. κεφαλαλγία, ασηψιαλμία, έμετος, βλ. παράγραφο 4.8). Ενδέχεται να παρατηρηθούν πιθανές δυσκολίες με αυτή την οδό χορήγησης σε πολύ νεαρούς ασθενείς και σε εκείνους με σκολίωση. Η χρήση υπερχορηγμάτων ή άλλων απεικονιστικών τεχνικών προς διευκόλυνση της ενδορραχιαίας χορήγησης του Spinraza, μπορεί να εξεταστεί σύμφωνα με την κρίση του γιατρού. **Θρομβοπενία και ανωμαλίες στην πήξη:** Ανωμαλίες στην πήξη και θρομβοπενία, συμπεριλαμβανομένης οξείας σοβαρής θρομβοπενίας, έχουν παρατηρηθεί μετά τη χορήγηση άλλων υποδοριών ή ενδοφλέβιων χορηγούμενων αντιθρομβωτικών ολιγονουκλεοτιδίων. Εάν ενδείκνυται κλινικά, συνιστάται εργαστηριακός έλεγχος των αιμοπλάτων και της πήξης πριν από τη χορήγηση του Spinraza. **Νεφρική τοξικότητα:** Έχει παρατηρηθεί νεφρική τοξικότητα μετά τη χορήγηση άλλων υποδοριών ή ενδοφλέβιων χορηγούμενων αντιθρομβωτικών ολιγονουκλεοτιδίων. Εάν ενδείκνυται κλινικά, συνιστάται εξέταση πρωτεΐνης στα ούρα (κατά προτίμηση χρησιμοποιώντας το πρώτο πρωινό δείγμα ούρων). Σε περίπτωση επιμένουσας αυξημένης πρωτεΐνης στα ούρα, θα πρέπει να εξετάζεται το ενδεχόμενο περαιτέρω αξιολόγησης. **Υδροκέφαλος:** Επικοινωνιών υδροκέφαλος με μη σχετιζόμενος με μηνιγγίτιδα ή αιμορραγία έχει αναφερθεί σε ασθενείς που έλαβαν θεραπεία με nusinersen μετά την κυκλοφορία στην αγορά. Σε κάποιους ασθενείς εμφυτεύθηκε κοιλιαιοπεριτοναϊκή παροχέτευση. Σε ασθενείς με μειωμένο επίπεδο συνείδησης, θα πρέπει να εξετάζεται το ενδεχόμενο αξιολόγησης για υδροκέφαλο. Τα οφέλη και οι κίνδυνοι της θεραπείας με nusinersen σε ασθενείς με κοιλιαιοπεριτοναϊκή παροχέτευση δεν είναι προς το παρόν γνωστά και η συνέχιση της θεραπείας θα πρέπει να εξετάζεται προσεκτικά. **4.5 Αλληλεπιδράσεις με άλλα φαρμακευτικά προϊόντα και άλλες μορφές αλληλεπίδρασης:** Δεν έχουν πραγματοποιηθεί μελέτες αλληλεπιδράσεων. Μελέτες *in vitro* έδειξαν ότι το nusinersen δεν αποτελεί επαγωγέα ή αναστολέα του μεταβολισμού μέσω του κυτοχρώματος P450 (CYP450). Μελέτες *in vitro* δείχνουν ότι η πιθανότητα για αλληλεπιδράσεις με το nusinersen λόγω ανταγωνισμού για τη δέσμευση με τις πρωτεΐνες πλάσματος, ή ανταγωνισμού με τους μεταφορείς ή αναστολής των μεταφορέων, είναι χαμηλή. **4.6 Γονιμότητα, κύηση και γαλουχία: Κύηση:** Δεν διατίθενται ή είναι περιορισμένα τα δεδομένα από τη χρήση του nusinersen στις έγκυες γυναίκες. Μελέτες σε ζώα δεν κατέδειξαν άμεση ή έμμεση τοξικότητα στην αναπαραγωγική ικανότητα (βλέπε παράγραφο 5.3 της Περίληψης Χαρακτηριστικών του Προϊόντος). Ως προληπτικό μέτρο, είναι προτιμότερο να αποφευχθεί η χρήση του Spinraza κατά τη διάρκεια της εγκυμοσύνης. **Θηλασμός:** Δεν είναι γνωστό εάν το nusinersen/οι μεταβολίτες του απεκκρίνονται στο ανθρώπινο γάλα. Ο κίνδυνος στα νεογνώνια/βρέφη δεν μπορεί να αποκλειστεί. Πρέπει να αποφασιστεί εάν θα διακοπεί ο θηλασμός ή θα διακοπεί/θα αποφευχθεί η θεραπεία με Spinraza, λαμβάνοντας υπόψη το όφελος του θηλασμού για το παιδί και το όφελος της θεραπείας για τη γυναίκα. **Γονιμότητα:** Σε μελέτες τοξικότητας σε ζώα δεν παρατηρήθηκαν επιδράσεις στη γονιμότητα των αρσενικών ή των θηλυκών (βλέπε παράγραφο 5.3 της Περίληψης Χαρακτηριστικών του Προϊόντος). Δεν διατίθενται δεδομένα σχετικά με τις πιθανές επιδράσεις στη γονιμότητα στον άνθρωπο. **4.7 Επιδράσεις στην ικανότητα οδήγησης και χειρισμού μηχανημάτων:** Το Spinraza δεν έχει καμία ή έχει ασημαντή επίδραση στην ικανότητα οδήγησης και χειρισμού μηχανημάτων. **4.8 Ανεπιθύμητες ενέργειες:** Περίληψη του προφίλ ασφαλείας: Η αξιολόγηση της ασφάλειας του Spinraza βασίστηκε σε δύο κλινικές μελέτες Φάσης 3 σε βρέφη (CS3B) και παιδιά (CS4) με SMA, σε μία μελέτη Φάσης 2 σε βρέφη και παιδιά με SMA (CS7), καθώς και σε ανοιχτές μελέτες που συμπεριλάμβαναν προ-συμπτωματικά βρέφη (CS5) γενετικά διαγνωσμένα με SMA και βρέφη και παιδιά με SMA. Στη Μελέτη CS11 συμμετείχαν ασθενείς με SMA έναρξης κατά τη βρεφική ηλικία και SMA όψιμης έναρξης, συμπεριλαμβανομένων των ασθενών που είχαν ολοκληρώσει τις μελέτες CS3B, CS4 και CS12. Από τους 346 ασθενείς που έλαβαν Spinraza έως και μια μέγιστη διάρκεια θεραπείας 5 ετών, 258 ασθενείς έλαβαν θεραπεία για τουλάχιστον 1 έτος. **Κατάλογος των ανεπιθύμητων ενεργειών σε μορφή πίνακα:** Η αξιολόγηση των ανεπιθύμητων ενεργειών βασίζεται στα παρακάτω δεδομένα συχνότητας: Πολύ συχνές (≥ 1/10). Μη γνωστές (δεν μπορούν να εκτιμηθούν με βάση τα διαθέσιμα δεδομένα).

Πίνακας 1: Ανεπιθύμητες ενέργειες που σχετίζονται με τη διαδικασία οσφυονωτιαίας παρακέντησης και αναφέρθηκαν στη μελέτη CS4 (SMA όψιμης έναρξης) με επίπτωση τουλάχιστον 5% υψηλότερη σε ασθενείς που έλαβαν θεραπεία με Spinraza σε σχέση με την εικονική θεραπεία

Κατηγορία/οργανικό σύστημα κατά MedDRA	Προτιμώμενος όρος κατά MedDRA	Κατηγορία συχνότητας του Spinraza, n=84
Διαταραχές του νευρικού συστήματος	Κεφαλαλγία*	Πολύ συχνές
Διαταραχές του γαστρεντερικού	Έμετος*	Πολύ συχνές
Διαταραχές του μυοσκελετικού συστήματος και του συνδετικού ιστού	Οσφυαλγία*	Πολύ συχνές

*Ανεπιθύμητες ενέργειες που θεωρήθηκε ότι σχετίζονται με τη διαδικασία οσφυονωτιαίας παρακέντησης. Αυτά τα συμπτώματα μπορούν να θεωρηθούν εκδηλώσεις του συνδρόμου μετά από οσφυονωτιαία παρακέντηση.

Εμπειρία μετά την κυκλοφορία στην αγορά: Ανεπιθύμητες ενέργειες έχουν αναφερθεί κατά τη χρήση μετά την έγκριση του Spinraza. Μεταξύ των ασθενών που έλαβαν θεραπεία με Spinraza με οσφυονωτιαία παρακέντηση, παρατηρήθηκε σοβαρή λοίμωξη, όπως μηνιγγίτιδα. Έχουν επίσης αναφερθεί επικοινωνιών υδροκέφαλος, άσηπτη μηνιγγίτιδα και υπερευαισθησία (π.χ. αγγειοίδημα, κνίδωση και εξάνθημα). Η συχνότητα αυτών των αντιδράσεων δεν είναι γνωστή καθώς έχουν αναφερθεί μετά την κυκλοφορία στην αγορά. **Περιγραφή επιλεγμένων ανεπιθύμητων ενεργειών:** Έχουν παρατηρηθεί ανεπιθύμητες ενέργειες που σχετίζονται με τη χορήγηση του Spinraza μέσω οσφυονωτιαίας παρακέντησης. Η πλειοψηφία αυτών αναφέρονται εντός 72 ωρών μετά τη διαδικασία. Η επίπτωση και η σοβαρότητα αυτών των συμβαμάτων ήταν σε συμφωνία με τα συμβαμάτων που αναμενόταν να εμφανιστούν με οσφυονωτιαία παρακέντηση. Δεν παρατηρήθηκαν σοβαρές επιπλοκές της οσφυονωτιαίας παρακέντησης, όπως σοβαρές λοιμώξεις στις κλινικές μελέτες του Spinraza. Μερικές ανεπιθύμητες ενέργειες που συσχετίζονται συχνά με την οσφυονωτιαία παρακέντηση (π.χ. κεφαλαλγία και οσφυαλγία) δεν μπορούσαν να αξιολογηθούν στον πληθυσμό βρεφών που εκτέθηκε σε Spinraza λόγω της περιορισμένης επικοινωνίας αυτής της ηλικιακής ομάδας. **Ανοσοανοχή:** Η ανοσοανοχή ανταπόκριση στο nusinersen προσδιορίστηκε σε 346 ασθενείς όπου αρχικά δείγματα πλάσματος και δείγματα πλάσματος μετά την έναρξη, αξιολογήθηκαν για αντισώματα έναντι του φαρμάκου (anti-drug antibodies, ADA). Συνολικά, η επίπτωση των ADAs ήταν χαμηλή, καθώς 15 (4%) ασθενείς κατηγοριοποιήθηκαν συνολικά ως θετικοί σε ADA, εκ των οποίων 4 εμφάνισαν παροδική αντίγνωση, 5 εμφάνισαν ανθεκτική παρουσία και 6 ασθενείς είχαν ανιχνεύσιμα αντισώματα που δεν ήταν δυνατό να κατηγοριοποιηθούν ως παροδικά ή ανθεκτικά τη στιγμή της αποκρίσεως δεδομένων. Η επίπτωση της ανοσοανοχής στην ασφάλεια δεν αναλύθηκε επίσημα, καθώς ο αριθμός ασθενών με ADAs ήταν μικρός. Ωστόσο, εξετάστηκαν μεμονωμένα δεδομένα ασφαλείας για τις περιπτώσεις ασθενών θετικών σε ADA λόγω της θεραπείας και δεν εντοπίστηκαν αξιοσημείωτες ανεπιθύμητες ενέργειες. **Αναφορά πιθανολογούμενων ανεπιθύμητων ενεργειών:** Η αναφορά πιθανολογούμενων ανεπιθύμητων ενεργειών μετά από τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας του φαρμακευτικού προϊόντος είναι σημαντική. Επιτρέπεται η συνεχή παρακολούθηση της σχέσης οφέλους-κινδύνου του φαρμακευτικού προϊόντος. Ζητείται από τους επαγγελματίες υγείας να αναφέρουν οποιοδήποτε πιθανολογούμενο ανεπιθύμητο ενεργεία μέσω του εθνικού συστήματος αναφοράς: **Ελλάδα:** Εθνικός Οργανισμός Φαρμάκων, Μεσογένην 284, GR-15562 Χολαργός, Αθήνα, Τηλ: +30 21 32040380/337, Φαξ: +30 21 06549585, Ιστοτόπος: <http://www.eof.gr>. **Κύπρος:** Φαρμακευτικές Υπηρεσίες, Υπουργείο Υγείας, CY-1475 Λευκωσία, Τηλ: +357 22608607, Φαξ: +357 22608669, Ιστοτόπος: www.moh.gov.cy/phs. **4.9 Υπερδοσολογία:** Δεν αναφέρθηκαν περιπτώσεις υπερδοσολογίας σχετιζόμενες με ανεπιθύμητες ενέργειες σε κλινικές μελέτες. Σε περίπτωση υπερδοσολογίας, θα πρέπει να παρατείνεται η ιατρική φροντίδα συμπεριλαμβανομένων συμπτωμάτων της επαγγελματία υγείας και στενής παρακολούθησης της κλινικής κατάστασης του ασθενούς. **7. ΚΑΤΟΧΟΣ ΤΗΣ ΑΔΕΙΑΣ ΚΥΚΛΟΦΟΡΙΑΣ:** Biogen Netherlands B.V., Prins Mauritslaan 13, 1171 LP Badhoevedorp, Ολλανδία. **8. ΑΡΙΘΜΟΣ(ΟΙ) ΑΔΕΙΑΣ ΚΥΚΛΟΦΟΡΙΑΣ:** EU/1/17/1188/001. **9. ΗΜΕΡΟΜΗΝΙΑ ΠΡΩΤΗΣ ΕΓΚΡΙΣΗΣ/ΑΝΑΝΕΩΣΗΣ ΤΗΣ ΑΔΕΙΑΣ:** Ημερομηνία πρώτης έγκρισης: 30 Μαΐου 2017. **10. ΗΜΕΡΟΜΗΝΙΑ ΑΝΑΘΕΩΡΗΣΗΣ ΤΟΥ ΚΕΙΜΕΝΟΥ:** 01/2021

Λεπτομερείς πληροφορίες για το παρόν φαρμακευτικό προϊόν είναι διαθέσιμες στον δικτυακό τόπο του Ευρωπαϊκού Οργανισμού Φαρμάκων <http://www.ema.europa.eu>.

ΤΡΟΠΟΣ ΔΙΑΘΕΣΗΣ: Με περιορισμένη ιατρική συνταγή. Μόνο για Νοσοκομειακή χρήση.
ΕΝΔΕΙΚΤΙΚΗ ΤΙΜΗ (N.T.): SPINRAZA INJ.SOL 12MG/VIAL BtX1 VIAL x 5ML: 63.880,27 €

ΝΕΕΣ ΔΥΝΑΤΟΤΗΤΕΣ ΜΕ ΤΟ SPINRAZA¹



Φωτογραφία αρχείου (όχι πραγματικός ασθενής)

