

Česká neurologická společnost
Sekce neuromuskulárních chorob ČNS
Slovenská neurologická spoločnosť
Sekcia pre neuromuskulárne ochorenia

XIX. NEUROMUSKULÁRNÍ KONGRES

37. neuromuskulární sympozium
XXVII. slovenská konferencia
o neuromuskulárnych ochoreniach

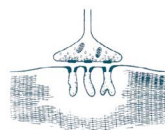
23. - 24. dubna 2026

Orea Congress Hotel Brno, Křížkovského 47, Brno

Akce má charakter postgraduálního vzdělávání
a je garantována ČLS JEP ve spolupráci s ČLK
(ohodnocena kredity) jako akce kontinuálního vzdělávání.

PROGRAM SBORNÍK ABSTRAKT

NEUROMUSKULÁRNÍ SEKCE ČNS



Slovenská neurologická spoločnosť
Sekcia pre neuromuskulárne ochorenia

ULTOMIRIS® je indikován jako přídatná terapie ke standardní léčbě dospělých pacientů s gMG, kteří vykazují pozitivitu na protilátky proti acetylcholinovému receptoru (AChR)¹

ULTOMIRIS®
(ravulizumab)
koncentrát pro infuzní roztok

RYCHLÝ ÚČINEK A DLOUHODOBÁ KONTROLA SYMPTOMŮ¹⁻³

u dospělých pacientů s gMG a s pozitivním nálezem protilátek anti-AChR

ULTOMIRIS® je dlouhodobě[†] působící C5 inhibitor, který poskytuje okamžitou, úplnou a trvalou inhibici komplementu:^{1-3‡}

- rychlá a dlouhodobá kontrola symptomů:¹⁻³

- ULTOMIRIS® prokázal výraznější zlepšení celkového skóre MG-ADL po 26 týdnech léčby oproti placebo (ULTOMIRIS®: -3,1, placebo: -1,4, $P < 0,001$)²
- Zlepšení celkového skóre MG-ADL bylo pozorováno již během 1 týdne léčby přípravkem ULTOMIRIS® a setrvalo po dobu až 164 týdnů.^{2,3}

- udržovací dávka 1x za 8 týdnů^{†1}

Bezpečnostní profil i léčivého přípravku ULTOMIRIS® byl hodnocen v randomizované, placebem kontrolované, multicentrické studii fáze 3 u dospělých pacientů s gMG.² Nejčastějšími nežádoucími účinky u ≈ 10 % pacientů užívajících léčivý přípravek ULTOMIRIS® byly bolest hlavy, průjem a nevolnost.² Všichni pacienti museli být nejméně dva týdny před zahájením léčby přípravkem ULTOMIRIS® očkováni proti meningokokovému infekcím.¹

Další informace o bezpečnostním profilu léku naleznete v Souhrnu údajů o přípravku ULTOMIRIS®.

[†] Tvzení vychází z výsledků měření na kategorické škále Myasthenia Gravis Activities of Daily Living (Dotazník hodnocení každodenních aktivit pro myasthenia gravis MG-ADL). Tato škála hodnotí

8 každodenních aktivit a symptomů u pacientů s gMG.^{2,4}

¹ Dávkování jednou za 8 týdnů počínaje 2 týdny po nasycovací dávce.¹

[‡] Trvalá inhibice volného sérového C5 (koncentrace $< 0,5$ $\mu\text{g/ml}$) přetrvávala po dobu 26 týdnů u pacientů léčených přípravkem ULTOMIRIS® ve studii fáze 3.⁵

AChR, acetylcholinový receptor; gMG, generalizovaná myasthenia gravis; MG-ADL, dotazník hodnocení každodenních aktivit pro onemocnění myasthenia gravis.

Literatura: 1. ULTOMIRIS® (ravulizumab). Souhrnná informace o přípravku, datum poslední revize textu: 09/2025. 2. Vu T, et al. Terminal Complement Inhibitor Ravulizumab in Generalized Myasthenia Gravis. *N Engl J Med Evid.* 2022. 3. Vu TH, et al. Long-Term Efficacy and Safety of Ravulizumab in Adults With Anti-Acetylcholine Receptor Antibody-Positive Generalized Myasthenia Gravis: Final Results From the Phase 3 CHAMPION MG Open-Label Extension. *Eur J Neurol.* 2025. 4. Muppidi S, et al. MG-ADL: still a relevant outcome measure. *Muscle Nerve.* 2011;44(5):727–731. 5. Vu T, et al. Ravulizumab pharmacokinetics and pharmacodynamics in patients with generalized myasthenia gravis. *J Neurol.* 2023; 270(6)

AstraZeneca

AstraZeneca Czech Republic s. r. o.
U Trezorky 921/2
158 00 Praha 5 - Jinonice
tel.: +420 222 807 111
www.astrazeneca.cz
CZ-9015 | Datum přípravy: 04/2026

XIX. NEUROMUSKULÁRNÍ KONGRES

Programový výbor

Prezidenti kongresu

MUDr. Stanislav Voháňka, CSc., MBA, Brno
Předseda Neuromuskulární sekce České neurologické společnosti

MUDr. František Cibulčík, CSc., Bratislava
Předseda Sekcie pro neuromuskulárne ochorenia Slovenskej neurologickej spoločnosti

MUDr. František Cibulčík, CSc., Bratislava
MUDr. Stanislav Voháňka, CSc., MBA, Brno
prof. MUDr. Blanka Adamová, PhD, Brno
prof. MUDr. Josef Bednařík, CSc., Brno
doc. MUDr. Edvard Ehler, CSc., Pardubice
MUDr. Gabriel Hajaš, Ph.D., Nitra
MUDr. Ladislav Gurčík, Ph.D., Levoča
MUDr. Monika Koprušáková Turčanová, Ph.D., Martin
prof. MUDr. Egon Kurča, Ph.D., Martin
MUDr. Ivan Martinka, Ph.D., Bratislava
MUDr. Radim Mazanec, Ph.D., Praha
MUDr. Petr Ridzoň, Praha
Doc. MUDr. Peter Špalek, Ph.D., Bratislava
doc. MUDr. Eva Vlčková, PhD., Brno
MUDr. Erika Zacharová, Rimavská Sobota

Organizační sekretariát

TA-SERVICE s.r.o.

Hlinky 126/48, 603 00 Brno

Mgr. Ivana Tarabová, tarabova@ta-service.cz

Ing. Barbora Procházková, conference@ta-service.cz

Ing. Kristián Bornay, office@ta-service.cz

T. +420 543 211 134

www.ta-service.cz

TA-SERVICE
CONGRESS AGENCY

Zkrácená informace o léčivém přípravku Ultomiris®

Před předepsáním přípravku se seznamte s úplným Souhrnem údajů o přípravku. Ultomiris (ravulizumab) 300 mg/3 ml a 1 100 mg/11 ml

Sošoení: Jedna injekční lahvička o objemu 3 ml obsahuje 300 mg (100 mg/ml) ravulizumabu. Jedna injekční lahvička o objemu 11 ml obsahuje 1 100 mg (100 mg/ml) ravulizumabu. **Terapeutické indikace:** Ultomiris je indikován k léčbě dospělých a pediatrických pacientů s tělesnou hmotností ≥ 10 kg s paroxysmální noční hemoglobinurií (PNH); u pacientů s hemolýzou s klinickým příznakem (klinickými příznaky) svědčícím (svědčícím) o vysoké aktivitě onemocnění; u pacientů, kteří jsou klinicky stabilní nejméně po dobu posledních 6 měsíců ekulizumabem. Ultomiris je indikován k léčbě pacientů s tělesnou hmotností ≥ 10 kg s atypickým hemolyticko-uremickým syndromem (aHUS), kteří dopsud nebyli léčeni inhibitory komplementu nebo jim byl podáván ekulizumab nejméně po dobu 3 měsíců a byla u nich prokázána odpověď na ekulizumab. Ultomiris je, jako přídatná terapie ke standardní terapii, indikován k léčbě dospělých pacientů s generalizovanou myastenii gravis (gMG), kteří vykazují pozitivitu na protilátky proti acetylcholinovému receptoru (AChR). Ultomiris je indikován k léčbě dospělých pacientů s Neuromyelitis optica a poruch jejího širšího spektra (NMOSD), kteří jsou pozitivní na přítomnost protilátek proti akvaporinu-4 (AQP4). **Dávkování a způsob podávání:** Dospělí pacienti s PNH, aHUS, gMG nebo NMOSD: Nasycovací dávka a následně udržovací dávky, podávané intravenózní infuzí, vycházejí z tělesné hmotnosti pacienta. Udržovací dávky podávané jednou za 8 týdnů, počínaje 2 týdny po podání nasycovací dávky. Informace o dávkovacím režimu ravulizumabu založeném na tělesné hmotnosti jsou uvedeny v SPC. Se souběžným používáním PE/PI (plazmaferézy nebo výměny plazmy nebo infuze čerstvé zmrazené plazmy) a ravulizumabu nejsou zkušenosti. Podávání PE/PI může snížit sérové hladiny ravulizumabu. **Zvláštní populace:** Pediatrickí pacienti s PNH a aHUS a s tělesnou hmotností ≥ 40 kg jsou léčeni dle doporučeného dávkování pro dospělé. Dávkování a intervaly dávkování u pediatrických pacientů s tělesnou hmotností ≥ 10 kg až 20 kg je jednou za 4 týdny, u pediatrických pacientů s tělesnou hmotností ≥ 20 kg až 40 kg je jednou za 8 týdnů, počínaje 2 týdny po podání nasycovací dávky. Údaje potvrzující bezpečnost a účinnost ravulizumabu u pacientů s tělesnou hmotností nižší než 10 kg jsou omezené. Ravulizumab nebyl studován u pediatrických pacientů s PNH s tělesnou hmotností <30 kg. Dávkování ravulizumabu u pediatrických pacientů s tělesnou hmotností <30 kg je založeno na dávkování použitém u pediatrických pacientů s aHUS. Ravulizumab nebyl studován u pediatrických pacientů s gMG nebo NMOSD. Starší osoby: U pacientů s PNH, aHUS, gMG a NMOSD ve věku 65 let a starších není nutná úprava dávky. Porucha funkce ledvin: Není nutná úprava dávky. Porucha funkce jater: Bezpečnost a účinnost ravulizumabu nebyly u pacientů s poruchou funkce jater studovány. **Způsob podání:** Pouze intravenózní infuze, podávat přes 0,2µm filtr pomocí injekční nebo infuzní pumpy (informace o fedění a délce podávání infuze viz SPC). **Kontraindikace:** Hypersenzitivita na léčivou látku nebo na kteroukoli pomocnou látku; pacient s nevyřešenou infekcí Neisseria meningitidis v době zahájení léčby; pacienti, kteří nemají platné očkování proti Neisseria meningitidis, pokud nepodstoupí profylaktickou léčbu vhodnými antibiotiky po dobu 2 týdnů po očkování. **Zvláštní upozornění a opatření:** K zlepšení sledovatelnosti se má zaznamenat název a číslo šarže přípravku Ultomiris. Závažná meningokoková infekce: Na základě mechanismu účinku ravulizumab zvyšuje náchylnost pacienta k meningokokové infekci/sepsi (N. meningitidis). Může se objevit meningokokové onemocnění vyvolané jakoukoli séroskupinou. Ke snížení rizika infekce, musí být všichni pacienti očkováni proti meningokokovým infekcím nejméně 2 týdny před zahájením léčby ravulizumabem, pokud riziko oddálení léčby nepřevyšuje riziko rozvoje meningokokové infekce. Pacienti, kteří zahájí léčbu ravulizumabem dříve než za 2 týdny po podání vakcíny, musí být léčeni vhodnými profylaktickými antibiotiky po dobu 2 týdnů po očkování. Doporučují se vakcíny proti séroskupinám A, C, Y, W135 a B. Pacienti musí být očkováni nebo přeočkováni podle platných národních pokynů pro použití vakcíny. Pokud je pacient převeden z léčby ekulizumabem, musí lékaři ověřit, zda je očkování proti meningokokům aktuální. Očkování nemusí dostatečně chránit před meningokokovou infekcí. U pacientů léčených ravulizumabem byly hlášeny případy závažných meningokokových infekcí/sepsi. Všichni pacienti musí být sledováni s ohledem na časné známky meningokokové infekce a sepse. Pokud je podezření na infekci, musí být pacienti okamžitě vyšetřeni a léčeni vhodnými antibiotiky. Pacienti musí být na tyto známky a příznaky upozorněni. Lékaři musí pacientům poskytnout Příručku pro pacienty, rodiče a pečovatele a Kartu pacienta. Imunizace: Očkování může dále aktivovat komplement. V důsledku toho se mohou u pacientů s onemocněními zprostředkovanými komplementem vyskytovat ve zvýšené míře známky a příznaky základního onemocnění. Proto se u pacientů musí po doporučeném očkování pečlivě sledovat příznaky onemocnění. Pacienti mladší 18 let musí být očkováni proti Haemophilus influenzae a pneumokokovým infekcím. Další systémové infekce: viz SPC. Reakce na infuzi: Podávání ravulizumabu může vyvolat reakce na infuzi (včetně anafylaxe). V případě reakce na infuzi se má infuze ravulizumabu přerušit a pokud se vyskytnou známky kardiovaskulární nestability nebo respirační tísně, mají se zavést vhodná podpůrná opatření. Ukončení léčby PNH: Pokud pacienti s PNH ukončí léčbu ravulizumabem, musí být pečlivě sledováni s ohledem na známky a příznaky závažné intravaskulární hemolýzy (více informací viz SPC) nejméně po dobu 16 týdnů. Ukončení léčby aHUS: U ukončení podávání ravulizumabu neexistují žádné konkrétní údaje. Pokud musí pacienti přerušit léčbu ravulizumabem, mají být průběžně sledováni ohledně známek a příznaků TMA. (Více informací viz SPC). Ukončení léčby gMG: gMG je chronické onemocnění. Pacienti profitující z léčby ravulizumabem, kteří léčbu přeruší, proto mají být sledováni z hlediska příznaků základního onemocnění. Pokud se po přerušení léčby objeví příznaky gMG, zvažte opětovné zahájení léčby ravulizumabem. Ukončení léčby NMOSD: NMOSD je chronické onemocnění. Pacienti profitující z léčby ravulizumabem, kteří léčbu přeruší, proto mají být sledováni z hlediska příznaků recidivy onemocnění. Pokud se po přerušení léčby objeví příznaky NMOSD, zvažte opětovné zahájení léčby ravulizumabem. Přípravek Ultomiris obsahuje jako pomocnou látku polysorbát 80. Polysorbáty mohou způsobit alergické reakce. **Interakce s jinými léčivými přípravky a jiné formy interakce:** Nebyly provedeny žádné studie interakcí. Dlouhodobá léčba intravenózní podáváním lidským imunoglobulinem může narušit mechanismus recyklace endozomálního neonatálního Fc receptoru monoklonálních protilátek, jako je ravulizumab, a tím snížit sérové koncentrace ravulizumabu. Pokyny pro souběžnou léčbu PE, PP nebo i.v. Ig viz SPC. **Fertilita, těhotenství a kojení:** Ženy ve fertilním věku musí během léčby a ještě 8 měsíců po ukončení terapie používat účinné metody antikoncepce. Klinické údaje o podávání ravulizumabu těhotným ženám nejsou k dispozici. Ravulizumab může potenciálně způsobit inhibici terminálního komplexu komplementu ve fetálním oběhu. U těhotných žen je možné zvážit použití ravulizumabu po zhodnocení rizik a přínosů. Není známo, zda se ravulizumab vylučuje do lidského mateřského mléka. Během léčby a na dobu 8 měsíců po terapii ravulizumabem se doporučuje přerušit kojení. Nežádoucí účinky: Mezi velmi časté nežádoucí účinky (frekvence výskytu $\geq 1/10$) patří: bolest hlavy, infekce horních cest dýchacích, nazofaryngitida, průjem, pyrexie, nauzea, artralgie, bolest zad, únava, bolest břicha, závrat a infekce močových cest; mezi časté nežádoucí účinky ($\geq 1/100$ až $< 1/10$): hypersenzitivita, zvracení, dyspepsie, urtikárie, pruritus, vyrážka, myalgie, svalové spazmy, onemocnění podobné chřipce, zimnice, astenie, reakce spojená s infuzí. Mezi méně časté nežádoucí účinky ($\geq 1/1000$ až $< 1/100$) ale zároveň nejzávažnější nežádoucí účinky patří: meningokoková infekce, diseminovaná gonokoková infekce, anafylaktická reakce. Více informací viz SPC. **Pediatrická populace:** U pediatrických pacientů s PNH a prokázaným aHUS zařazených do pediatrických studií byl bezpečnostní profil podobný jako u dospělých pacientů. Nejčastější nežádoucí účinky hlášenými u pediatrických pacientů s PNH byly bolest břicha, nauzea, nazofaryngitida, a bolest hlavy, u pediatrických pacientů s aHUS pyrexie, zvracení, průjem, bolest hlavy, nazofaryngitida, infekce horních cest dýchacích a bolest břicha. (Více viz SPC). Ravulizumab nebyl zkoumán u pediatrických pacientů s gMG a NMOSD. **Zvláštní požadavky na podmínky uchování:** Uchovávejte v chladničce (2 °C – 8 °C). Chraňte před mrazem. Uchovávejte injekční lahvičku v krabičce, aby byl přípravek chráněn před světlem. **Držitel rozhodnutí o registraci:** Alexion Europe SAS, 103-105 rue Anatole France, 92300 Levallois-Perret, Francie. **Registrační čísla:** EU/1/19/1371/002-003. **Datum první registrace:** 2. července 2019. **Datum poslední revize textu:** 11. 9. 2025

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis s omezením. Přípravek je hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění pro terapeutické indikace NMOSD a aHUS. Pro indikace PNH a gMG není přípravek hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění.

Úplnou informaci o přípravku obdržíte na adrese: AstraZeneca Czech Republic s.r.o., U Trezorky 921/2, 158 00 Praha 5, tel.: +420 222 807 111.

Podrobné informace o tomto přípravku jsou uveřejněny na webových stránkách Evropské lékové agentury (EMA) <http://www.ema.europa.eu/>.

Hlášení nežádoucích účinků: Státní ústav pro kontrolu léčiv: <http://www.sukl.gov.cz/nahlasit-nezadouci-ucinek> nebo AstraZeneca prostřednictvím portálu: <https://contactazmedical.astrazeneca.com>

Časový harmonogram

Čtvrtek 23. 4. 2026	
09.00 - 09.10	Slavnostní zahájení kongresu
09.10 - 10.50	BLOK I
10.50 - 11.10	Coffee Break
11.10 - 12.10	BLOK II
12.10 - 13.30	Polední přestávka
13.30 - 15.10	BLOK III
15.00 - 15.30	Coffee Break
15.30 - 17.00	BLOK IV Zobrazení u NM chorob
17.00 - 17.15	Coffee Break
17.15 - 18.30	BLOK V Varia a Kazuistiky
19.00 - 22.00	Diskuzní večere pro všechny účastníky
Pátek 24. 4. 2026	
09.00 - 10.15	BLOK VI
10.15 - 10.30	Coffee Break
10.30 - 11.45	Blok VII Varia a kazuistiky
11.45 - 12.00	Coffee Break
12.00 - 13.45	Blok VIII Varia a kazuistiky
13.30 - 13.45	Zakončení Kongresu
13.45 - 14.30	Oběd

VYVGART
(efgartigimod alfa)

Přehodnotte možnosti
léčby pro své pacienty
s AChR-Ab pozitivní gMG

První a jediná cílená terapie založená
na Fc-fragmentu u gMG, která prokazuje
rychlé, významné a trvalé zlepšení
schopnosti vykonávat každodenní činnosti.¹⁻⁵

VYVGART je indikován jako přídatná léčba ke standardní léčbě dospělých pacientů s generalizovanou myasthenia gravis (gMG), kteří mají pozitivní nález protilátek proti acetylcholinovým receptorům (AChR).¹

▼ Tento léčivý přípravek podléhá dalšímu sledování. To umožní rychlé získání nových informací o bezpečnosti. Žádáme zdravotnické pracovníky, aby hlásili jakákoli podezření na nežádoucí účinky na www.sukl.cz/nahlasiť-nezadouci-ucinek.

Reference: 1. Vyvgart EMA SmPC https://www.ema.europa.eu/cs/documents/product-information/vyvgart-epar-product-information_cs.pdf, June 2025. 2. Zhu LN, et al. Neural Regen Res. 2023;18:1637-1644. 3. Cavalcante P, et al. Front Immunol. 2024;15:1404191. 4. Howard JF, et al. Lancet Neurol. 2021;20:526-536. 5. Bril V, et al. Poster Presented at the (AAN) Annual Meeting; April 13-18, 2024; Denver, Colorado.

Zkratky: AChR-Ab – protilátka proti acetylcholinovému receptoru; gMG – generalizovaná myasthenie gravis; Fc – krystalizovatelný fragment protilátky.

Určeno pouze pro zdravotnické pracovníky. Zkrácenou informaci o přípravku najdete na následující straně.

Medison Pharma s. r. o., Plynární 10/1617, 170 00 Praha 7, e-mail: office.czech@medisonpharma.com

CZ-VYV-010-07/2025-R01

Zkrácená informace o přípravku Vyvgart 20 mg/ml koncentrát pro infuzní roztok▼, Vyvgart 1 000 mg injekční roztok▼

Název přípravku: Vyvgart 20 mg/ml koncentrát pro infuzní roztok • **Složení:** Jedna injekční lahvička o objemu 20 ml obsahuje 400 mg efgartigimodu alfa (20 mg/ml). • **Léková forma:** koncentrát pro infuzní roztok • **Terapeutická indikace:** Přídatná léčba ke standardní léčbě dospělých pacientů s generalizovanou myasthenia gravis (gMG), kteří mají pozitivní nález protilátek proti acetylcholinovým receptorům (AChR). • **Dávkování a způsob podání:** Doporučená dávka je 10 mg/kg v podobě 1hodinové intravenózní infuze podávané v cyklech jednou týdně po dobu 4 týdnů. U pacientů s tělesnou hmotností 120 kg nebo vyšší je doporučená dávka 1 200 mg (3 injekční lahvičky) na infuzi. Frekvence léčebných cyklů se může u jednotlivých pacientů lišit. • **Nežádoucí účinky:** **Velmi časté** (≥1/10): infekce horních cest dýchacích, časté (≥1/100 až <1/10): infekce močových cest, bronchitida, nauzea, myalgie, bolest hlavy spojená s vykonáním. **Není známo** (z dostupných údajů nelze určit): anafylaktická reakce. • **Obsah balení:** Koncentrát v jednodávkových 20 ml skleněných injekčních lahvičkách.

Název přípravku: Vyvgart 1 000 mg injekční roztok • **Složení:** Jedna injekční lahvička obsahuje 1 000 mg efgartigimodu alfa v 5,6 ml (180 mg/ml). • **Léková forma:** injekční roztok • **Terapeutická indikace:** Přídatná léčba ke standardní léčbě dospělých pacientů s generalizovanou myasthenia gravis (gMG), kteří mají pozitivní nález protilátek proti acetylcholinovým receptorům (AChR). Monoterapie k léčbě dospělých pacientů s progresivní nebo recidivující aktivní chronickou zánětlivou demyelinizační polyneuropatií (CIDP) po předchozí léčbě kortikosteroidy nebo imunoglobuliny. • **Dávkování a způsob podání:** *Generalizovaná myasthenia gravis:* Doporučená dávka je 1 000 mg podávaná subkutánní injekcí v cyklech jednou týdně po dobu 4 týdnů. *Chronická zánětlivá demyelinizační polyneuropatie:* Doporučená dávka je 1 000 mg podávaná subkutánní injekcí jednou týdně. Léčba se zahajuje týdnem dávkovacím režimem a může být upravena na každý druhý týden. • **Nežádoucí účinky:** **Velmi časté** (≥1/10): infekce horních cest dýchacích, reakce v místě injekce. **Časté** (≥1/100 až <1/10): infekce močových cest, bronchitida, nauzea, myalgie. **Není známo** (z dostupných údajů nelze určit): anafylaktická reakce. • **Obsah balení:** 5,6 ml roztoku v 6 ml skleněné injekční lahvičce.

Informace o přípravcích Vyvgart 20 mg/ml koncentrát pro infuzní roztok, Vyvgart 1 000 mg injekční roztok:

• **Účinná látka:** efgartigimod alfa • **Kontraindikace:** Hypersenzitivita na léčivou látku nebo pomocnou látku. • **Upozornění pro použití:** *Pacienti třídy V podle Americké nadace pro myasthenia gravis (MGFA)* – Léčba efgartigimodem alfa u pacientů třídy V podle MGFA (tj. myastenická krize), s výjimkou podmínek rutinní pooperační péče, nebyla studována. *Infekce* – Vzhledem k tomu, že efgartigimod alfa způsobuje přechodné snížení hladin IgG, může se zvýšit riziko infekcí. Pacienti mají být během léčby sledováni s ohledem na klinické známky a příznaky infekcí. Pokud se objeví závažné infekce, je třeba zvážit odložení léčby efgartigimodem alfa, dokud infekce neodezní. *Reakce na infuzi a hypersenzitivní reakce* – Může dojít k reakcím na infuzi, jako je vyrážka nebo svědění. Pokud se objeví reakce, infuze má být na základě závažnosti reakce podávána pomaleji, přerušena nebo zastavena. Byly hlášeny případy anafylaktické reakce. V případě podezření na anafylaktickou reakci má být podávání přípravku Vyvgart okamžitě zastaveno a má být zahájena vhodná léčba. *Reakce na injekci a hypersenzitivní reakce* – Byly hlášeny reakce na injekci, jako je vyrážka nebo svědění. Pacienti mají být po dobu 30 minut po podání sledováni, zda se u nich neobjeví klinické známky a příznaky reakce na injekci. V případě podezření na anafylaktickou reakci má být podávání přípravku Vyvgart okamžitě zastaveno a má být zahájena vhodná léčba. *Imunizace* – U pacientů, kteří jsou léčeni efgartigimodem alfa, se imunizace živými nebo živými oslabenými vakcínami nedoporučuje. Pokud je imunizace živými nebo živými oslabenými vakcínami nutná, mají být podávány nejméně 4 týdny před léčbou a nejméně 2 týdny po poslední dávce efgartigimodu alfa. Jiné vakcíny mohou být během léčby podávány kdykoli podle potřeby. *Imunogenita* – U pacientů s gMG se mohou vyskytnout protilátky, které se vážou na efgartigimod alfa. Protilátky proti efgartigimodu alfa byly zjištěny u 35 % pacientů léčených efgartigimodem alfa subkutánně ve srovnání s 20 % pacientů léčených intravenózní lékovou formou. *Léčba imunosupresivou a anticholinesterázou* – Pokud dojde ke zrušení nebo ukončení léčby nesteroidními imunosupresivy, kortikosteroidy a anticholinesterázou, je třeba pacienty pečlivě sledovat s ohledem na známky exacerbace onemocnění. *Polysorbáty* – Tento léčivý přípravek obsahuje polysorbát. Polysorbáty mohou způsobit alergické reakce. • **Lékové a jiné interakce:** Nebyly provedeny žádné studie interakcí. Efgartigimod alfa může snižovat koncentrace látek, které se vážou k lidskému neonatálnímu Fc receptoru (FcRn), tj. imunoglobulinových přípravků, monoklonálních protilátek nebo derivátů protilátek obsahujících lidskou Fc doménu podtřídy IgG. Výměna plazmy, imunoabsorpce a plazmaferéza mohou snižovat hladinu efgartigimodu alfa v krevním oběhu. • **Fertilita, těhotenství a kojení:** Je známo, že protilátky včetně terapeutických monoklonálních protilátek jsou aktivně transportovány přes placentu (po 30 týdnech těhotenství) v důsledku vazby na neonatální Fc receptor. Efgartigimod alfa může přecházet z matky na vyvíjející se plod. Předpokládá se, že efgartigimod alfa snižuje hladiny mateřských protilátek a potlačuje přenos mateřských protilátek na plod, proto se očekává snížení pasivní ochrany novorozence. O léčbě těhotných a kojících žen efgartigimodem alfa by se mělo uvažovat pouze tehdy, pokud klinický přínos převáží nad riziky. • **Inkompatibility:** Tento léčivý přípravek nesmí být mísen s jinými léčivými přípravky s výjimkou těch, které jsou uvedeny v SmPC. • **Uchovávání:** Uchovávejte v chladničce (2 °C - 8 °C). Uchovávejte v původním obalu, aby byl přípravek chráněn před světlem. • **Držitel rozhodnutí o registraci:** argenx BV, Industriepark-Zwijnaarde 7, 9052 Gent, Belgie. • **Registrační číslo:** EU/1/22/1674/001, EU/1/22/1674/002 • **Datum první registrace:** 10. srpna 2022 • **Datum revize textu:** 06/2025.

Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Přípravek není hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění. Podrobné informace o přípravku naleznete v platném Souhrnu údajů o přípravku, který naleznete na <https://www.ema.europa.eu>. Před předepsáním přípravku si přečtěte Souhrn údajů o přípravku.

*Prosím, všimněte si změny v informacích o přípravku.

▼ Tento léčivý přípravek podléhá dalšímu sledování. To umožní rychlé získání nových informací o bezpečnosti. Žádáme zdravotnické pracovníky, aby hlásili jakákoli podezření na nežádoucí účinky na www.sukl.cz/nahlasiť-nezadouci-ucinek.

Medison Pharma s. r. o., Plynární 10/1617, 170 00 Praha 7, e-mail: office.czech@medisonpharma.com

CZ-VYV-010-07/2025-R01, datum přípravy: 7/2025

ALTERNATIVA v udržovací terapii CIDP¹

HyQvia

Normální lidský imunoglobulin (10%)
Rekombinantní vorhialuronidáza alfa

FACILITOVANÉ SUBKUTÁNNÍ PODÁNÍ VYSOKÝCH DÁVEK IgG^{2,3}

Jediný fSCIG
s dávkováním
až jednou měsíčně.*

* Typické dávkování přípravku HyQvia je každé 3–4 týdny, v závislosti na klinické odpovědi pacienta.¹

Zveme vás
na sympozium
společnosti Takeda
23. 4. 2026
ve 14.15 – 15.00
hodin.

Zkrácené informace o léčivém přípravku: HyQvia 100 mg/ml – infuzní roztok k subkutánnímu podání • Dříve než začnete přípravek předepisovat, seznáme se, prosím, s úplným souhrnným údajů o přípravku (SPC). **Stožení:** * Přípravek HyQvia je jednotka o dvou injekčních lahvičkách tvořena jednou injekční lahvičkou normálního lidského imunoglobulinu (IG 10%) a jednou injekční lahvičkou rekombinantní vorhialuronidázy alfa (rHuPH20). **Léčivá látka:** Jeden ml obsahuje 100 mg normálního lidského imunoglobulinu (o čistotě alespoň 98 % IgG). Maximální obsah IgA je 140 mikrogramů/ml. **Pomocné látky:** Rekombinantní vorhialuronidáza alfa (rHuPH20) – purifikovaný glykoprotein o 447 aminokyselinách produkovaný buněčnými křečci čínského (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) u syndromů primární imunodeficiency s narušenou tvorbou protilátek a u sekundárních imunodeficiencí (SID) u pacientů, kteří trpí závažnými nebo rekurentními infekcemi, neúčinnou antimikrobiální léčbou a buďto prokázaným selháním specifické protilátky (*PSAF – neschopnost dosáhnout alespoň dvojnásobného zvýšení titru IgG protilátek po podání pneumokokových polysacharidových a polysacharidových 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 polyradikuloneuropatie (CIDP) jako udržovací léčba po stabilizaci s IVg. **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 je dávka u každého pacienta individuální, závisí na konkrétní farmakokinetice a klinické odpovědi. Dávka založená na tělesné hmotnosti může vyžadovat úpravu u pacientů s podváhou nebo nadváhou. Následující dávkovací režimy jsou pouze doporučení. **Substituční léčba při PID:** Pacienti dosud neléčení imunoglobuliny: Dávka potřebná k dosažení minimální hladiny IgG 6 g/l v rovnovážném stavu je rádo 0,4 až 0,8 g/kg tělesné hmotnosti/měsíc. Dávkovací interval k udržení hladin v rovnovážném stavu se liší v rozmezí 2 až 4 týdny. Minimální hladiny IgG v rovnovážném stavu mají být měřeny a hodnoceny ve spojení s incidencí infekce. Ke snížení frekvence infekcí může být nezbytné zvýšit a snížit se o vyšší minimální hladiny IgG v rovnovážném stavu (> 6 g/l). Při zahájení léčby se doporučuje léčebné intervaly prvních infuzí postupně prodloužovat od jedné dávky jednou týdně až po jednu dávku za 3 nebo 4 týdny. Kumulativní měsíční dávka IgG 10% by měla být rozdělena do jednotydenních, dvoutydenních atd. dávek podle naplánovaných léčebných intervalů přípravku HyQvia. **Pacienti dříve léčení intravenózním imunoglobulinem (IVg):** U pacientů, kteří přecházejí přímo z IVg nebo kteří dříve dostávali porovnatelnou dávku IVg, má být léčivý přípravek podáván ve stejné dávce a se stejnou četností jako jejich předchozí IVg léčba. Pokud byli dříve pacienti na 3týdenním dávkovacím režimu, zvýšení intervalu na 4 týdny lze dosáhnout podáváním stejných týdenních ekvivalentů. **Pacienti dříve léčení subkutánním imunoglobulinem (SCIG):** Úvodní dávka léčivého přípravku je stejná jako u SCIG léčby, lze jí však přizpůsobit 3 nebo 4týdennímu intervalu. První infuze má být podána jeden týden po poslední léčbě 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 výskytlem infekce. Dávka má být podle potřeby upravena k dosažení optimální ochrany proti infekcím; zvýšení dávky může být nezbytné u pacientů s přetrvávající infekcí; snížení dávky lze zvážit, když je pacient nadále bez infekce. **Imunomodulační léčba při CIDP:** Před zahájením léčby má být týdenní odpovídající dávka vypočítána vydělením plánované dávky plánovaným intervalem dávky v týdnech. Typické rozmezí intervalu dávkování přípravku HyQvia je 3 až 4 týdny. Doporučená subkutánní dávka je 0,3 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 pravidelně snižovat dávky, aby bylo možné sledovat, 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 uvážených ošetřujících lékařů mohou být u pacientů, kteří dobře snášejí první 2 infuze, podávány další infuze v postupným zvyšováním dávek a dávkovacích intervalů s ohledem na objem a celkovou dobu infuze. Zrychlené titrační schéma může být zváženo, pokud pacient snáší objemy s.c. infuzí a první 2 infuze. Dávky menší nebo rovné 0,4 g/kg mohou být podávány bez titračního schématu, pokud pacient vykazuje přijatelnou snášenlivost, viz informace v SPC. **Pediatrická 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 s odpovídajícím množstvím rHuPH20, viz informace v SPC. **Kontraindikace:** * HyQvia se nesmí podávat intravenózně ani intramuskulárně. Hypersenzitivita na léčivou látku (IgG) nebo na kteroukoli pomocnou látku. Hypersenzitivita na lidské imunoglobuliny, zejména ve velmi závažných případech deficitu IgA, kdy má pacient pro IgA protilátky. Známá systémová hypersenzitivita na hyaluronidázu nebo rHuPH20. **Upozornění:** * Pokud je přípravek HyQvia náhodně aplikován do žil, může u pacienta vyvolat šok. Používejte doporučené rychlosti infuze. Pacienti je nutné důsledně sledovat v průběhu celé infuze, a to především pacienti začínající s léčbou. Účinné nežádoucí účinky se mohou objevovat častěji u pacientů, kteří dostávají normální lidský imunoglobulin poprvé nebo (ve vzácných případech) je mění nebo pokud uběhla dlouhá doba od předchozí infuze. V případě nežádoucích účinků je nutné buď snížit rychlost podávání infuze, nebo jí úplně zastavit. V případě šoku okamžitě ukončíte infuzi a zahajte u pacienta léčbu šoku. **Hypersenzitivita na IG 10%:** Právě reakce přecitlivělosti jsou vzácné. Může k nim docházet především u pacientů s protilátkami proti IgA, které je třeba léčit se zvýšenou opatrností. **Hypersenzitivita na rHuPH20:** Jakékoli podezření na reakci podobnou alergické nebo anafylaktické reakci po podání rHuPH20 vyžaduje okamžitě přerušeni infuze a – podle konkrétní potřeby – zahájení standardního léčebného postupu. **Imunogenita rHuPH20:** U pacientů léčených přípravkem HyQvia v klinických studiích byl 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 výskytu tromboembolické příhody je třeba postupovat s opatrností. **Hemolytická anémie:** Imunoglobulinové přípravky obsahují protilátky proti krevním skupinám (např. A, B, D), které se mohou chovat jako hemolyziny. **Syndrom aseptické meningitidy (AMS):** Ve spojení s intravenózní a subkutánní imunoglobulinovou léčbou byl hlášen výskyt syndromu aseptické meningitidy. AMS se může častěji objevovat ve spojitosti s vysokou dávkou (2 g/kg) intravenózní imunoglobulinovou léčbou. **Důležité informace o některých složkách přípravku HyQvia:** Složka IG 10% je v podstatě „bez sodíku“. rHuPH20 obsahuje následující množství (mg) sodíku v jedné injekční lahvičce: 1,25 ml – 5,0 mg; 5 ml – 10,1 mg; 10 ml – 20,2 mg; 15 ml – 30,3 mg; 20 ml – 40,4 mg; 25 ml – 50,5 mg. **Interference se sérologickými testy:** Po imunoglobulinové infuzi může mít přechodný vzestup různých pasivně přenesených protilátek v krvi pacienta za následek zavádějící pozitivní výsledky sérologických testů. **Přenosná agens:** Normální lidský imunoglobulin a lidský sérový albumin (stabilizátor rekombinantní vorhialuronidázy alfa) se vyrábějí z lidské plazmy. Standardní opatření zabráňující přenosu infekce zahrnují pečlivý výběr dárců, testování jednotlivých oděrů krve a plazmatických složek na specifické ukazatele infekce a určité výrobní kroky, při nichž jsou inaktivovány nebo odstraněny viry. Pres všechna tato opatření při přípravě léčivých přípravků vyráběných z lidské krve nebo plazmy nelze riziko přenosu infekce zcela vyloučit. Důrazně se doporučuje zaznamenat při každém podání přípravku HyQvia pacientovi název a číslo šarže přípravku, aby bylo možné zpětně přiřadit k pacientovi číslo použité šarže. **Pediatrická populace:** Uvedená upozornění a opatření platí jak pro dospělé, tak pro děti. **Hlavní nežádoucí účinky:** Normální lidský imunoglobulin: Priležitostně se mohou objevit nežádoucí účinky, jako je třesavka, bolest hlavy, závrať, horečka, zvracení, alergické reakce, nauzea, artralgie, nízký krevní tlak a středně závažná bolest dolní poloviny zad. Často se mohou vyskytnout lokální reakce v místech infuze: zduření, bolestivost, erytém, indurace, lokální zánět, svědění, zhmoždění a vyrážka. rHuPH20: Nejčastější NU uváděné během postmarketingového užívání rHuPH20 v podobném směru podávání subkutánně za účelem disperze a absorpce subkutánně aplikovaných tekutin nebo léčivých přípravků byly mírné lokální reakce v místě infuze jako např. erytém a bolest. V souvislosti s aplikací velkého objemu subkutánních tekutin byl nejčastěji hlášen otok. NU hlášené v klinických studiích a postmarketingově sledování s frekvencí velmi časté (>= 1/10) byly bolest hlavy, zvýšený krevní tlak a hypertenze, nauzea, bolest břicha jeho dolní a horní poloviny a citlivost, průjem, zvracení, artralgie, lokální reakce (celkové) a bolest v místě infuze. **Významné interakce:** Aplikace imunoglobulinu může na dobu nejméně 6 týdnů a nejvýše 3 měsíci narušit účinnost živých atenuovaných virových vakcín. V případě spalníček může toto narušení účinnosti trvat až 1 rok. Proto je potřeba u pacientů očkování 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 měsíci. Po uchovávání při pokojové teplotě nevracejte do chladničky. Zlikvidujte po 3 měsících nebo po uplynutí doby použitelnosti, podle toho, co nastane dříve. Datum výtisku z chladničky je třeba zaznamenat na krabičku. Chraňte před mrazem. Uchovávejte 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/1/13/840/001, 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 **Poslední revize SPC:** 04/2025. *Všimněte si, prosím, změn v informacích o léčivém přípravku. **Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Léčivý přípravek je hrazen 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 e-mailem na AE.CZE@takeda.com. Podezření na nežádoucí účinky hlaste také podle národních legislativních požadavků.

REFERENCE: 1. BrilV et al. J Peripher Nerv Syst. 2023. 2. Wasserman RL et al. J Allergy Clin Immunol. 2012. 3. Hadden RDM et al. J Peripher Nerv Syst. 2024. 4. Souhrnná informace o přípravku HyQvia.

Copyright 2026 © Takeda Pharmaceutical Company Limited. Všechna práva vyhrazena. Všechny ochranné známky jsou majetkem příslušných vlastníků.

Takeda Pharmaceuticals Czech Republic s.r.o.
Škrétova 490/12, 120 00 Praha 2, Česká republika, info-cz@takeda.com

C-APP/ CZ/HYQ/0123
Datum přípravy: 4/2026



Může převzít kontrolu nad gMG každý den

Zilbrysq[®] je inhibitor komplementu C5 s duálním mechanismem účinku, který nastupuje rychle a umožňuje konzistentní zlepšení symptomů při generalizované formě myasthenie gravis.^{1,2}



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

▼ Zilbrysq 16,6 mg injekční roztok v předplněné injekční stříkačce, Zilbrysq 23 mg injekční roztok v předplněné injekční stříkačce, Zilbrysq 32,4 mg injekční roztok v předplněné injekční stříkačce

Složení: Zilbrysq 16,6 mg: Jedna předplněná injekční stříkačka obsahuje sodnou sůl zilukoplanu v množství ekvivalentním 16,6 mg zilukoplanu v 0,416 ml (40 mg/ml). Zilbrysq 23 mg: Jedna předplněná injekční stříkačka obsahuje sodnou sůl zilukoplanu v množství ekvivalentním 23 mg zilukoplanu v 0,574 ml (40 mg/ml). Zilbrysq 32,4 mg: Jedna předplněná injekční stříkačka obsahuje sodnou sůl zilukoplanu v množství ekvivalentním 32,4 mg zilukoplanu v 0,810 ml (40 mg/ml). **Indikace:** Přidatná léčba ke standardní léčbě generalizované myasthenie gravis (gMG) u dospělých pacientů, kteří mají pozitivní nálezy protilátek proti acetylcholinovým receptorům (AChR). **Dávkování:** Před zahájením léčby musí být pacienti očkováni proti *Neisseria meningitidis*. Pokud je nutné zahájit léčbu méně než 2 týdny po očkování, musí pacient dostat vhodnou profylaktickou antibiotickou léčbu až do 2 týdnů po první dávce vakcíny. Doporučená dávka se podává ve formě subkutánní injekce jednou denně a každý den přibližně ve stejnou dobu. Celková denní dávka podle rozmezí tělesné hmotnosti pacienta je následující: tělesná hmotnost < 56 kg: 16,6 mg, tělesná hmotnost ≥ 56 až < 77 kg: 23 mg, tělesná hmotnost ≥ 77 kg: 32,4 mg. **Starší pacienti:** Není nutná žádná úprava dávkování. U pacientů s poruchou funkce ledvin není nutná žádná úprava dávkování. Nejsou k dispozici žádné údaje o pacientech vyžadujících dialýzu. U pacientů s lehkou a středně těžkou poruchou funkce jater není nutná žádná úprava dávkování. Bezpečnost a účinnost přípravku Zilbrysq u pacientů s těžkou poruchou funkce jater nebyla stanovena. **Pediatrická populace:** Bezpečnost a účinnost přípravku Zilbrysq u dětí mladších 18 let nebyla stanovena - více viz SmPC. **Způsob podání:** Přípravek se podává subkutánní injekcí. Mezi vhodná místa vpichu patří přední část stehna, břicho a zadní strana horní části paží. Místa vpichu je třeba obměňovat a injekce nemají být aplikovány do oblastí, kde je kůže citlivá, erytematózní, poškozená, ztvrdlá, nebo na místa, kde se nacházejí jizvy či strie. Zilbrysq si může aplikovat sám pacient nebo jiná osoba, která byla řádně vyškolená. **Kontraindikace:** Hypersenzitivita na léčivou látku nebo na kteroukoli pomocnou látku. Pacienti, kteří v současné době nejsou očkováni proti *Neisseria meningitidis*. Pacienti s probíhající infekcí *Neisseria meningitidis*. **Zvláštní upozornění a opatření při používání:** Díky jeho mechanismu účinku může užívání zilukoplanu zvýšit náchylnost pacienta k infekcím bakterií *Neisseria meningitidis*. Jako preventivní opatření musí být všichni pacienti očkováni proti meningokokovým infekcím nejméně 2 týdny před zahájením léčby. Pokud je nutné zahájit léčbu méně než 2 týdny po očkování proti meningokokovým infekcím, musí pacient dostat vhodnou profylaktickou antibiotickou léčbu až do 2 týdnů po první dávce vakcíny. Meningokokové vakcíny snižují, ale zcela neodstraňují riziko meningokokových infekcí - více viz SmPC. Během léčby mají být pacienti sledováni z hlediska známek a příznaků meningokokové infekce a v případě podezření na infekci musí být okamžitě vyšetřeni a je třeba přijmout vhodná opatření, jako je léčba antibiotiky a přerušení léčby přípravkem Zilbrysq. Pokud se objeví známky nebo příznaky meningokokových infekcí, je třeba pacienty poučit, aby okamžitě vyhledali lékařskou pomoc. Pacienti mohou být náchylní také k infekcím jinými druhy bakterií rodu *Neisseria*, jako jsou gonokokové infekce. Pacienti musí být informováni o důležitosti prevence a léčby kapavky. Před zahájením léčby zilukoplanem se doporučuje, aby pacienti zahájili imunizace podle současných imunizačních doporučených postupů. Zilbrysq obsahuje v podstatě zanedbatelné množství sodku - více viz SmPC. **Interakce:** Na základě výsledků testování in vitro zilukoplan klinicky relevantně neinhubuje ani neindukuje enzymy metabolizující léčiva (CYP a UGT) ani běžné transportéry. Na základě potenciálního inhibičního účinku zilukoplanu na cytotoxicitu rituximabu závislou na komplementu může zilukoplan snížit očekávané farmakodynamické účinky rituximabu. **Fertilita, těhotenství a kojení:** Léčbu těhotných žen přípravkem Zilbrysq lze zavázat pouze v případě, že klinické přínosy převažují nad riziky. Není známo, zda se zilukoplan vylučuje do mateřského mléka nebo zda se po perorálním požití novorozenci/kojenci systémově absorbuje. Riziko pro kojené novorozence/děti nelze vyloučit a má se zvážit zda přerušit kojení nebo ukončit/přerušit podávání zilukoplanu. Účinek na lidskou fertilitu nebyl hodnocen. **Nežádoucí účinky:** Velmi časté: infekce horních cest dýchacích, reakce v místě vpichu, časté: průjem, zvýšená hladina lipázy, zvýšená hladina amylázy, morfeje, méně časté: zvýšení počtu eozinofilů v krvi. **Doba použitelnosti:** 4 roky. **Zvláštní opatření pro uchování:** Uchovávejte v chladničce (2 °C–8 °C). Chraňte před mrazem. Uchovávejte v krabičce, aby byl přípravek chráněn před světlem. Pacienti mohou předplněnou injekční stříkačku uchovávat při pokojové teplotě až do 30 °C v původním obalu po dobu maximálně 3 měsíců. Jakmile byl přípravek Zilbrysq uchován při pokojové teplotě, nesmí být umístěn zpět do chladničky, a pokud nebyl spotřebován během 3 měsíců nebo do data použitelnosti, podle toho, co nastane dříve, je třeba jej zlikvidovat. **Dostupné lékové formy a velikosti balení:** 16,6 mg, 23 mg a 32,4 mg injekční roztok; 7 předplněných injekčních stříkaček. **Držitel rozhodnutí o registraci:** UCB Pharma S.A., Bruxelles, Belgie. **Registrační čísla:** EU/1/23/1764/001–006. **Datum revize textu:** 26. 11. 2025. Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Přípravek není hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění. Podrobné údaje najdete v Souhrnu údajů o přípravku <https://sukl.gov.cz/>. Přípravek Zilbrysq je předepisován a vydáván v souladu s programem kontrolovaného přístupu pro přípravek Zilbrysq.

Reference: 1. Howard JF Jr, Bresch S, Genge A, et al. Safety and efficacy of zilucoplan in patients with generalised myasthenia gravis (RAISE): a randomised, double-blind, placebo-controlled, phase 3 study. *Lancet Neurol.* 2023;22(5):395–406. 2. Zilbrysq[®] (zilucoplan) Souhrn charakteristických vlastností léku, datum revize textu: 26. 11. 2025.

Odborný program

Čtvrtek 23.4.2026

9.00 - 9.10	Zahájení kongresu <i>S. Voháňka, F. Cibulčík</i>	
9.10 - 10.50	BLOK I <i>F. Cibulčík, J. Bednařík</i>	
9.10 - 9.30	Léze periferních nervů v porodnictví a gynekologii <i>E. Ehler</i>	20 min.
9.30 - 9.50	Kraniálne neuralgie <i>E. Kurča</i>	20 min.
9.50 - 10.10	Současné možnosti léčby hereditárních neuropatií <i>R. Mazanec</i>	20 min.
10.10 - 10.30	Akvirovaná neuromyotónia – imunopatogenéza a naše zkušenosti s jej diagnostikou a liečbou <i>P. Špalek, F. Cibulčík, I. Martinka, †I.K. Hart, A. Vincent</i>	20 min.
10.30 - 10.50	Protilátky u imunitně zprostředkovaných polyneuropatií <i>M. Horáková</i>	20 min.
10.50 - 11.10	Coffee Break	15 min.
11.10 - 12.10	BLOK II	
11.10 - 12.10	Satelitní sympozium UCB <i>S. Voháňka, M. Týblová</i> Nová éra v léčbě myasthenie gravis FcRn inhibitory a duální inhibice komplementu	
11.10 - 11.25	Postavení inovativních přípravků v léčbě myasthenie gravis: optimální cílové skupiny pacientů pro rozanolixizumab a zilukoplan <i>S. Voháňka</i>	15 min.
11.25 - 11.40	Rozanolixizumab a zilukoplan v praxi: klinické zkušenosti a doporučení <i>M. Týblová</i>	15 min.
11.40 - 12.10	Satelitní sympozium Biogen <i>L. Juříková</i>	
11.40 - 11.55	Léčit, nebo vyčkávat? Klinické dilema u SMA s 5 kopiemi SMN2 <i>O. Parmová</i>	15 min.
11.55 - 12.10	Posouvání hranic v léčbě SMA: Klinický význam vyšší dávky nusinersenu <i>O. Havlín</i>	15 min.
12.10 - 13.30	Polední přestávka	80 min.

13.30 - 15.00	BLOK III	
13.30 - 14.15	Satelitní sympozium AstraZeneca <i>I. Martinka, S. Vohářka</i> C5 inhibitory v léčbě myasthenia gravis – od klinické studie ke klinické praxi	
13.30 - 13.45	Výsledky dlouhodobého pokračování studie CHAMPION-OLE <i>I. Martinka</i>	15 min.
13.45 - 14.00	Léčba C5 inhibitory ve světle reálné klinické praxe: Výsledky analýzy registru MG SPOTLIGHT <i>S. Vohářka</i>	15 min.
14.00 - 14.10	Příběh pacienta FN Ostrava <i>J. Junkerová</i>	10 min.
14.10 - 14.15	Diskuze	5 min.
14.15 - 15.00	Satelitní sympozium Takeda <i>J. Bednařík, Š. Brušáková</i> fSCIG v léčbě CIDP v souvislostech	
14.15 - 14.30	Klinická data fSCIG v českém kontextu <i>J. Bednařík</i>	15 min.
14.30 - 14.40	Zkušenosti s léčbou CIDP: co nás učí klinická praxe <i>Š. Brušáková</i>	10 min.
14.40 - 14.45	Léčba v režimu každé čtyři týdny <i>Pacientská zkušenost</i>	5 min.
14.45 - 14.55	Aplikace fSCIG z pohledu zdravotní sestry <i>I. Teplá</i>	10 min.
14.55 - 14.00	Diskuze	5 min.
15.00 - 15.30	Coffee Break	
15.30 - 17.00	BLOK IV Zobrazení u NM chorob <i>B. Adamová, P. Steyerová</i>	
15.30 - 16.00	Využití multimodálního MR zobrazování u neuromuskulárních chorob <i>V. Kokošová</i>	30 min.
16.00 - 16.15	Kvantitativní MR svalů stehna u pacientů s myotonickou dystrofií 2. Typu a zdravých kontrol – pilotní studie <i>B. Adamová</i>	15 min.
16.15 - 16.40	Přínos ultrazvuku pro diagnostiku lézí periferních nervů <i>P. Steyerová</i>	25 min.
16.40 - 16.55	Detekcia fascikulací u pacientov s podozrením na ALS pomocou svalovej ultrasonografie <i>J. Petrišin</i>	15 min.
16.55 - 17.00	Diskuse	5 min.
17.15 - 17.15	Coffee Break	15 min.

17.15 - 18.30	BLOK V Varia a Kazuistiky <i>E. Ehler, G. Hajaš</i>	
17.15 - 17.30	Funkční vyšetření svalů stehna u pacientů s myotonickou dystrofií 2. Typu a zdravých kontrol – pilotní studie <i>D. Vlažná</i>	15 min.
17.30 - 17.45	Myositida? <i>P. Potužník</i>	15 min.
17.45 - 18.00	Diferenciální diagnostika paréz abdominálních svalů: přehled kazuistik <i>A. Sabovčík</i>	15 min.
18.00 - 18.15	Prevalence kardiální autonomní neuropatie u vybraných dědičných neuropatií <i>K. Prášil</i>	15 min.
18.15 - 18.30	Komplexní regionální bolestivý syndrom po sebepoškození – kazuistika <i>I. Šrotová</i>	15 min.
19.00 - 22.00	Diskuzní večere pro všechny účastníky	

Pátek 24. 4. 2026

9.00 - 10.15	BLOK VI	
9.00 - 9.45	Satelitní sympozium Medison Pharma <i>S. Vohářka</i> Inovativní přístupy v léčbě pacientů se vzácnými onemocněními	
9.00 - 9.15	VYVGART v léčbě gMG: naše zkušenosti z klinické praxe <i>M. Týblová</i>	15 min.
9.15 - 9.30	Akutní porfyrie – vzácná onemocnění: kdy na ně pomyslet? <i>E. Vlčková</i>	15 min.
9.30 - 9.45	hATTR-PN: diagnostika a současné možnosti léčby <i>R. Mazanec</i>	15 min.
9.45 - 10.15	Satelitní sympozium Roche Inovativní přístupy v léčbě pacientů se vzácnými onemocněními	
9.45 - 10.00	Moderní technologie a kvalita života pacientů s neuromuskulárním onemocněním <i>O. Parmová</i>	15 min.
10.00 - 10.15	Efektivita a bezpečnost switchu u dospělých: Pohled cez kazuistiku a Real-World data - Studium medicíny s diagnózou SMA <i>I. Štegenová</i>	15 min.
10.15 - 10.30	Coffee Break	15 min.

10.30 - 11.45	Blok VII Varia a kazuistiky <i>M. Turčanová Koprůšáková, R. Mazanec</i>	
10.30 - 10.45	Mitochondriálna dysfunkcia u pacientov s amyotrofickou laterálnou sklerózou: aktuálne poznatky z respirometrie s vysokým rozlíšením – súbor pacientov <i>M. Turčanová Koprůšáková</i>	15 min.
10.45 - 11.00	Givinostat-nová možnosť liečby pro pacienty s Duchennovou svalovou dystrofií <i>L. Juříková</i>	15 min.
11.00 - 11.15	Svalové dystrofie na prahu nové éry: od symptomatické péče k terapiím cíleným na mechanismus onemocnění <i>L. Mensová</i>	15 min.
11.15 - 11.30	Není GBS jako GBS – soubor kazuistik <i>M. Židó</i>	15 min.
11.30 - 11.45	Keď to nie je myasténia – diagnostické pitfalls <i>L. Gurčík</i>	15 min.
11.45 - 12.00	Coffee Break	15 min.
12.00 - 13.45	Blok VIII Varia a kazuistiky <i>I. Martinka, E. Vičková</i>	
12.00 - 12.15	Diagnostická výzva u pacienta s kardiálnym poškodením, chronickou hyperckémií a neuropatií: interaktívni kazuistika <i>O. Parmová</i>	15 min.
12.15 - 12.30	Distálne myopatie ako diagnostická výzva – tri raritné prípady z neuromuskulárneho centra <i>I. Martinka</i>	15 min.
12.30 - 12.45	Neurologické komplikácie protinádorové imunoterapie <i>Š. Divišová</i>	15 min.
12.45 - 13.00	Neuromuskulárne komplikácie liečby inhibítormi imunitných kontrolných bodov <i>G. Hajaš</i>	15 min.
13.00 - 13.15	Neurologické komplikácie liečby checkpoint inhibítormi – kazuistiky <i>J. Vejskal</i>	15 min.
13.15 - 13.30	Paraproteinémia asociovaná polyneuropatia: diagnostické a terapeutické výzvy pri waldenströmovej makroglobulinémii – kazuistika <i>K. Šveda</i>	15 min.
13.30 - 13.45	Zakončení Kongresu a předání štafety do Bratislavy 2027 <i>S. Vohánka, F. Cibulčík</i>	
13.45 - 14.30	Oběd	

E-posterová sekce

Genetické a klinické spektrum českých pacientů s variantami v genu SCN4A

J. Kopčilová

Profile of Czech and Slovak paediatric SMA patients at the time of introduction of the first disease modifying therapy aligns with international real-world evidence

Z. Kočí, L. Sobišek, B. Marešová, J. Haberlová

RYSTIGGO® ▼

rozanolixizumab

OBJEVTE, co může RYSTIGGO® znamenat pro vaše pacienty s gMG

Jediný inhibitor FcRn se schválenou indikací pro léčbu anti-AChR Ab+ nebo anti-MuSK Ab+ gMG, který umožňuje pacientům dosáhnout nové úrovně zlepšení symptomů.^{1,2}



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

Rystiggo 140 mg/ml injekční roztok. Složení: Jeden ml injekčního roztoku obsahuje 140 mg rozanolixizumabu. Jedna injekční lahvička o objemu 2 ml obsahuje 280 mg rozanolixizumabu. **Indikace:** Přídavná léčba ke standardní léčbě generalizovaného onemocnění myasthenia gravis (gMG) u dospělých pacientů, kteří jsou pozitivní na protilátky proti acetylcholinovému receptoru (AChR) nebo protilátky proti svalové specifické tyrosin-kináze (MuSK). **Dávkování:** Léčebný cyklus sestává z 1 dávky týdně po dobu 6 týdnů. Doporučená celková týdenní dávka rozanolixizumabu podle tělesné hmotnosti pacienta je následující: tělesná hmotnost ≥ 35 až < 50 kg: 280 mg, tělesná hmotnost ≥ 50 až < 70 kg: 420 mg, tělesná hmotnost ≥ 70 až < 100 kg: 560 mg, tělesná hmotnost ≥ 100 kg: 840 mg - více viz SmPC. Farmakokinetika rozanolixizumabu není pravděpodobně ovlivněna **poruchou funkce ledvin** ani **poruchou funkce jater** - více viz SmPC. **Starší pacienti:** Není nutná úprava dávkování. **Pediatrická populace:** Bezpečnost a účinnost rozanolixizumabu u dětí a dospívajících mladších 18 let nebyla stanovena. **Způsob podání:** Subkutánní podání. Rozanolixizumab se doporučuje podávat subkutánně nejlépe do pravé dolní nebo levé dolní části břicha pod pupkem. Infuze se nesmí podávat do oblastí, kde je kůže citlivá, erytematózní nebo ztvrdlá. Přípravek Rystiggo lze podávat pomocí infuzní pumpy, nebo injekční stříkačkou pomocí manuálního tlaku. Přípravek Rystiggo si pacient/ka může podávat sám (sama) nebo může být podáván pečovatelem, a to podle Návodů k použití po řádném proškolení zdravotnickým pracovníkem o tom, jak podávat subkutánní infuze - více viz SmPC. **Kontraindikace:** Hypersenzitivita na léčivou látku nebo na kteroukoli pomocnou látku. **Zvláštní upozornění a opatření při používání:** Léčba rozanolixizumabem u pacientů s rozvojem nebo manifestní **myastenickou krizí** nebyla zkoumána. Je třeba zvážit sekvenci zahájení léčby mezi zavedenou léčbou krize MG a rozanolixizumabem a jejich potenciální interakce. Po léčbě rozanolixizumabem byla hlášena **aseptická meningitida**. Pokud se objeví příznaky odpovídající aseptické meningitidě, je třeba zahájit diagnostické vyšetření a léčbu podle standardu péče. Vzhledem k tomu, že rozanolixizumab způsobuje přechodné snížení hladin IgG, může se zvyšovat riziko **infekcí**. Léčba rozanolixizumabem nemá být zahájována u pacientů s jakoukoli klinicky významnou aktivní infekcí, dokud infekce neodezní, nebo není adekvátně léčena. Během léčby rozanolixizumabem je třeba sledovat klinické známky a příznaky infekcí. Pokud se objeví klinicky významná aktivní infekce, je třeba zvážit vysazení rozanolixizumabu až do odeznění infekce. Mohou se objevit reakce na infuzi, jako je vyrážka nebo angioedém. Pokud během podávání dojde k **hypersenzitivní reakci**, infuze rozanolixizumabu má být ukončena a v případě potřeby mají být zahájena vhodná opatření. Po jejím odeznění je možné podávání obnovit. **Očkování:** Bezpečnost imunizace živými nebo živými oslabenými vakcínami a odpověď na imunizaci vakcínami nejsou známy. Všechny vakcíny musí být podávány podle pokynů pro imunizaci a nejméně 4 týdny před zahájením léčby. U pacientů, kteří podstupují léčbu, se očkování živými nebo živými oslabenými vakcínami nedoporučuje. U všech ostatních vakcín musí proběhnout nejméně 2 týdny po poslední infuzi léčebného cyklu a 4 týdny před zahájením dalšího cyklu. Rystiggo obsahuje **prolin** a **polysorbát**. **Interakce:** Vzhledem k tomu, že rozanolixizumab interferuje s recyklačním mechanismem FcRn imunoglobulinu G (IgG), očekává se, že sérové koncentrace léčivých přípravků na bázi IgG (např. monoklonální protilátky a intravenózní imunoglobulin [IVIg]) a Fc-peptidových fúzních proteinů klesnou, pokud budou podávány souběžně nebo během 2 týdnů po podání rozanolixizumabu. Léčba i.v. nebo s.c. imunoglobuliny, PLEX/plazmaferézou a imunoabsorpce může snížit cirkulující hladiny rozanolixizumabu. Jelikož rozanolixizumab způsobuje snížení hladin IgG, během léčby se nedoporučuje vakcinace živými oslabenými ani živými vakcínami - více viz SmPC. **Fertilita, těhotenství a kojení:** Léčba těhotných žen a použití během kojení se májí zvážit pouze v případě, že klinický přínos převáží nad riziky. Očekává se snížení hladiny protilátek u matky, a také se očekává inhibice přenosu protilátek matky na plod. Materské IgG jsou vylučovány do mateřského mléka během prvních dnů po porodu, a brzy poté dochází k poklesu na nízké koncentrace; proto nelze riziko pro kojené dítě během daného krátkého období vyloučit - více viz SmPC. Účinek na lidskou fertilitu není znám. **Nežádoucí účinky: Velmi časté:** bolesti hlavy, průjem, pyrexie, **časté:** infekce horních cest dýchacích, nauzea, zvracení, vyrážka, angioedém, artralgie, reakce v místě injekce. **Doba použitelnosti:** 3 roky. Chemická a fyzikální stabilita po otevření před použitím je 19 hodin při teplotě 25 °C. Pokud způsob přípravy nevyvolá riziko mikrobiologické kontaminace, přípravek má být použit okamžitě. Pokud není použit okamžitě, doba a podmínky uchování přípravku po otevření před použitím jsou v odpovědnosti uživatele. **Zvláštní opatření pro uchování:** Uchovávejte v chladničce (2 °C–8 °C). Chraňte před mrazem. Uchovávejte v krabičce, aby byl přípravek chráněn před světlem. Injekční lahvičku přípravku Rystiggo lze uchovávat při pokojové teplotě (do 25 °C) po dobu maximálně 20 dnů, chráněnou před světlem. Po vyjmutí z chladničky a uchování za těchto podmínek přípravek zlikvidujte po 20 dnech nebo po uplynutí doby použitelnosti, podle toho, co nastane dříve. **Dostupné lékové formy a velikosti balení:** 1 injekční lahvička. **Držitel rozhodnutí o registraci:** UCB Pharma S.A., Bruxelles, Belgie. **Registrační číslo:** EU/1/23/1780/001. **Datum revize textu:** 6. 1. 2026. Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Přípravek není hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění. Podrobné údaje najdete v Souhrnu údajů o přípravku a na <https://suuk.gov.cz/>.

RYSTIGGO® je indikováno jako přídavek ke standardní léčbě generalizované myasthenia gravis (gMG) u dospělých pacientů s pozitivními protilátkami proti acetylcholinovému receptoru (AChR) nebo proti svalové specifické tyrosin-kináze (MuSK)

Reference: 1. RYSTIGGO® (rozanolixizumab) Souhrn údajů o přípravku. 2. Bril V, Druzdz A, Grosskreutz J, et al. Safety and efficacy of rozanolixizumab in patients with generalised myasthenia gravis (MycarinG): a randomised, double-blind, placebo-controlled, adaptive phase 3 study. Lancet Neurol. 2023;22(5):383–394.

Ab+, protilátka pozitivní; **AChR**, acetylcholinový receptor; **FcRn**, neonatální Fc receptor; **gMG**, generalizovaná myasthenia gravis; **MuSK**, svalové specifická tyrosin-kináza. Model není skutečný pacient.

Rystiggo® je ochrannou známkou skupiny společností UCB.

© UCB Biopharma SRL, 2025. Všechna práva vyhrazena.

UCB s.r.o., Jankovcova 1518/2, 170 00 Praha 7, tel.: +420 221 773 442

e-mail: UCB.Cares.CZ@ucb.com, www.ucb.cz

CZ-RZ-2600024 Datum přípravy: duben 2026



Inspired by patients.
Driven by science.



Biogen®

Průkopníci v léčbě neurologických onemocnění



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

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



S pokorou vnímáme příležitost měnit životy lidí.

Biogen (Czech Republic) s.r.o., Na Pankráci 1683/127, Praha 4, 140 00
tel.: +420 255 706 200, www.biogen.com.cz
Biogen-233162, únor 2026



Biogen®



Life in action

Evryski 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

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) vázaná 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 lékářem 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 nasogastričnou 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; 5 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, jednou denně. 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. Po rozpuštění ve vodě lze tabletu aplikovat také pomocí výživové sondy (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. Pacienti ve fertilním věku je třeba seznámit s riziky a pacienti musí používat vysoce účinnou antikoncepci během léčby a nejméně 1 měsíc po poslední dávce v případě žen a 4 měsíce po poslední dávce v případě mužů. U pacientek ve fertilním věku je třeba před zahájením léčby vyloučit případné těhotenství. **Možné účinky na mužskou fertilitu:** Na základě údajů ze studií na zvířatech nemají muži během léčby a 4 měsíce po poslední dávce darovat sperma. **Lékové interakce:** Risdiplam 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 nástupem onemocnění 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 Evryski dostupný v hliníkových/hliníkových perforovaných jednodávkových blistrech, které obsahují 7 potahovaných tablet. Velikost balení: 28 x 1 potahovaná tableta. **Podmínky uchování:** **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 uchování. Uchovávejte v původním obalu, aby byl přípravek chráněn před vlhkostí. **Datum registrace** 26.3.2021. **Datum vytvoření textu Zkrácené informace o přípravku:** 26. 2. 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/>.

Reference: 1. SPC Evryski, datum poslední revize textu 26. 2. 2026



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



Seznam partnerů a vystavovatelů

Platinový partner



Zlatý partner



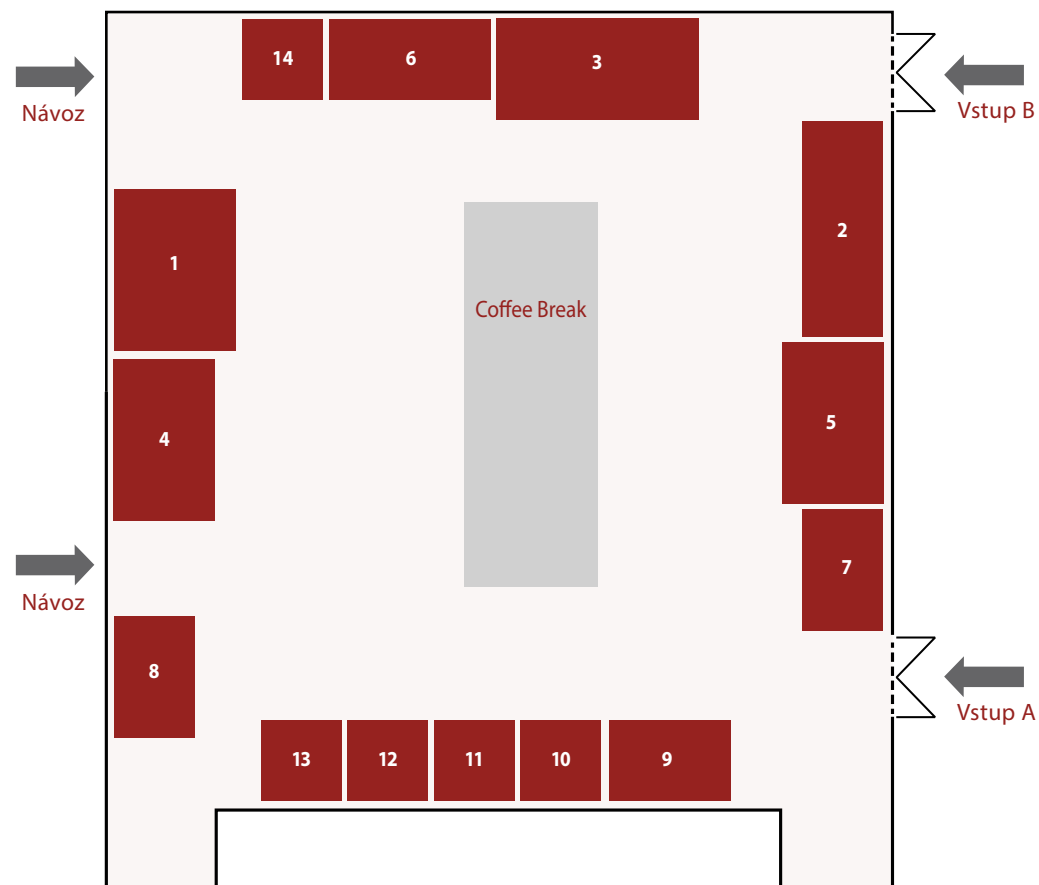
Bronzový partner



Vystavovatel

CSL Behring s.r.o.
DEYMED Diagnostics s.r.o.
Fresenius Medical Care
Grifols s.r.o.
Videris s.r.o.

Plánek výstavních prostor - sál A+B



- | | |
|----------------|-----------------|
| 1. AstraZeneca | 8. Sanofi |
| 2. Medison | 9. Medis |
| 3. Takeda | 10. CSL Behring |
| 4. Biogen | 11. Grifols |
| 5. Roche | 12. Deymed |
| 6. UCB | 13. Fresenius |
| 7. Novartis | 14. Videris |



IS POSSIBLE^{*}

* Možné je více

SPINRAZA™ POMÁHÁ PACIENTŮM DOSÁHNOUT VÍCE

v porovnání s kontrolní skupinou a přirozeným průběhem onemocnění.^{1, 2, **}

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

 **SPINRAZA™**
(nusinersen) injection

ZKRÁCENÁ INFORMACE O LÉČIVÉM PŘÍPRAVKU SPINRAZA

Název přípravku, složení: Spinraza 12 mg injekční roztok: Jedna injekční lahvička k jednorázovému použití o objemu 5 ml obsahuje sodnou sůl nusinersenu odpovídající 12 mg nusinersenu. Jeden ml obsahuje 2,4 mg nusinersenu. **Spinraza 28 mg injekční roztok:** Jedna injekční lahvička k jednorázovému použití o objemu 5 ml obsahuje sodnou sůl nusinersenu odpovídající 28 mg nusinersenu. Jeden ml obsahuje 5,6 mg nusinersenu. **Spinraza 50 mg injekční roztok:** Jedna injekční lahvička k jednorázovému použití o objemu 5 ml obsahuje sodnou sůl nusinersenu odpovídající 50 mg nusinersenu. Jeden ml obsahuje 10 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 (5q). **Dávkování a způsob podání:** Léčbu přípravkem Spinraza má zahájit pouze lékař, který má zkušenosti s léčbou spinální svalové atrofie. K dispozici jsou dva dávkovací režimy – režim s nízkou dávkou 12 mg a režim s vysokou dávkou 50 mg/28 mg. Léčba přípravkem Spinraza má být zahájena co nejdříve po stanovení diagnózy. Režim s nízkou dávkou: V rámci tohoto režimu je 0., 14., 28. a 63. den podána nasycovací dávka 12 mg a poté jednou za 4 měsíce udržovací dávka 12 mg. Režim s vysokou dávkou: 0. a 14. den má být podána nasycovací dávka 50 mg. Udržovací dávka 28 mg má být poté podávána jednou za 4 měsíce. **Přechod z režimu s nízkou dávkou na režim s vysokou dávkou:** Pacienti, kteří jsou aktuálně léčeni přípravkem Spinraza 12 mg, mohou být převedeni na dávkovací režim 50 mg/28 mg s jednou nasycovací dávkou 50 mg podanou s odstupem alespoň 4 měsíce (+/- 14 dní) po poslední dávce 12 mg. Udržovací dávka 28 mg má být potom podávána jednou za 4 měsíce. Pokud dojde ke zpoždění nebo vynechání nasycovací nebo udržovací dávky, má být přípravek Spinraza podán podle schématu uvedeném v tabulce 1 v části 4.2 SPC pro dávkovací režim 12 mg a podle schématu uvedeném v tabulce 2 v části 4.2 SPC pro dávkovací režim 50 mg/28 mg. 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 místa na kůži, která vykazují známky infekce či zánětu. Doporučuje se, aby se pacientovi 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, pokud to vyžaduje klinický stav pacienta. Při přípravě roztoku přípravku Spinraza k intratekálnímu podání se musí použít aseptický postup. **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 pletřvavající zvýšené hladině bílkovin v moči se mají zvážit další vyšetření. **Hydrocefalus:** V období po uvedení přípravku na trh byly u pacientů léčených nusinersenem v dávce 12 mg 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 induktoem ani inhibitoem 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 kojení 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:** Nejčastější nežádoucí účinky související s podáváním nusinersenu pomocí lumbální punkce byly bolest hlavy, zvracení a bolest zad. Po uvedení přípravku na trh byly pozorovány případy komunikujícího hydrocefalu. **Velmi časté:** bolest hlavy, bolest zad, zvracení, pyrexie. **Není známo:** meningitida, hypersenzitivita, aseptická meningitida, arachnoiditida. **Předdávkování:** V případě předdávkování 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 krabici, aby byl přípravek chráněn před světlem. **Balení:** Jedna injekční lahvička v krabici. **Držitel rozhodnutí o registraci:** Biogen Netherlands B.V., 1171 LP Badhoevedorp, Nizozemsko. **Reg. číslo:** EU/1/17/1188/001, EU/1/17/1188/002, EU/1/17/1188/003. **Způsob úhrady a výdeje:** Spinraza 12 mg. Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Přípravek je plně hrazen z prostředků veřejného zdravotního pojištění jako zvlášť účtový léčivý přípravek (ZULP). Spinraza 28 mg a Spinraza 50 mg. Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Přípravky nejsou hrazeny z prostředků veřejného zdravotního pojištění. Přípravek Spinraza 12 mg je dostupný na trhu v České republice. Přípravky Spinraza 28 mg a Spinraza 50 mg nejsou dostupné na trhu v České republice. **Datum revize textu:** 01/2026. 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**

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 2026

Reference:

1. SPC Spinraza, datum revize textu 01/2026.
 2. Coratti G, et al. Orphanet J Rare Dis. 2021;16:430.
- SMA** = spinální svalová atrofie.

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

SBORNÍK ABSTRAKT



Kvantitativní MR svalů stehna u pacientů s myotonickou dystrofií 2. typu a zdravých kontrol – pilotní studie	26
<i>B. Adamová, V. Kokošová, D. Vlažná, M. Sládečková, K. Matulová, M. Dostál, G. Vlachová, K. Plšková, P. Ovesná</i>	
Neurologické komplikace protinádorové imunoterapie	27
<i>Š. Divišová</i>	
Léze periferních nervů v porodnictví a gynekologii	28
<i>E. Ehler</i>	
Neuromuskulárne komplikácie liečby inhibítormi imunitných kontrolných bodov	29
<i>G. Hajaš</i>	
Keď to nie je myasténia – diagnostické pitfalls	30
<i>L. Gurčík</i>	
Profile of czech and slovak paediatric sma patients at the time of introduction of the first disease modifying therapy aligns with international real-world evidence	31
<i>Z. Kočí, L. Sobišek, B. Marešová, J. Haberlová</i>	
Využití multimodálního mr zobrazování u neuromuskulárních chorob	33
<i>V. Kokošová, M. Dostál, B. Adamová</i>	
Genetické a klinické spektrum českých pacientů s variantami v genu SCN4A	34
<i>J. Kopčilová, J. Zídková, T. Kramářová, L. Fajkusová</i>	
Kraniálne neuralgie	35
<i>E. Kurča</i>	
Distálne myopatie ako diagnostická výzva – tri raritné prípady z neuromuskulárneho centra	36
<i>I. Martinka, P. Jungová, A. Hergottová, F. Cibulčík, P. Špalek</i>	
Současné možnosti léčby hereditárních neuropatií	37
<i>R. Mazanec</i>	
Svalové dystrofie na prahu nové éry: od symptomatické péče k terapiím cíleným na mechanismus onemocnění	38
<i>L. Mensová</i>	

Diagnostická výzva u pacienta s kardiálním postižením, chronickou hyperckémií a neuropatií: interaktivní kazuistika	39
<i>O. Parmová</i>	
Detekcia fascikulácií u pacientov s podozrením na ALS pomocou svalovej ultrasonografie	40
<i>J. Petrišin, M. Turčanová Koprůšáková, K. Šveda, E. Kurča</i>	
Myositida?	41
<i>P. Potužník, V. Matoušek</i>	
Prevalence kardiální autonomní neuropatie u vybraných dědičných neuropatií	42
<i>K. Prášil, V. Potočková, T. Nedělka, A. Prášilová, R. Mazanec</i>	
Diferenciální diagnostika paréz abdominálních svalů: přehled kazuistik	43
<i>A. Sabovčík, M. Židó, P. Vaško, I. Štětkářová</i>	
Akvirovaná neuromyotónia - imunopatogenéza a naše skúsenosti s jej diagnostikou a liečbou	44
<i>P. Špalek, F. Cibulčík, I. Martinka, J.K. Hart, A. Vincent</i>	
Komplexní regionální bolestivý syndrom po sebepoškození – kazuistika	45
<i>I. Šrotová, K. Rouchalová, P. Hanáková</i>	
Paraproteinémia asociovaná polyneuropatia: diagnostické a terapeutické výzvy pri Waldenströmovej makroglobulinémii – kazuistika	46
<i>K. Šveda, J. Petrišin, M. Turčanová Koprůšáková, E. Kurča</i>	
Mitochondriálna dysfunkcia u pacientov s amyotrofickou laterálnou sklerózou: aktuálne poznatky z respirometrie s vysokým rozlíšením – súbor pacientov	47
<i>M. Turčanová Koprůšáková, J. Petrišin, K. Šveda, P. Parvanová, J. Chien, N. Huňarová, A. Evinová, M. Kolísek, E. Kurča</i>	
Neurologické komplikace léčby checkpoint inhibitory – kazuistiky	49
<i>J. Vejskal, T. Božovský</i>	
Funkční vyšetření svalů stehna u pacientů s myotonickou dystrofií 2. typu a zdravých kontrol – pilotní studie	50
<i>D. Vlažná, B Adamová, V. Kokošová, M. Sládečková, K. Matulová, M. Dostál, P. Ovesná</i>	
Není GBS jako GBS – soubor kazuistik	51
<i>M. Židó, I. Štětkářová</i>	

KVANTITATIVNÍ MR SVALŮ STEHNA U PACIENTŮ S MYOTONICKOU DYSTROFIÍ 2. TYPU A ZDRAVÝCH KONTROL – PILOTNÍ STUDIE

B. Adamová^{1,2}, V. Kokošová^{1,2}, D. Vlažná^{1,2,3}, M. Sládečková^{1,2,3,4}, K. Matulová², M. Dostál^{2,5}, G. Vlachová⁵, K. Plísková⁵, P. Ovesná⁶

¹ Neurologická klinika FN Brno, Neuromuskulární centrum ERN,

² Lékařská fakulta Masarykovy univerzity Brno,

³ Rehabilitační klinika FN Brno,

⁴ Ústav veřejného zdraví LF MU,

⁵ Klinika radiologie a nukleární medicíny FN Brno,

⁶ Institut biostatistiky a analýz, s.r.o., Brno

Úvod: Svaly stehna hrají důležitou roli při stožení a chůzi a jsou často postiženy u svalových onemocnění. Typickými změnami u svalových onemocnění jsou tuková infiltrace svalů, edematózní změny a atrofie svalů, což je spojeno s poklesem svalové síly. Parametry svalů jsou rovněž ovlivněny řadou fyziologických faktorů, např. věkem. Mezi cenné neinvazivní morfologické vyšetření patří kvantitativní magnetická rezonance (MR) svalů. Cílem pilotní průřezové studie bylo rozpracovat metodiku morfologického vyšetření svalů stehna pomocí pokročilých MR metod včetně procesu segmentace a kvantitativně vyhodnotit tukovou frakci (FF) stehenních svalů.

Metodika: Vyšetřili jsme MR obou stehen u 11 pacientů s geneticky potvrzenou myotonickou dystrofií 2. typu (DM2) a 11 zdravých kontrol. Získali jsme 9 namatčovaných párů, které si byly blízké věkem. MR byla provedena za použití 6bodové Dixon gradient echo sekvence, svaly byly manuálně osegmentovány a následně byla stanovena tuková frakce (FF) pro m. kvadriceps femoris, hamstringy a adduktory stehna oboustranně. Hodnoty obou skupin byly vzájemně porovnány.

Výsledky: FF všech tří svalových skupin byla vyšší u pacientů s DM2 ve srovnání se zdravými kontrolami, přičemž velikost účinku vyjádřená pomocí Hedges' g se pohybovala od 0,68 do 0,89, tedy střední až velký efekt. Hamstringy a adduktory stehna u obou skupin vykazovaly statisticky signifikantně vyšší FF vlevo.

Závěr: Sestavili jsme metodiku kvantitativního hodnocení FF svalů stehna a prokázali jsme vyšší FF u pacientů s DM2 oproti zdravým kontrolám. Předpokládáme, že kvantitativní hodnocení FF bude možno využít v diagnostice neuromuskulárních onemocnění a ke sledování dynamiky onemocnění a účinků léčby.

Podpořeno MZ ČR – RVO (FNBr, 65269705), projektem SV MUNI/A/1728/2025 a projektem ERN EURO-NMD (Project ID N° 870177).

NEUROLOGICKÉ KOMPLIKACE PROTINÁDOROVÉ IMUNOTERAPIE

Š. Divišová

Neuromuskulární centrum ERN, Brno; Neurologická klinika FN Brno

Protinádorová imunoterapie je inovativní a v řadě případů velmi efektivní součástí onkologické léčby. Inhibitory imunitních kontrolních bodů (immune checkpoint inhibitors - ICI) jsou skupinou léčiv, která blokují inhibiční receptory T-lymfocytů, což vede k jejich významné aktivaci. Jedná se zejména o protilátky proti CTLA-4 (cytotoxic T-lymphocyte associated protein 4), receptoru programované buněčné smrti PD-1 (programmed death protein 1) nebo jeho ligandu PD-L1. Tento mechanismus účinku je analogický k rozvoji autoimunitních onemocnění a naopak zcela odlišný od jiných druhů onkologické léčby. Aktivace imunitního systému spojená s imunoterapií je však nespecifická, což vede k celé řadě možných nežádoucích účinků různých orgánových systémů. Neurologické komplikace jsou vzácné, nicméně významné s ohledem na jejich možnou závažnost s rizikem rychlé progresy. Spektrum neurologických komplikací je velmi široké, postihující častěji periferní, méně často centrální nervový systém. Nejčastěji jsou popisovány myositidy a různé formy polyneuropatie (ICI-neuropatie), nejzávažnější mohou být Guillain-Barré syndrom a myastenien. Častý je overlap syndrom myositidy, myastenien a myokarditidy. Z postižení centrálního nervového systému se jedná nejčastěji o aseptické meningitidy či encefalitidy. Klinické aspekty těchto imunitně zprostředkovaných komplikací jsou obdobné jednotkám známým v běžné neurologii, v některých aspektech se mohou lišit. Při léčbě je třeba zastavení ICI terapie a nasazení imunomodulační léčby, nejčastěji kortikoidy. Pokud není dostatečný efekt, je namístě zvážit léčbu IVIG či výměnnou plazmaferézu. Počet onkologických pacientů léčených ICI bude narůstat, s ohledem na rozšiřující se spektrum jejich indikací. Zásadním rozdílem oproti komplikacím ostatní protinádorové léčby je potenciální reverzibilita. Nutný je aktivní přístup k řešení těchto komplikací, s ohledem na prognózu pacienta. Žádoucí je multioborová spolupráce a aktivní komunikace mezi odbornostmi.

LÉZE PERIFERNÍCH NERVŮ V PORODNICTVÍ A GYNEKOLOGII

E. Ehler

Neurologická klinika FZS Univerzity Pardubice a PKN

K poškození periferního nervového systému v porodnictví a gynekologii dochází často. Tyto léze vznikají nejčastěji při operacích, porodech a dalších zákrocích – jsou iatrogenního původu. Typickým traumatickým mechanismem je tlak chirurgických nástrojů při operacích, tlak hlavičky při porod, ale také vzdáleným mechanismem – např. tlak na peroneální nerv při delší operaci. V průběhu fyziologického porodu dochází k dystenzi pánevního dna a s tím je spojeno poškození motorických, senzitivních i autonomních větví n. pudendalis. Následkem jsou nejen bolesti a poruchy hybnosti v oblasti pánve, ale také různě vyjádřená inkontinence moči a stolice. Velké operace v oblasti pánve při léčbě gynekologických malignit jsou zatíženy výraznými riziky výskytem lézí periferních nervů. Vyskytují se při klasickém laparotomickém i při laparoskopickém přístupu. Etiologick to bývá přímé poškození nervu operátérem, zachycení nervu do stehu či tlakem retraktorů. Po radioterapii maligních procesů v oblasti pánve se dosti vzácně může vyvinout postradiační léze lumbosakrálního plexu. Ta mívá v EMG typický obraz a mnohdy i nález myokymii.

Uvádíme náš soubor nemocných s typickým mechanismem vzniku, EMG nálezy i vyšetření n. pudendalis.

NEUROMUSKULÁRNE KOMPLIKÁCIE LIEČBY INHIBÍTORMI IMUNITNÝCH KONTROLNÝCH BODOV

G. Hajaš

Neurologická klinika FSVaZ UKF a FN Nitra

Úvod: Aktivácia imunitného systému cez inhibítory kontrolných imunitných bodov (immune checkpoint inhibitors-ICI) je účinná antikancerózna terapia, ktorá spôsobila v poslednom desaťročí revolúciu v onkologickej praxi. Medzi najviac používané patria cytotoxický proteín 4 asociovaný s T-lymfocytmi (CTLA-4) a proteín programovanej bunkovej smrti 1 (PD-1). Táto liečba sa však spája s celým spektrom imunitne podmienených nežiadúcich účinkov (NÚL).

Prehľad: Myozitída je najčastejšou neuromuskulárnou toxicitou, vyskytuje sa najmä u pacientov s kombinovanou liečbou anti-CTLA4 /anti- PD1. Prejavuje sa vývojom proximálnej končatinovej slabosti, eleváciou svalových enzýmov a myogénnym EMG nálezom. Myositis-špecifické protilátky bývajú často negatívne. Myasténia gravis postihuje približne 0,1-0,2% pacientov liečených ICI. Hoci väčšina ICI-myasténií je anti-AChR pozitívnych, protilátky môžu byť v úvode negatívne. Často sa vyskytuje koexistencia myasténie a myozitídy (riziko vzniku myastenickej krízy). Z neuropatií je najobávanejšou komplikáciou Guillain-Barré syndróm (GBS).

Kazuistika: 71 r. muž, s 5-mesačnou anamnézou dg. uroteliálneho CA I. obličky, po ureteronefrektómii, zahájil v 09/2025 onkologickú liečbu kombináciou dvoch ICI (enfortumab+pemtralizumab). Po druhej dávke u pacienta začala progredovať svalová slabosť DK, zhoršila sa chôdza a stabilita, pribudli parestézie končatín. Bol prijatý s obrazom ťažkej chabej paraparézy DK. EMG preukázalo ťažkú, axonálnu-demyelinizačnú léziu nervov HK a DK. Suponovali sme akútne demyelin. zmeny na pozadí staršej axonopatie. Likvor poukazoval na proteinocytologickú disociáciu. Pre podozrenie na vývoj GBS sme podali IVIG v dávke 2g/kg, došlo k postupnému zlepšeniu motoriky, svalovej sily a chôdze. Pozastavila sa liečba ICI.

Diskusia: Diagnostika ICI-komplikácií je náročná, dôležité je podrobné klinické vyš. a pomocné vyšetrenia (EMG, likvor, sérológia, MR nervov a svalov, biopsia svalu). Pri závažnejších klinických priebehoch je potrebná imunomodulačná liečba a ukončenie liečby ICI. Kortikosteroidy sú u väčšiny stavov prvou voľbou (s výnimkou GBS), v závažných prípadoch GBS, CIDP či myastenickej krízy je indikované podanie IVIG, plazmaferéza, či použitie monoklonálnych protilátok (rituximab, infliximab).

Záver: Moderná ICI terapia onkologických ochorení môže spôsobiť rôzne typy nežiaducich udalostí vrátane neuromuskulárnych porúch. Multidisciplinárny prístup a zdieľanie odborných znalostí viacerých špecializácií je kľúčový pre diagnostiku a ich správny manažment.

KEĎ TO NIE JE MYASTÉZIA – DIAGNOSTICKÉ PITFALLS

L. Gurčík

Neurologické oddelenie Nemocnice Agel Levoča a.s.

Úvod: Práca je venovaná diferenciálnej diagnostike jedného z hlavných príznakov pri myasténii gravis - ptózy. Ptóza je definovaná ako pokles horného viečka pod normálnu úroveň v dôsledku poruchy mechanizmov zabezpečujúcich jeho eleváciu. Ide o dôležitý príznak v diferenciálnej diagnostike neuromuskulárnych alebo systémových ochorení.

Metodika: Z etiologického hľadiska je ptóza rozdelená na myogénnu, neurogénnu, aponeuritickú, mechanickú a pseudoptózu. V anamnéze predstavujú dôležité informácie rýchlosť vzniku, fluktuácia klinického obrazu, prítomnosť poruchy okulomotoriky, zrenicových porúch, bolestivosti očných bulbov, prítomnosť systémových príznakov ako je dysfágia alebo slabosť proximálnych svalov. Významnú úlohu v diagnostike zohráva vyšetrenie MRD1 (margin-reflex distance1) štrbinovou lampou, pričom norma je 4-5mm. Pokles o 2mm predstavuje ptózu miernu, o 3mm stredne závažnú a o 4mm a viac závažnú. Prednáška rozoberá rozdiely medzi ptózou pri myasténii gravis, okulofaryngeálnej svalovej dystrofii, kongenitálnych myastenických syndrómoch, chronickej progresívnej externej oftalmoplégii, lézii n. oculomotorius, ale aj pri ďalších ochoreniach. Venuje sa asociovaným príznakom pri jednotlivých ochoreniach, diagnostickým testom a okrajovo aj terapeutickým možnostiam.

Záver: Prezentácia by mala byť určitou pomôckou pre klinikov, aby sa nerealizovali extenzívne vyšetrenia pri jasnom klinickom obraze ochorenia.

PROFILE OF CZECH AND SLOVAK PAEDIATRIC SMA PATIENTS AT THE TIME OF INTRODUCTION OF THE FIRST DISEASE MODIFYING THERAPY ALIGNS WITH INTERNATIONAL REAL-WORLD EVIDENCE

Z. Kočíl, L. Sobíšek¹, B. Marešová¹, J. Haberlová²

¹Novartis, s.r.o, Na Pankráci, Prague 4, Czech Republic

²Neuromuscular Center of the Paediatric Neurology Department, 2nd Faculty of Medicine, Charles University and Motol University Hospital, Prague

Introduction: Spinal muscular atrophy (SMA) has rapidly evolved with the arrival of diseasemodifying therapies (DMTs), yet local practice at their introduction has not been described for Czech (CZ) and Slovak (SK) patients. This study characterizes demographic and baseline clinical profiles of paediatric SMA patients in CZ and SK before and after the first DMT became available.

Methods: This retrospective, noninterventional study (SUKL1) analysed CZ and SK data from the REaDYSMA registry² (cutoff March 2025). Descriptive analyses were performed by an external partner (IBA).

Results: Of 242 registered patients, 213 met criteria (155 CZ; 58 SK) with balanced gender distribution. Mean age at diagnosis was 23.4 months (CZ) and 26.5 months (SK), consistently delayed from symptom onset, increasing from SMA I to SMA III. SMA I predominated in SK, while CZ showed similar SMA I/II proportions. Following DMT introduction in 2017, age at diagnosis, diagnostic delay, weight at diagnosis and symptomtodiagnosis intervals declined markedly. Newborn screening (CZ 2022; SK 2024) further improved presymptomatic detection; post2017, 33% (CZ) and 25% (SK) were screened. SMN2 distribution differed, with CZ dominated by 3copy patients and SK showing a near 2/3copy balance. Clinical measures (weight, motor milestones, feeding, ventilation, function) showed a clear severity gradient: presymptomatic > SMA III > SMA II > SMA I, the latter carrying the greatest burden. SMA II showed the widest weight variability, likely linked to challenges in nutritional management.

Discussion & Conclusion: In line with international registries^{3,4,5}, early treatment availability shortened diagnostic timelines and aligned baseline characteristics with expected SMA severity patterns. Regional differences in SMN2 distribution and registry limitations (missing data, underreporting) must be acknowledged. Overall, REaDY results support global evidence and provide valuable regionspecific insights from CZ and SK.

Literature:

- 1 SUKL. Informace o studii se SÚKL ID 2412130001. <https://procedures.sukl.cz/modules/nps/index.php?h=study&a=detail&id=1578> (accessed Feb 18, 2026). [<https://sukl.gov.cz/en/>].
- 2 REaDY. REgistry of muscular Dystrophies. <https://ready.registry.cz/index-en.php>. (accessed Feb 18, 2026).
- 3 Schwartz O, Vill K, Pfaffenlehner M, et al. Clinical effectiveness of newborn screening for spinal muscular atrophy: a nonrandomized controlled trial. *JAMA Pediatrics*. 2024;178(6):540547. doi:10.1001/jamapediatrics.2024.0492.
- 4 Servais L, Day JW, De Vivo DC, Kirschner J, Mercuri E, Muntoni F, et al. Realworld outcomes in patients with spinal muscular atrophy treated with onasemnogene abeparvovec monotherapy: findings from the RESTORE registry. *J Neuromuscul Dis*. 2024. doi:10.3233/JND230122 [europepmc.org].
- 5 TREATNMD. SMA — Core Dataset (V2) and implementation resources. <https://www.treat-nmd.org/what-we-do/core-datasets/sma/> (accessed Feb 12, 2026). [treat-nmd.org].

Acknowledgement. We sincerely thank all data contributors to the registry ReaDY. This study was supported by Novartis, s.r.o., Prague, Czech Republic. Copyright © 2025 Novartis Pharma AG, Switzerland. All rights reserved. All data provided were anonymized to protect the privacy of patients in accordance with applicable laws and regulations.

VYUŽITÍ MULTIMODÁLNÍHO MR ZOBRAZOVÁNÍ U NEUROMUSKULÁRNÍCH CHOROB

V. Kokošová^{1,2}, M. Dostál^{2,3}, B. Adamová^{1,2}

¹ Neurologická klinika FN Brno, Neuromuskulární centrum ERN

² Lékařská fakulta Masarykovy univerzity Brno

³ Klinika radiologie a nukleární medicíny FN Brno

Cílem této přednášky je poskytnout přehled o možnostech využití multimodálního MR zobrazování u neuromuskulárních onemocnění. Multimodální MR zobrazování je aktuálně se rychle rozvíjející oblast, a to zejména díky její neinvazivnosti a možnosti sledovat strukturální změny různých tkání. A to jak změn v rámci přirozeného stárnutí, tak změn způsobených onemocněním. Na poli neuromuskulárních onemocnění se aktuálně objevuje řada nových terapeutických možností a s tím potřeba objektivizace efektu terapie a stanovení biomarkerů svalového poškození. Zde se jeví multimodální MR zobrazování svalů jako vhodná metoda. Z kvantitativních MR parametrů je nejčastěji a nejkonzistentněji vyhodnocovaná tuková frakce za použití MR sekvencí s Dixon rekonstrukcí. Kromě tukové přestavby lze pomocí MR hodnotit i akutní svalové poškození, které vede k edému svalové tkáně. Zde se s výhodou využívají sekvence s potlačením tuku (STIR) a měření T2 relaxačních časů. Dále lze detekovat změny svalových vláken na mikrostrukturální úrovni za pomoci difuzně vážených sekvencí (DWI). Současnou výzvou na poli MR zobrazování je spolehlivé zobrazení fibrotické tkáně jako výsledku chronického poškození svalové tkáně. Aktuálně používané metody jsou sekvence s ultrakrátkými echo časy (UTE) nebo metody založené na posunu magnetizace (magnetization transfer), nicméně jejich zařazení do zobrazovacích protokolů je technicky náročné a navíc je jejich výtěžnost nejistá. Kromě zobrazování svalů má MR své využití u zobrazování periferních nervů, např. za využití MR neurografie.

V souhrnu představuje multimodální MR zobrazování významnou metodu při hodnocení jak poškození svalů, tak periferních nervů. Při výběru a sestavování vyšetřovacích protokolů je ale nutno brát v úvahu jejich limitace.

Podpořeno MZ ČR – RVO (FNBr, 65269705), projektem SV MUNI/A/1728/2025 a projektem ERN EURO-NMD (Project ID N° 870177).

GENETICKÉ A KLINICKÉ SPEKTRUM ČESKÝCH PACIENTŮ S VARIANTAMI V GENU SCN4A

J. Kopčilová^{1,2}, J. Zídková¹, T. Kramářová¹, L. Fajkusová^{1,2}

¹Centrum molekulární biologie a genetiky, Fakultní nemocnice Brno, Brno

²Národní centrum pro výzkum biomolekul, Přírodovědecká fakulta, Masarykova univerzita, Brno

Úvod: Gen SCN4A kóduje α -podjednotku napětově řízeného sodíkového kanálu Nav1.4 v přičně pruhované svalovině, který je nezbytný pro iniciaci a šíření akčních potenciálů ve svalových vláknech. Patogenní varianty v genu SCN4A jsou spojeny se širokým spektrem svalových kanálopatí, které jsou způsobeny buď mechanismem zvýšení funkce (gain-of-function, GoF), nebo snížení funkce (loss-of-function, LoF). Varianty typu GoF jsou příčinou nedystrofických myotonii a periodických paralýz, obvykle s autozomálně dominantním typem dědičnosti. Naproti tomu varianty typu LoF, které jsou v posledních letech popisovány stále častěji, jsou spojeny s fenotypově různorodými kongenitálními myopatiemi a myastenickými syndromy, většinou s autozomálně recesivním typem dědičnosti.

Metodika: Sekvenování pomocí cíleného panelu genů a/nebo sekvenování celého exomu; bioinformatická analýza zaměřená na detekci malých genových variant i velkých delecí a duplikací.

Výsledky: Představujeme genetické a klinické spektrum českých pacientů s kauzálními variantami v genu SCN4A. V našem souboru 47 pacientů jsme identifikovali 25 různých variant, z nichž 5 je dosud nepopsaných a 5 udávaných jako varianty nejasného významu.

Diskuze: Porovnáváme fenotypy pacientů s lokalizací variant v proteinu a jejich předpokládaným funkčním dopadem na základě in silico analýz a dostupné literatury. Podrobněji se zaměříme na tři případy autozomálně recesivní dědičnosti: dva pacienty se závažnou kongenitální myopatií s artoaryropózou a jednoho pacienta s kongenitální myopatií s fenotypem podobným FSHD a známkami myotonie.

Závěr: Naše výsledky ukazují širokou genetickou i fenotypovou heterogenitu onemocnění souvisejících s genem SCN4A, což ztěžuje jejich diagnostiku i interpretaci a zdůrazňuje význam pečlivé korelace mezi genotypem a fenotypem.

KRANIÁLNE NEURALGIE

E. Kurča

Neurologická klinika Jesseniovej LF a UN, Martin

Najznámejšou kraniálnou neuralgiou a jednou zo základných neurologických diagnóz s klinickým obrazom bolesti v oblasti hlavy je neuralgia n. trigeminus. Medzinárodná klasifikácia orofaciálnej bolesti (ICOP 2020) uvádza iba dve kraniálne neuralgie: n. trigeminus a n. glossopharyngeus. Naproti tomu Medzinárodná klasifikácia bolestí hlavy (ICHD3 2023) uvádza štyri základné kraniálne neuralgie (n. trigeminus, n. glossopharyngeus, n. intermedius a nn. occipitales) a ďalších šesť osobitných typov postihnutí kraniálnych nervov spojených s neuropatickou bolesťou. Veľmi zriedkavé kraniálne neuralgie predstavujú možné vysvetlenie v niektorých prípadoch netypických bolestí hlavy. V prednáške je komplexný rozbor väčšiny (skôr všetkých) dodnes opísaných kraniálnych neuralgií z pohľadu anatomického, patofyziologického, klinického, diagnostického aj terapeutického.

DISTÁLNE MYOPATIE AKO DIAGNOSTICKÁ VÝZVA – TRI RARITNÉ PRÍPADY Z NEUROMUSKULÁRNEHO CENTRA

I. Martinka¹, P. Jungová², A. Hergottová¹, F. Cibulčík¹, P. Špalek¹

¹ Centrum pre neuromuskulárne ochorenia, Neurologická klinika, Univerzitná nemocnica Bratislava, Lekárska fakulta, Slovenská zdravotnícka univerzita

² Ústav lekárskej biológie, genetiky a klinickej genetiky, Univerzitná nemocnica Bratislava, Lekárska fakulta, Univerzita Komenského

Úvod: Distálne myopatie sú zriedkavé hereditárne myopatie predstavujúce diagnostickú výzvu. V úvode ochorenia sú často mylne diagnostikované ako hereditárne polyneuropatie. Prezentujeme tri prípady distálnych myopatií.

Prípad 1: 41-ročná žena s progresívnou svalovou slabosťou od roku 2006, v úvode nebola schopná postaviť sa na špičky. Hladina CK dosahovala 300 µkat/L. Stav bol diagnostikovaný ako subakútna polymyozitída, bola liečená viacerými imunopresívnymi liekmi. Pre neefektivitu imunoterapie bolo indikované molekulárno-genetické vyšetrenie. Boli zistené dva varianty v géne DYSF v heterozygotnom stave: c.3022G>C a c.3118C>T. Tieto varianty považujeme za kauzálne a zodpovedajúce diagnóze Miyoshiho myopatie.

Prípad 2: 63-ročný muž s dlhodobým, postupne sa zhoršujúcim priebehom ochorenia. V mladom dospelom veku sa objavila slabosť svalov ramenného pletenca. Neskôr došlo k výraznej progresii – pridala sa slabosť distálnych a neskôr aj pletencových svalov dolných končatín. Molekulárno-genetické vyšetrenie odhalilo patogénny variant c.1165G>C v géne SQSTM1 spolu s polymorfizmom c.1070A>G v géne TIA1. Táto kombinácia nálezov bola popísaná ako príčinná pre Welanderovu distálnu myopatiu.

Prípad 3: 60-ročná pacientka s niekoľkoročnou anamnézou distálnej slabosti dolných končatín. Zistená bola mierna elevácia CK (5,97 µkat/L). Ihlová EMG preukázala myogénny nález. Molekulárno-genetické vyšetrenie identifikovalo patogénny variant c.2608C>T v géne MYH7, ktorý je zodpovedný za fenotyp pacientky – Laingovu distálnu myopatiu.

Záver: Dlhý interval medzi nástupom symptómov a stanovením správnej diagnózy pri distálnych myopatiách je často spôsobený počiatočnými diagnostickými ťažkosťami.

Literatúra:

1. Felice KJ. Distal Myopathies. *Neurol Clin.* 2020;38(3):637-65;
2. Savarese M et al. Panorama of the distal myopathies. *Acta Myol.* 2020;39(4):245-265
3. Moore U et al. Miyoshi myopathy and limb girdle muscular dystrophy R2 are the same disease. *Neuromuscul Disord.* 2021;31(4):265-280

SOUČASNÉ MOŽNOSTI LÉČBY HEREDITÁRNÍCH NEUROPATIÍ

R. Mazanec

Neuromuskulární centrum 2.LF UK a FN Motol a Homolka, Praha

Hereditární neuropatie představují heterogenní skupinu geneticky podmíněných onemocnění periferního nervového systému, zahrnující zejména hereditární motorické a senzitivní neuropatie (CMT), hereditární senzitivní a autonomní neuropatie (HSAN) a další vzácné formy. Navzdory pokroku v molekulární diagnostice zůstává léčba převážně symptomatická, zaměřená na zmírnění klinických projevů, prevenci komplikací a zlepšení kvality života. Standardem péče je multidisciplinární přístup zahrnující fyzioterapii, ergoterapii, ortotické pomůcky, léčbu neuropatické bolesti a management muskuloskeletálních komplikací. U HSAN je klíčová prevence poranění, léčba ulcerací a podpora autonomních funkcí. V posledních letech se intenzivně rozvíjí výzkum cílených terapií, včetně genové a RNAzaložené léčby, modulace proteinové homeostázy a ovlivnění metabolických drah, které jsou specifické pro jednotlivé genetické subtypy. Některé experimentální přístupy (např. antisense oligonukleotidy, genová editace, modulatory myelinu) vykazují slibné preklinické výsledky, avšak žádná kauzální terapie zatím není klinicky dostupná. Pokračující rozvoj genetických technologií a hlubší porozumění patofyziologii jednotlivých forem hereditárních neuropatií představují zásadní krok k budoucím personalizovaným léčebným strategiím.

SVALOVÉ DYSTROFIE NA PRAHU NOVÉ ÉRY: OD SYMPTOMATICKÉ PÉČE K TERAPIÍM CÍLENÝM NA MECHANISMUS ONEMOCNĚNÍ

L. Mensová

Neurologická klinika 2. LF UK a FN Motol, Praha

Úvod: Symptomatická léčba zůstává základním pilířem péče o pacienty se svalovými dystrofiemi a zásadně ovlivňuje kvalitu i délku života. Současně dochází k rychlému rozvoji terapií cílených na molekulární mechanismy těchto onemocnění. Přístupy, které byly donedávna považovány za experimentální, dnes vstupují do pozdních fází klinického vývoje.

Metodika: Přehledové sdělení shrnuje současné možnosti symptomatické léčby a představuje nové principy kauzální a disease-modifying terapie relevantní pro dospělou neurologickou praxi.

Výsledky: Symptomatická léčba zahrnuje terapii myotonie, screening a léčbu kardiálních a respiračních komplikací, rehabilitaci a multidisciplinární sledování pacientů. Objevují se strategie cílené na patofyziologické mechanismy onemocnění: přístupy zaměřené na toxickou RNA u myotonické dystrofie typu 1 a facioskapulohumerální svalové dystrofie, genová terapie u vybraných pletencových svalových dystrofií a přístupy obnovující narušené metabolické dráhy, např. substrate-augmentation u FKRP-asociované dystrofie či enzymová substituce u Pompeho nemoci.

Diskuse: Tyto strategie představují posun od symptomatické péče k terapiím zaměřeným na mechanismus onemocnění. Přestože jejich indikace bude soustředěna do specializovaných center, mají význam i pro ambulantní neurologickou praxi – zejména z hlediska časné diagnostiky a odeslání pacientů do center.

Závěr: Terapeutické možnosti se rychle rozšiřují a pacienti jsou dnes nejbližší kauzální terapii v historii těchto onemocnění. To zdůrazňuje význam časné diagnostiky a spolupráce mezi ambulantními neurology a specializovanými centry.

Literatura: Mercuri E et al., Lancet Neurology 2023, Tawil R et al., Neurology 2023, Mendell JR et al., NEJM 2020

DIAGNOSTICKÁ VÝZVA U PACIENTA S KARDIÁLNÍM POSTIŽENÍM, CHRONICKOU HYPERCKÉMIÍ A NEUROPATIÍ: INTERAKTIVNÍ KAZUISTIKA

O. Parmová

Neurologická klinika, Fakultní nemocnice Brno

Úvod: U vzácných multisystémových onemocnění bývá diagnóza významně opožděna, zejména pokud se jednotlivé projevy vyvíjejí postupně a jsou dlouhodobě posuzovány izolovaně v různých odbornostech. Cílem sdělení je prezentovat kazuiistiku pacienta se souborem neurologických, kardiálních a laboratorních abnormalit, u něhož vedlo stanovení správné diagnózy k zásadní úpravě dalšího managementu.

Metodika: Diagnostický proces zahrnoval neurologické a neuropsychologické vyšetření, elektromyografii, dále soubor zobrazovacích, laboratorních a genetických vyšetření.

Výsledky: Muž byl odeslán k neurologickému vyšetření pro dlouhodobou elevaci svalových enzymů. V anamnéze dominovalo závažné kardiální postižení s náhradou aortální chlopně a implantací ICD pro komorovou arytmií. Objektivní neurologické vyšetření prokázalo kombinaci známek periferního neurogenního postižení a mírné proximální slabosti, dále lehkou dysartrii a psychomotorický neklid. Soubor provedených vyšetření vedl k odhalení vzácného multisystémového onemocnění.

Závěr: Kazuistika podtrhuje složitost interpretace multisystémových onemocnění, obzvláště pokud dominuje postižení jednoho orgánového systému. Integrace nálezů napříč obory je klíčová, protože včasné rozpoznání může zásadně ovlivnit další management, prognózu i preventivní opatření.

DETEKCIA FASCIKULÁCIÍ U PACIENTOV S PODOZRENÍM NA ALS POMOCOU SVALOVEJ ULTRASONOGRAFIE

J. Petrišin, M. Turčanová Koprušáková, K. Šveda, E. Kurča
Univerzitná nemocnica Martin, Neurologická klinika JLF UK a UNM, Slovensko

Úvod: Amyotrofická laterálna skleróza je rýchlo progredujúce neurodegeneratívne ochorenie prebiehajúce pod obrazom syndrómu zmiešanej parézy v dôsledku degenerácie centrálného a periférneho motoneurónu. Diagnostické kritériá prešli viacerými revíziami, pričom už Awaji kritéria z roku 2008 zvýraznili význam fascikulácií ako dôkazu lézie dolného motoneurónu a najnovšia aktualizácia Gold Coast z roku 2020 toto postavenie ešte podčiarkla a otvára priestor pre ich využitie ako potenciálneho včasného biomarkeru. V posledných rokoch stúpa počet prác vyzdvihujúci benefit svalovej ultrasonografie na detekciu fascikulácií vzhľadom na jej neinvazívnosť, časovú a technickú nenáročnosť a pomerne vysokú senzitivitu.

Metodika: U pacientov v roku 2025 odoslaných do nášho centra s podozrením na ochorenie ALS sme aplikovali ultrazvukový skriningový protokol pozostávajúci z deviatich vyšetrovaných svalov.

Výsledky: U pacientov spĺňajúcich klinické a elektrofyziologické diagnostické kritéria pre ALS boli fascikulácie zachytené vo viacerých svaloch v porovnaní s ALS mimics (7,45 pozitívnych svalov, 82,7% vs. 1,17 svalu, 17,98%).

Diskusia: Nami dosiahnuté ultrasonografické výsledky sú v pozitívnej korelácii s doteraz verejne publikovanými dátami.

Záver: Svalová ultrasonografia je efektívne využiteľná metóda v diferenciálnej diagnostike ALS a ALS mimics.

MYOSITIDA?

P. Potužník, V. Matoušek
Neurologická klinika, Fakultní nemocnice Plzeň a Lékařská fakulta v Plzni,
Univerzita Karlova

Formou videokazuistiky prezentujeme prípad 70-leté pacientky se Sjögrenovým syndromem a kortikodependentními myopatickými projevy.

PREVALENCE KARDIÁLNÍ AUTONOMNÍ NEUROPATIE U VYBRANÝCH DĚDIČNÝCH NEUROPATIÍ

K. Prášil, V. Potočková, T. Nedělka, A. Prášilová, R. Mazanec
Neurologická klinika 2.LF UK a FN Motol a Homolka, Praha

Úvod: Kardiální autonomní neuropatie je dobře známou komplikací diabetes mellitus, u dědičných neuropatií však její prevalence nebyla dosud systematicky studována. Cílem práce bylo zhodnotit přítomnost subklinické poruchy kardiální autonomní regulace u geneticky definovaných hereditárních neuropatií.

Metodika: Do průřezové studie bylo zařazeno 70 pacientů s dědičnými neuropatiemi (CMT1A n = 35, CMTX1 n = 24, HSAN1 n = 7, SORD n = 4) a 62 zdravých kontrol. U všech subjektů bylo provedeno standardizované vyšetření kardiiovaskulárních autonomních reflexních testů a analýza variability srdečního rytmu v časové i frekvenční doméně.

Výsledky: Prokázali jsme zvýšený podíl abnormálních nálezů zejména u parasympaticky zprostředkovaných ukazatelů. Nejvýraznější odchylky byly zaznamenány u pacientů s CMT1A a CMTX1, zatímco u HSAN1 a SORD byla interpretace limitována malým počtem pacientů.

Diskuze: Výsledky naznačují přítomnost subklinické dysregulace autonomního nervového systému u dědičných neuropatií, převážně v parasympatické složce. Kombinace kardiiovaskulárních reflexních testů a analýzy variability srdečního rytmu se jeví jako citlivý nástroj k detekci časných změn autonomní regulace.

Závěr: U pacientů s vybranými hereditárními neuropatiemi lze prokázat známky subklinické kardiální autonomní dysfunkce. Parasympaticky orientované testy a analýza variability srdečního rytmu umožňují její citlivý záchyt ve srovnání se zdravou populací.

Literatura: Ziegler D, Laux G, Dannehl K et al. Diabet Med 1992; 9(2): 166–175, Opavský J. Česko-slov Neurologie N 2018; 81: 625–644., Task Force of the European Society of Cardiology and the North American Society of Pacing and Electrophysiology. Circulation 1996; 93(5): 1043–1065.

DIFERENCIÁLNÍ DIAGNOSTIKA PARÉZ ABDOMINÁLNÍCH SVALŮ: PŘEHLED KAZUISTIK

A. Sabovčík¹, M. Židó¹, P. Vaško¹, I. Štětkářová¹

¹ Neurologická klinika Fakultní nemocnice Královské Vinohrady a 3. lékařské fakulty Univerzity Karlovy, Praha, Česká republika

Úvod: Paréza abdominálních svalů představuje relativně vzácný symptom s heterogenní etiologií. Může být projevem radikulárního postižení v hrudní etáži páteře, neuropatie kterékoliv etiologie, iatrogenního či traumatického poškození centrální či periferní nervové soustavy.

Cílem práce je na základě vybraných kazuistik upozornit na nutnost široké diferenciální diagnostiky paréz abdominálních svalů a zdůraznit význam komplexního neurologického, likvorologického i elektrofyziologického vyšetření.

Metodika: Údaje o pacientech byly retrospektivně extrahovány a anonymizovány z databáze Neurologické kliniky FNKV a 3. LF UK.

Výsledky: První kazuistika popisuje pacienta s parézou abdominálních svalů v myotomu Th11 vpravo, chirurgem iniciálně interpretována jako břišní hernie. Magnetická rezonance následně prokázala foraminální stenózu Th11 s kompresí nervového kořene. Při konzervativní terapii a rehabilitaci došlo k regresi obtíží.

Druhá kazuistika popisuje pacienta s polymorfními obtížemi v návaznosti na vakcinaci a parézou břišních svalů při radikulopatii Th6-8. EMG vyšetření prokázalo axonálně-demyelinizační polyneuropatii. Vyšetření likvoru potvrdilo proteinocytologickou disociaci a pozitivitu antiGM2. Na základě všech dostupných výsledků byla zvažována diagnóza CIDP. Terapie IVIG s efektem.

Třetí kazuistika popisuje pacientku, která byla vyšetřována pro dysestezie a parézu laterální skupiny abdominálních svalů v rozsahu Th7–Th12. EMG vyšetření potvrdilo oboustrannou radikulopatii Th10–12, vyšetření likvoru prokázalo serózní zánět s následnou pozitivitou protilátek odpovídajících neuroborelióze. Po antibiotické terapii došlo k úplné regresi symptomů.

Diskuze: Paréza abdominálních svalů může imitovat interní či chirurgické onemocnění, proto v případě atypických bolestí břicha či pseudohernie by pacienti měli absolvovat vyšetření neurologem. V případě nálezu parézy břišních svalů by měla diagnostika zahrnovat EMG a vyšetření likvoru, případně i zobrazovací vyšetření.

Závěr: Prezentované kazuistiky poukazují, že u parézy abdominálních svalů je nutná široká diferenciální diagnostika a důsledné detailní vyšetření pacienta. Včasná diagnostika a mezioborová spolupráce jsou klíčové pro promptní a adekvátní terapii.

AKVIROVANÁ NEUROMYOTÓNIA - IMUNOPATOGENÉZA A NAŠE SKÚSENOSTI S JEJ DIAGNOSTIKOU A LIEČBOU

P. Špalek¹, F. Cibulčík¹, I. Martinka¹, Ľ.K. Hart², A. Vincent²

¹Národné expertízne centrum pre zriedkavé neuromuskulárne ochorenia, Neurologická klinika SZU a UNB, Nemocnica Ružinov, Bratislava, SR

²Institute of Molecular Medicine, Neuroscience Group, John Radcliffe Hospital, Oxford, UK

Akvirovaná neuromyotónia (ANMT) je vzácne ochorenie, jej incidencia a prevalencia nie sú známe. ANMT má autoimunitnú etiopatogenézu s autoprotilátkami proti napäťovo-závislým káliovým kanálom (VGKC) na presynaptických zakončeníach motorických vlákien. Strata káliových kanálov vedie k prolongovanej depolarizácii, k prolongovanému otvoreniu kalciových kanálov a k nadmernému uvoľňovaniu acetylcholínu z presynaptických zakončení, čo sa manifestuje klinickými príznakmi ANMT - myokymie, svalová stuhlosť, svalové kŕče, pseudomyotónia a hyperhidróza. V úvodnej fáze sa ťažkosti, najmä svalová stuhlosť a svalové kŕče, objavujú len pri fyzickej záťaži. U rozvinutej formy ANMT sú stuhlosť trupového a končatinového svalstva, myokymie a svalové kŕče prítomné aj v klúde. Intenzita ťažkostí sa postupne zväčšuje a môže pacientov zneschopňovať.

Akvirovanú NMT sme diagnostikovali u troch pacientov. Definitívna diagnóza bola potvrdená na základe klinických diagnostických kritérií, EMG diagnostických kritérií a imunodiagnostických kritérií. Ihlovou EMG sa zistili spontánne výboje motorických jednotiek (duplety, triplety, multiplety) a neuromyotonické výboje s frekvenciou od 150 do 300 Hz. Všetci traja pacienti mali pozitívne titre autoprotilátok proti VGKC, proti CASPR2, LGI1 - proteínom komplexu VGKC, diagnostikované v Institute of Molecular Medicine, Oxford. ANMT má u neliečených pacientov progresívny priebeh, viacerých pacientov zneschopňuje. Včasná klinická, EMG, imunologická diagnostika a následná imunoterapia (plazmaferéza a dlhodobá kombinovaná imunosupresívna liečba prednizónom a azatioprínom/cyklofosamidom) sú rozhodujúce pre výrazné zlepšenie, dosiahnutie klinickej remisie a pre trvalú priaznivú prognózu ANMT. IVIG nemá žiadny významný terapeutický vplyv na klinické príznaky akvirovanej NMT.

KOMPLEXNÍ REGIONÁLNÍ BOLESTIVÝ SYNDROM PO SEBEPOŠKOZENÍ – KAZUISTIKA

I. Šrotová^{1,2}, K. Rouchalová³, P. Hanáková⁴

¹Neurologická klinika FN Brno a LF MU

²Masarykova Univerzita

³DíkyTerapii sro

⁴Klinika Dětské neurologie FN Brno a LF MU

Sebepoškozování představuje v posledních letech narůstající zdravotní i psychosociální problém, zejména u adolescentů a mladých dospělých. Nejčastější formou je povrchové řezání kůže, typicky na předloktí. Ačkoliv je toto chování obvykle vnímáno především jako psychiatrický či psychologický problém, může vést i k závažným somatickým komplikacím. Jednou z nich je rozvoj komplexního regionálního bolestivého syndromu (CRPS), který může vzniknout i po relativně drobném poranění periferních tkání nebo nervů.

Popisujeme případ dvacetileté ženy bez významné neurologické anamnézy, která byla vyšetřena pro přetrvávající bolest a otok pravého předloktí a ruky. Pacientka několik týdnů před vznikem obtíží provedla opakované povrchové řezy na volární straně předloktí v rámci epizody sebepoškozujícího chování. Rány byly ošetřeny ambulantně bez známek infekce. V následujících týdnech se však postupně rozvinula výrazná pálivá bolest, hypersenzitivita k dotyku, otok a omezení hybnosti ruky. Klinický obraz doplňovala změna kožní teploty a barevnosti. Na základě klinických kritérií byl vysloven závěr komplexního regionálního bolestivého syndromu.

Pacientka byla léčena kombinací farmakoterapie, rehabilitační léčby a psychologické podpory. Současně byla indikována psychiatrická péče zaměřená na řešení sebepoškozujícího chování. Postupně došlo k částečnému zmírnění bolesti a zlepšení funkce končetiny.

Tato kazuistika upozorňuje na skutečnost, že sebepoškozování může být spojeno nejen s psychickými, ale i s významnými somatickými komplikacemi. Péče o tyto pacienty by proto měla být multidisciplinární a zahrnovat spolupráci neurologa, psychiatra, psychologa, specialisty na léčbu bolesti a rehabilitačního lékaře. Včasná diagnostika a komplexní přístup mohou významně zlepšit prognózu i kvalitu života těchto pacientů.

PARAPROTEINÉMIA ASOCIOVANÁ POLYNEUROPATIA: DIAGNOSTICKÉ A TERAPEUTICKÉ VÝZVY PRI WALDENSTRÖMOVEJ MAKROGLOBULINÉMII – KAZUISTIKA

K. Šveda, J. Petrišin, M. Turčanová Koprušáková, E. Kurča
Neurologická klinika JLF UK a UNM Martin

Úvod: Polyneuropatie predstavujú heterogénnu skupinu ochorení periférneho nervového systému s rôznorodou etiológiou, klinickým priebehom a prognózou. Demyelinizačné polyneuropatie sú často imunitne mediované a vo viacerých prípadoch dobre reagujú na imunomodulačnú liečbu. V klinickej praxi sa však stretávame aj s pacientmi, u ktorých napriek typickému klinickému a elektrofyziologickému obrazu nedochádza k očakávanej terapeutickému odpovedi. V takýchto prípadoch je potrebné rozšíriť diferenciálnu diagnostiku a pátrať po inej novej etiológii. Cieľom práce je prezentovať kazuistiku pacienta s chronicky progredujúcim polyneuropatickým syndrómom demyelinizačného charakteru, ktorý sa v úvode klinicky aj elektrofyziologicky podobal imunitne mediovanej neuropatii, avšak bez efektu štandardnej liečby.

Kazuistika: Prezentujeme prípad 77-ročného pacienta s približne 9-ročnou anamnézou progredujúceho polyneuropatického syndrómu. V klinickom obraze dominoval ťažký senzomotorický polyneuropatický syndróm s akcentáciou na dolných končatinách. V likvore bola prítomná proteinocytologická disociácia. Elektromyografické vyšetrenie preukázalo obraz ťažkej senzomotorickej polyneuropatie demyelinizačného charakteru so sekundárnou axonálnou stratou. Na základe klinického a elektrofyziologického nálezu bol pacient dlhodobo vedený pod diagnózou chronickej zápalovej demyelinizačnej polyneuropatie (CIDP), avšak bez klinického efektu na podávanú imunomodulačnú liečbu. Napriek podávanej liečbe dochádzalo k postupnej progresii neurologického deficitu.

Záver: Kazuistika poukazuje na význam komplexného diagnostického prístupu u pacientov s chronickou demyelinizačnou polyneuropatiou a nedostatočnou odpoveďou na imunomodulačnú liečbu. V takýchto prípadoch je potrebné myslieť aj na paraproteinémiu asociované polyneuropatie vrátane Waldenströmovej makroglobulinémie.

MITOCHONDRIÁLNA DYSFUNKCIA U PACIENTOV S AMYOTROFICKOU LATERÁLNOU SKLERÓZOU: AKTUÁLNE POZNATKY Z RESPIROMETRIE S VYSOKÝM ROZLIŠENÍM – SÚBOR PACIENTOV

M. Turčanová Koprušáková, J. Petrišin, K. Šveda, P. Parvanová, J. Chien,
N. Huňarová, A. Evinová, M. Kolísek, E. Kurča
Neurologická klinika JLF UK a UNM, Kollárova 2, 036 01 Martin
Martinské centrum pre biomedicínu JLF UK, Malá Hora 4D, 036 01 Martin

Úvod: Amyotrofická laterálna skleróza (ALS) je rýchlo progresívne a fatálne neurodegeneratívne ochorenie, ktorého presná patogenéza stále nie je úplne objasnená. V posledných rokoch sa čoraz viac pozornosti venuje úlohe mitochondriálnej dysfunkcie v patofyziológii ochorenia. Mitochondrie zohrávajú kľúčovú úlohu v produkcii bunkovej energie, regulácii metabolizmu, homeostáze vápnika a bunkovej signalizácii. Poruchy mitochondriálnej funkcie môžu viesť k zníženej produkcii ATP, zvýšenej tvorbe reaktívnych foriem kyslíka a oxidačnému stresu, čo môže prispievať k degenerácii motorických neurónov pri ALS. Mitochondriálnu respiráciu sme analyzovali pomocou vysoko-rozlišovacej respirometrie, ktorá predstavuje jednu z najcitlivejších metód na hodnotenie funkčného stavu mitochondrií v živých bunkách.

Metodika: Merania boli realizované pomocou prístroja Oroboros O2k, ktorý umožňuje kontinuálne sledovanie spotreby kyslíka v uzavretých komorách. Na analýzu mitochondriálnej funkcie bol použitý protokol SUIT-003 O₂ ce-pce D020, ktorý je založený na postupnom pridávaní definovaných substrátov, rozpojovačov a inhibítorov. Tento protokol umožňuje detailnú charakterizáciu jednotlivých respiračných stavov mitochondrií. Mitochondriálne respiračné parametre boli analyzované v mononukleárných bunkách izolovaných z čerstvej periférnej krvi 26 pacientov so sporadickou formou ALS (13 žien a 13 mužov; priemerný vek 54 rokov) a porovnané s vekovo a pohlavne zodpovedajúcou kontrolnou skupinou zdravých jedincov (priemerný vek 56 rokov)

Výsledky: U pacientov s ALS sa preukázalo významné zníženie bazálneho mitochondriálneho dýchania o 29,5 %, zníženie respirácie stimulovanej pyruvátom (komplex I) o 29,3 % a pokles maximálnej respiračnej kapacity o 28,2 %. Respirácia stimulovaná sukcinátom (komplex II) bola nižšia o 26,9 % v porovnaní s kontrolnou skupinou.

Záver: Výsledky poukazujú na významné zmeny mitochondriálneho dýchania u pacientov s ALS, najmä na úrovni komplexov I a II dýchacieho reťazca. Tieto zistenia podporujú hypotézu o úlohe mitochondriálnej dysfunkcie v patogenéze ochorenia a poukazujú na potenciál mitochondriálnych parametrov ako biomarkerov pre diagnostiku a vývoj nových terapeutických stratégií.

Kľúčové slová: amyotrofická laterálna skleróza, mitochondrie, mitochondriálna dysfunkcia, komplex I, komplex II, respirometria s vysokým rozlíšením.

NEUROLOGICKÉ KOMPLIKACE LÉČBY CHECKPOINT INHIBITORY – KAZUISTIKY

J. Vejskal, T. Božovský

Neurologická klinika, FN Plzeň; Lékařská fakulta v Plzni, UK Praha

Imunoterapie checkpoint inhibitory, kam řadíme monoklonální protilátky blokující povrchové receptory programmed cell death protein 1 a jeho ligandu (PD1/PDL1) a cytotoxic T-lymphocyte-associated antigen 4 (CTLA4), vede ke stimulaci protinádorové imunitní reakce. Tato léčba již prokázala efektivitu v léčbě řady onkologických onemocnění. Podstatou svého působení však může vést k indukci sekundárních autoimunitních onemocnění, včetně postižení nervového systému. Nejčastěji vidáme takto způsobené onemocnění encefalomyelitidou, myasthenia gravis a zánětlivými neuropatiemi. Tyto autoimmunity se objevují časně po zahájení terapie, vyžadují časnou diagnostiku s včasným zahájením léčby – v první linii vysokodávkované kortikosteroidy, v druhé linii intravenózní imunoglobuliny nebo léčebná plazmaferéza. Dle tíže těchto nežádoucích účinků a efektu léčby se terapie imunitními checkpoint inhibitory ukončuje, nebo se v ní případně pokračuje. V přednášce prezentujeme případy dvou pacientů léčených inhibitorem PD-1. V prvním případě došlo v rámci léčby renálního karcinomu k indukci těžké akutní axonální motoricko-senzitivní polyneuropatie. V druhém případě při léčbě maligního melanomu ke spuštění okulární formy myasthenia gravis v kombinaci se subklinickou myopatií a kardiomyopatií. Oba pacienti byli kortikoresponzivní. Situace si vyžádala v obou případech předčasné ukončení protinádorové imunoterapie, přesto u jednoho pacienta došlo k částečné a u druhého k úplné léčebné odpovědi základního onkologického onemocnění.

FUNKČNÍ VYŠETŘENÍ SVALŮ STEHNA U PACIENTŮ S MYOTONICKOU DYSTROFIÍ 2. TYPU A ZDRAVÝCH KONTROL – PILOTNÍ STUDIE

D. Vlažná^{1,2,3}, B. Adamová^{1,2}, V. Kokošová^{1,2}, M. Sládečková^{1,2,3,4}, K. Matulová², M. Dostál^{2,5}, P. Ovesná⁶

¹ Neurologická klinika FN Brno, Neuromuskulární centrum ERN,

² Lékařská fakulta Masarykovy univerzity Brno,

³ Rehabilitační klinika FN Brno,

⁴ Ústav veřejného zdraví LF MU,

⁵ Klinika radiologie a nukleární medicíny FN Brno,

⁶ Institut biostatistiky a analýz, s.r.o., Brno

Úvod: Posouzení svalové síly je významnou součástí komplexního klinického vyšetření pacientů s neuromuskulárním onemocněním. Slouží k vyjádření motorického stavu, objektivizaci progresu nemoci a sledování efektu léčby. Široce využívaný svalový test je zatížený subjektivitou hodnotícího a malou rozlišovací schopností. V klinické praxi se stále častěji uplatňují i ruční dynamometry pro přesnější objektivizaci svalové síly. Cílem pilotní průřezové studie bylo rozpracovat metodiku funkčního vyšetření svalů stehna pomocí ručního dynamometru.

Metodika: Vyšetřili jsme svalovou sílu obou stehen u 11 pacientů s myotonickou dystrofií II. typu (DM2) a 11 zdravých kontrol (HV), z nichž jsme vytvořili 9 párů, které si byly blízké věkem. K měření jsme využili ruční dynamometr microFet 2 a sledovali jsme sílu pěti svalových skupin stehna. Hodnoty obou skupin byly vzájemně porovnány.

Výsledky: U všech měřených svalových skupin vykazovali pacienti s DM2 signifikantně nižší svalovou sílu než HV, přičemž velikost účinku vyjádřená pomocí Hedge's g se pohybovala nad 1,2, což je považováno za velmi velký efekt. Stranové rozdíly ve funkčních parametrech nebyly v tomto souboru významné.

Závěr: Vytvořili jsme metodiku funkčního vyšetření svalů stehna a prokázali rozdíl ve svalové síle mezi HV a pacienty s DM2. Ruční dynamometrie může do budoucna sloužit k přesnějšímu posouzení funkčního stavu svalů a doplňuje rozvíjející se neinvazivní morfologické vyšetření svalů kvantitativní magnetickou rezonancí.

Podpořeno MZ ČR – RVO (FNBr, 65269705), projektem SV MUNI/A/1728/2025 a projektem ERN EURO-NMD (Project ID N° 870177).

NENÍ GBS JAKO GBS – SOUBOR KAZUISTIK

M. Židó, I. Štětkářová

Neurologická klinika Fakultní nemocnice Královské Vinohrady a 3. lékařské fakulty Univerzity Karlovy

Úvod: Guillainův-Barrého syndrom (GBS) představuje vzácné, avšak dobře známé autoimunitní onemocnění postihující periferní nervový systém na podkladě zkřížené imunitní reakce mezi antigeny patogenu a složkami myelinového obalu periferních nervů. Jedná se o léčitelné onemocnění s relativně příznivou prognózou, které však může být spojeno s trvalými následky nebo mít až letální průběh. Diagnóza GBS je stanovena na základě kombinace klinického obrazu, EMG nálezu a vyšetření mozkomíšního moku. Přestože se může diagnóza GBS na první pohled jevit jako jednoznačná, diferenciálně diagnostické rozpaky nejsou vzácné (1). Cílem této práce je prezentovat čtyři kazuistiky pacientů, jejichž klinický obraz a paraklinická vyšetření primárně imponovaly jako GBS, avšak při podrobnějším a časově delším sledování byla stanovena odlišná diagnóza.

Metodika: Údaje o pacientech byly retrospektivně extrahovány a anonymizovány z databáze Neurologické kliniky FNKV a 3. LF UK.

Výsledky: Kazuistika 1 popisuje pacienta s typickým nálezem AIDP, který byl léčen sérií plazmaferéz následovaných intenzivní rehabilitací s výborným terapeutickým efektem a kompletní regresí obtíží.

Kazuistika 2 prezentuje pacienta s obdobným iniciálním průběhem jako v prvním případě, avšak se signifikantně odlišnou odpovědí na terapii. Léčba měla pouze minimální efekt a následná recidiva obtíží vedla k přehodnocení diagnózy na CIDP s akutním začátkem.

Kazuistika 3 popisuje pacientku s klinickým obrazem a EMG nálezem odpovídajícím AIDP, avšak podrobnější vyšetření likvoru prokázalo neuroboreliozu a klíšťovou encefalitidu. Následně byla zahájena antibiotická terapie s výborným efektem.

Kazuistika 4 uvádí pacienta s nálezem odpovídajícím AMSAN, bez významného efektu iniciální terapie. Další dovyšetření prokázalo generalizovaný karcinom thymu, což vedlo k závěru o paraneoplastické etiologii axonální polyneuropatie.

Závěr: Prezentované kazuistiky poukazují, že i při zdánlivě typickém iniciálním obrazu GBS (klinický a EMG nález v akutní fázi), je nezbytné důsledně diferenciálně diagnostické zhodnocení s doplněním dalších pomocných vyšetřovacích metod (likvor, CT, MR) a další sledování k posouzení vývoje nálezu v čase.

Literatura:

Bellanti R, Rinaldi S. Guillain-Barré syndrome: a comprehensive review. Eur J Neurol. 2024 Aug;31(8):e16365. doi: 10.1111/ene.16365.



Zkrácení doby do stanovení diagnózy u vzácných onemocnění



Věděli jste, že...?



4,5 % populace

trpí vzácným onemocněním

(zdroj: Francouzské ministerstvo zdravotnictví a prevence)

50 % pacientů

nemá přesnou diagnózu

(zdroj: PNMR 3 – Národní plán pro vzácná onemocnění, třetí fáze)

Digitální nástroj pro **předběžnou diagnostiku a diferenciální diagnostiku**, který pomáhá lékařům co **nejdříve identifikovat možné vzácné onemocnění** a urychlit nasměrování pacientů k nejbližšímu **specializovanému centru**.

accelRare® byl vyvinut a ověřen ve spolupráci s **50 odborníky na vzácná onemocnění**.

Máte podezření na vzácné onemocnění u některého ze svých pacientů?

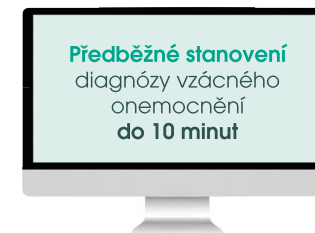
Zadejte následující údaje:

accelRare® nabízí 4 klíčové výstupy, které vám pomohou v diagnostickém procesu:

Příznaky pacienta

Anamnéza

Výsledky vyšetření



- 1 **Seznam** možných vzácných onemocnění
- 2 **Informace** o každém ze zvažovaných onemocnění
- 3 **Doporučená doplňující vyšetření**
- 4 **Specializovaná centra** pro doporučení pacienta

www.accelrare.com

Dostupné zdarma

accelRare® je nástroj pro předběžnou diagnostiku zaměřený na vzácná onemocnění. accelRare® využívá nástroj Medvir, který je certifikován jako zdravotnický prostředek třídy I. Výrobce je společnost Medical Intelligence Service a distributorem Sanofi.

MAT-CZ-2600054-1.0-01/2026
Určeno pro odbornou veřejnost.

Sanofi, s.r.o., Generála Píky 430/26, Dejvice, 160 00 Praha 6.
Tel.: +420 233 086 111, e-mail: cz-info@sanofi.com



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**¹⁺²
- **Nezávislost na permanentní ventilační podpoře až po dobu 9,6 let od podání dávky**¹⁺²
- **Udržení dosažených motorických milníků až po dobu 9,6 let od podání dávky**^{1+5**2}

ZOLGENSMA je indikována k léčbě:¹

- pacientů s 5q spinální muskulární atrofií (SMA) s bíaleickou mutací genu *SMN1* a klinicky stanovenou SMA 1. typu, nebo
- pacientů s 5q SMA a bíaleickou mutací genu *SMN1* a až 3 kopiemi genu *SMN2*.

zolgensma[®]
(onasemnogene
abeprarovovec)

5
let
na trhu¹



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 nežádoucí účinky viz Souhrn údajů o přípravku, bod 4.8.

Zkrácená informace o léčivém přípravku • **Zolgensma** 2 × 10¹³ genomů vektoru/ml infuzní roztok • **Složení:** Jeden ml obsahuje onasemnogen abeparovovec s nominální koncentrací 2 × 10¹³ genomů vektoru (vg). **Indikace:** Přípravek Zolgensma je indikován k léčbě pacientů s 5q spinální muskulární atrofií (SMA) s bíaleickou mutací genu *SMN1* a klinicky stanovenou SMA 1. typu, nebo pacientů s 5q SMA s bíaleickou mutací genu *SMN1* a až 3 kopiemi genu *SMN2*. **Dávkování:** Pouze k jednorázové intravenózní infuzi. Pacienti dostanou dávku v nominální výši 1,1 × 10¹³ vg/kg onasemnogenu abeparovovec. Celkový objem je dán tělesnou hmotností pacienta. **Kontraindikace:** Hypersenzitivita na léčivou látku nebo na kteroukoli pomocnou látku. **Zvláštní upozornění/opatření:** Před infuzí onasemnogenu abeparovovec je třeba provést test na přítomnost protilátek proti AAV9. Pokud bude jejich titer nad 1:50, testování lze opakovat. Zatím není známo, zda a za jakých podmínek lze onasemnogen abeparovovec bezpečně a účinně podávat za přítomnosti protilátek proti AAV9 s titrem nad 1:50. * Během infuze onasemnogenu abeparovovec 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 abeparovovec 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 abeparovovec bylo pozorováno zvýšení hladin srdečního troponinu I. Zvýšené hladiny troponinu I, které jsou pozorovány u některých pacientů, mohou znamenat potenciální poškození tkáně myokardu. Na základě těchto zjištění a pozorované srdeční toxicity u myši mají být hladiny troponinu I sledovány před infuzí onasemnogenu abeparovovec a monitorovány podle klinické indikace. * V souvislosti s podáním onasemnogenu abeparovovec bylo hlášeno několik případů trombotické mikroangiopatie (TMA). Případy se obecně vyskytly během prvních dvou týdnů po infuzi onasemnogenu abeparovovec. TMA je akutní a život ohrožující stav charakterizovaný trombocytopenií a mikroangiopatickou hemolytickou anémií. Byly hlášeny případy s fatálními následky. Současné 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 poradit s odborníkem, včetně diagnostiky hemolytické anémie a renální dysfunkce. Pokud pacienti vykazují klinické známky, příznaky nebo laboratorní nálezy shodné s TMA, je nezbytné poradit s odborníkem, aby byla TMA léčena podle klinické indikace. Pečovateli mají být informováni o známkách a příznacích TMA a mají být poučeni, aby vyhledali neokladnou lékařskou péči, pokud se takové příznaky objeví. Existuje teoretické riziko tumorogenezy v důsledku integrace vektorové DNA AAV do genomu. **Interakce:** Nebyly provedeny žádné studie interakcí. Zkušenosti s používáním onasemnogenu abeparovovec u pacientů užívajících hepatotoxické léčivé přípravky nebo hepatotoxické látky jsou omezené. Bezpečnost onasemnogenu abeparovovec u těchto pacientů nebyla dosud stanovena. Zkušenosti se souběžným podáváním přípravků cílených na 5q SMA jsou omezené. **Těhotenství a kojení:** Data získaná u ovčeka 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 (zahnuje trombocytopenii a snížení počet trombocytů), zvracení, hepatotoxikita (zahnuje fatální případy), pyrexie, zvýšená hladina troponinu. **Další nežádoucí účinky – viz úplná informace o přípravku.** **Podmínky uchování:** 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 dávků natežen 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 abeparovovec a přesný počet injekčních lahviček se vypočítá dle tělesné hmotnosti pacienta. **Držitel rozhodnutí o registraci:** Novartis Europharm Limited, Vista Building, Elm Park, Merion Road, Dublin 4, Irsko. **Registrační číslo:** EU/1/20/1443/001-037. **Datum registrace/prodloužení registrace:** 18.5.2020/17.5.2022. **Datum posledního revize textu SPC:** 28.03.2025. **Poznámka:** Dříve než lék předepíšete, přečtěte si pečlivě úplnou informaci o přípravku. **Přípravek je poskytován při ústavní péči (hospitalizace) a je plně hrazen ze zdravotního pojištění.** * Všimněte si prosím změny (změn) v informacích o léčivém přípravku.

* ZOLGENSMA je léčivý přípravek pro genovou terapii, který je navržen jako vektor s funkční kopii genu *SMN1* pro konstitutivní expresi lidského proteinu SMN. Očekává se, že poskytnutím alternativního zdroje pro expresi proteinu SMN se podpoří přežití a funkce transdukovaných motoneuronů. Hlášeno k 1. červenci 2024. Pacienti, kteří obdrželi navrhovanou terapeutickou dávku (1,1 × 10¹³ 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 a studii a jsou pro ně k dispozici pouze data do ukončení sledování.¹ Všichni pacienti (10/10), kteří obdrželi navrhovanou terapeutickou dávku (1,1 × 10¹³ vg/kg), přežili a byli bez trvalé ventilace.² Při sledování souběžně dat všichni pacienti, kteří obdrželi navrhovanou terapeutickou dávku (1,1 × 10¹³ 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 abeparovovec), datum posledního 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 atrofiie; 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

Duvyzat[®]
(gvinostat)

Pokrok v lčbě DMD

DMD (Duchenne muscular dystrophy): Duchennova svalová dystrofiie



Duvyzat[®] zpomaluje progresi DMD tím, že:¹⁻³

SNIŽUJE

- poškození svalových vláken⁴
- chronický záněť⁴
- fibrózu⁴
- ukládání tuku.⁴

PODPORUJE

- regeneraci svalů.^{2,3,5-7}



DMD (Duchenne muscular dystrophy): Duchennova svalová dystrofiie
Odkazy: 1. Mercuri E, et al. Lancet Neurol. 2020;23:393-403. 2. Bettica P, et al. Neuromuscul Disord. 2016;26:643-649. 3. Aartsma-Rus A. Front Cell Dev Biol. 2025;12:1514898. 4. Duvyzat[®] (gvinostat), Summary of Product Characteristics. 2025. 5. Giovarelli M, et al. Pharmacol Res. 2021;170:105751. 6. Conslav S, et al. Mol Med. 2013;19:79-87. 7. Sandona M, et al. EMOB Rep. 2020;2:1e50863.

Zkrácená informace o léčivém přípravku

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 nežádoucí účinky viz bod 4.8. **Název léčivého přípravku:** Duvyzat 8,86 mg/ml perorální suspenze. **Složení:** Jeden ml obsahuje 8,86 mg gvinostatu (ve formě monohydrátu hydrochloridu). **Terapeutické indikace:** Léčba Duchennovy svalové dystrofiie (DMD) u ambulantních (chodících) pacientů ve věku 6 let a starších a při současně léčbě kortikosteroidy. **Dávkování a způsob podání:** **Dávkování:** Doporučená dávka gvinostatu je založena na tělesné hmotnosti a má být podávána perorálně dvakrát denně. Hmotnost 15 kg až < 20 kg: 2,2 g (2,5 ml) 2x denně, 20 kg až < 40 kg: 3,3 g (3,5 ml) 2x denně, 40 kg až < 60 kg: 4,4 g (5 ml) 2x denně, 60 kg nebo více: 5,5 g (6 ml) 2x denně. Úprava dávky je nutná při trombocytopenii, průjmu nebo hypertriglycerolemii (viz SPC). **Způsob podání:** Perorálně, pomocí přiložené kalitrované stříkačky, během jídla pro zmírnění hořké chuti. **Kontraindikace:** Hypersenzitivita na léčivou látku nebo na kteroukoli pomocnou látku. **Zvláštní upozornění a opatření pro použití:** Gvinostat je spojen s trombocytopenií související s dávkou a dalšími známkami myelosuprese, včetně snížení hemoglobinu a neutropenie. Před zahájením léčby je třeba vyšetřit kompletní krevní obraz a během léčby pečlivě sledovat počet krevních destiček. Dále je spojen se zvýšením sérových triacylglycerolů, před zahájením léčby je třeba změřit její hladinu a monitorovány má být provedeno nejméně ve třech měsících, v šestém měsíci, a poté každých 6 měsíců. Pokyny k úpravě dávkování viz SPC. V případě středně těžkého nebo těžkého průjmu (více než 4 stolice denně) je třeba dávku gvinostatu upravit, viz SPC. Gvinostat může způsobit prodloužení intervalu QTc při dávkách vyšších, než je doporučená dávka. Přípravek obsahuje pomocné látky sorbitol a natrium-benzoát. **Interakce s jinými léčivými přípravky a jiné formy interakce:** Opatrnost se doporučuje při předepisování přípravku Duvyzat s léčivými přípravky, o nichž je známo, že prodlužují interval QTc se známým nebo možným rizikem vzniku torsades de pointes, např. s anestetiky (např. sevofluran, propofol), antiarytmiky III. třídy (např. amiodaron, sotalol), antiemetiky (ondansetron), antibiotiky (azitromycin, klaritromycin, ciprofloxacilin), antimykotiky (fluconazol), antipsychotiky (aripiprazol, risperidon) a antihistaminiky (např. famotidin) a s léčivými přípravky, které jsou substráty CYP3A4 a mají úzké terapeutické rozpětí. S opatrností mají být používány substráty transporteru P-pa a transporteru OCT2 s úzkým terapeutickým rozpětím. **Nežádoucí účinky:** Velmi časté: trombocytopenie, hypertriglycerolemie, průjem, zvracení, bolest břicha, pyrexie. Časté: gastrointestinální, pokles chuti k jídlu, úzkost, závrat, erupce, vyrážka, malárie, aritálie, svalová slabost, únava, zvýšená hladina thyrootropního hormonu v krvi. **Zvláštní opatření pro uchování:** Žádné zvláštní podmínky uchování. **Držitel rozhodnutí o registraci:** Italfarmaco S.p.A., Milano, Itálie. Registrační číslo: EU/1/25/1930/001. **Datum revize textu:** 06/2025. **Výdej léčivého přípravku je vázán na lékařský předpis. Tento léčivý přípravek není hrazen z veřejného zdravotního pojištění.** Dříve než předepíšete tento přípravek, seznámete se s úplným souhrnem údajů o přípravku, který je k dispozici na webových stránkách Státního ústavu pro kontrolu léčiv nebo na adrese držitele rozhodnutí o registraci.

Pouze pro zdravotnické pracovníky.
CZ-DVZ-0925-006

ITALFARMACO

MEDIS Therapeutics

Medis Pharma s.r.o., Národní 60/28
Nové Město (Praha 1), 110 00 Praha, Česká republika

XIX. NEUROMUSKULÁRNÍ KONGRES
37. neuromuskulární sympozium
XXVII. slovenská konferencia o neuromuskulárnych ochoreniach
Kolektiv autorů, sborník abstrakt

ISBN 978-80-88112-23-5

Vydal:

TA-SERVICE s.r.o.

Hlinky 48, 603 00 Brno

2026