

ΥΠΟ ΤΗΝ ΑΙΓΙΔΑ

ΕΛΛΗΝΙΚΗ ΔΗΜΟΚΡΑΤΙΑ  
Υπουργείο Υγείας



ΙΑΤΡΙΚΟΣ  
ΣΥΛΛΟΓΟΣ ΑΘΗΝΩΝ



ΕΠΙΣΤΗΜΟΝΙΚΗ ΕΤΑΙΡΕΙΑ

ΣΠΑΝΙΩΝ & ΟΡΦΑΝΩΝ  
ΠΑΘΗΣΕΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ

# 1<sup>ο</sup> ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ

## ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ & ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ

ΠΡΟΓΡΑΜΜΑ ΣΥΝΕΔΡΙΟΥ



11 - 13 Σεπτεμβρίου 2020

Αμφιθέατρο Ελληνικού  
Ινστιτούτου Παστέρ  
ΑΘΗΝΑ

Στο Συνέδριο χορηγούνται 21 Μόρια Συνεχιζόμενης Ιατρικής Εκπαίδευσης (CME - CPD credits) από τον Πανελλήνιο Ιατρικό Σύλλογο

ο n e ΟΡΓΑΝΩΣΗ - ΓΡΑΜΜΑΤΕΙΑ: ONE TO ONE S.A.  
t o Νίκης 16, 105 57 Αθήνα • Τηλ.: 2107254383-385-386 • Fax: 2107254384  
o n e E-mail: info@one2onesa.com • http://www.onetoone-congress.com f onetoonecongress



# VOTUBIA®

— everolimus —



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



NOVARTIS

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

Γραφείο Θεσσαλονίκης:  
12<sup>ο</sup> χλμ. Θεσσαλονίκης -  
Νέων Μουδανιών,  
570 01 Ούρμη,  
Τηλ: +30 2310 424 039



innovis  
Future health today

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

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

Vib-K01-1219

Βοηθήστε να γίνουν τα φάρμακα πιο ασφαλή  
και Αναφέρετε

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

Συμπληρώνοντας την «**ΚΙΤΡΙΝΗ ΚΑΡΤΑ**»

ΦΑΡΜΑΚΟΕΠΑΓΡΥΠΝΗΣΗ: +30 210 2828812

# 1<sup>ο</sup> ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ & ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



## ΧΑΙΡΕΤΙΣΜΟΣ ΠΡΟΕΔΡΟΥ

Αγαπητοί συνάδελφοι,

Με χαρά σας προσκαλούμε στο 1ο Πανελλήνιο Συνέδριο της Επιστημονικής Εταιρείας Σπανίων Παθήσεων και Ορφανών Φαρμάκων (ΕΕΣΠΟΦ) που θα πραγματοποιηθεί 11 - 13 Σεπτεμβρίου 2020, στην Αθήνα στο Αμφιθέατρο του Ελληνικού Ινστιτούτου Παστέρ.

Σύμφωνα με τις υφιστάμενες επιστημονικές γνώσεις, περίπου 8.000 διαφορετικές σπάνιες ασθένειες προσβάλλουν έως και 6% του συνολικού πληθυσμού της Ε.Ε. σε κάποια στιγμή της ζωής τους. Δηλαδή, περίπου 15 εκατομμύρια άνθρωποι στην Ευρωπαϊκή Ένωση (των 27) και 800.000 Έλληνες προσβάλλονται ή πρόκειται να προσβληθούν από μια σπάνια ασθένεια. Η έλλειψη ειδικών πολιτικών υγείας για τις σπάνιες ασθένειες και η ελλιπής ευαισθητοποίηση, επαγρύπνηση και συνεργασία από την πλειοψηφία των ιατρών και των υπηρεσιών υγείας «εξηγούν» τις καθυστερημένες διαγνώσεις και τη δυσχερή πρόσβαση στην περίθαλψη. Το γεγονός αυτό έχει ως συνέπεια αυξημένες σωματικές, ψυχολογικές και διανοητικές επιπτώσεις, ανεπαρκείς θεραπείες, καθώς και απώλεια εμπιστοσύνης στο σύστημα υγειονομικής περίθαλψης. Παρ' όλα αυτά, ορισμένες σπάνιες ασθένειες μπορούν να είναι συμβατές με ένα φυσιολογικό τρόπο ζωής, εφόσον διαγνωστούν εγκαίρως και αντιμετωπιστούν καταλλήλως.

Η υλοποίηση Εθνικού Σχεδίου Δράσης για τις Σπάνιες Παθήσεις πρόκειται να βελτιώσει την έγκαιρη διάγνωση και θεραπεία των ατόμων που πάσχουν από αυτές. Το γεγονός αυτό θα μειώσει το άμεσο ιατρικό κόστος από τις επαναλαμβανόμενες διαγνωστικές εξετάσεις, τις ημέρες νοσηλείας, και την παρατεταμένη λήψη φαρμάκων.

Σε ορισμένα κέντρα -σε εθνικό, ευρωπαϊκό και διεθνές επίπεδο- έχει αναπτυχθεί ένα είδος τεχνογνωσίας, στο οποίο προσφεύγουν ευρέως οι ασθενείς με σπάνιες παθήσεις. Σε ορισμένες χώρες τα κέντρα αυτά είναι επισήμως αναγνωρισμένα, ενώ σε άλλες έχουν εδραιωθεί άτυπα λόγω φήμης. Η «δρομολόγηση» των ασθενών είναι ως εκ τούτου συχνά το αποτέλεσμα προσωπικής επιλογής, παρά ενός πραγματικά οργανωμένου συστήματος περίθαλψης.

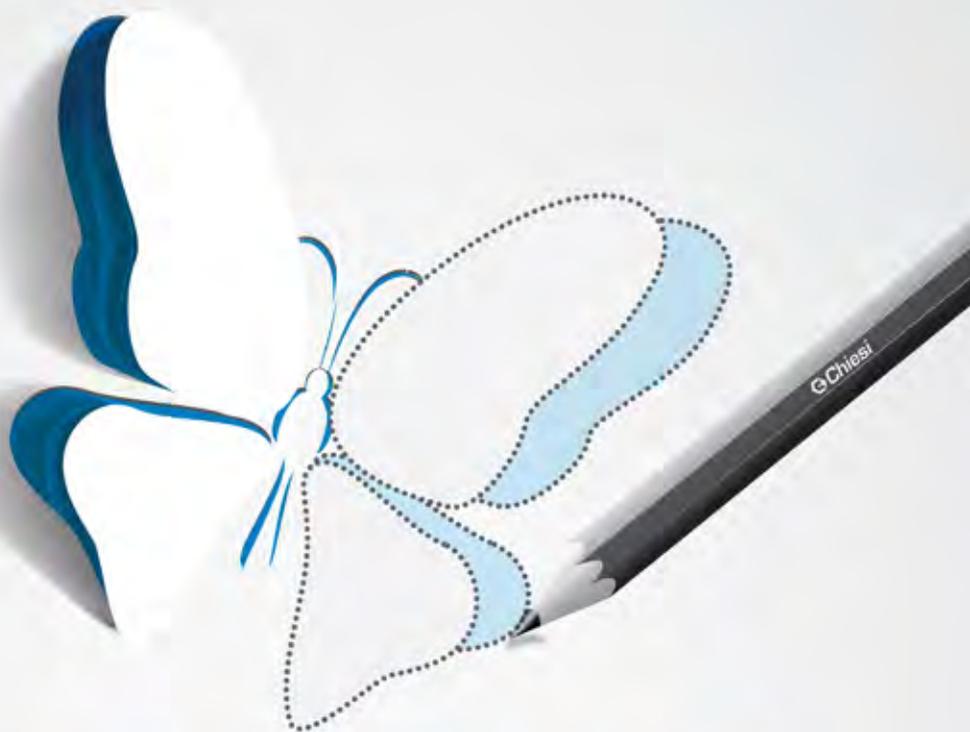
Όλα αυτά τα θέματα καθώς και θέματα που έχουν σχέση με τα ορφανά φάρμακα θα συζητηθούν εκτενώς στο συνέδριό μας από διακεκριμένους ομιλητές πολλών ειδικοτήτων και σας καλούμε να μας τιμήσετε με την παρουσία σας και να συμβάλετε με την ενεργό συμμετοχή σας στην επιτυχή διεξαγωγή του.

Με τιμή,

Ο Πρόεδρος του Συνεδρίου

**Δημοσθένης Μπούρος**

*Ομοτιμος Καθηγητης Πνευμονολογιας ΕΚΠΑ, MD, PhD, FERS, FCCP, FAPSR*



## ... γιατί ο σχεδιασμός για τη ζωή θέλει ανθρώπους με όραμα

Η έρευνα και η ανάπτυξη νέων καινοτόμων φαρμάκων απαιτεί σημαντικές επενδύσεις και ανθρώπους με όραμα. Με 5.963 εργαζομένους να στοχεύουν στην καινοτομία, ο όμιλος Chiesi έχει σήμερα παρουσία σε περισσότερες από 60 χώρες. Επανεπενδύοντας το 18% του παγκοσμίου κύκλου εργασιών στην έρευνα και την ανάπτυξη, σε ένα από τα πιο σύγχρονα ερευνητικά κέντρα της Ευρώπης στην Πάρμα της Ιταλίας, η Chiesi διαθέτει στην επιστημονική κοινότητα νέα, πρωτότυπα φαρμακευτικά σκευάσματα για τις αναπνευστικές παθήσεις, την υπέρταση και τη νεογνολογία.

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

 **Chiesi**  
People and ideas for innovation in healthcare

1<sup>ο</sup> ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ  
ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ  
& ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



ΥΠΟ ΤΗΝ ΑΙΓΙΔΑ



ΕΛΛΗΝΙΚΗ ΕΤΑΙΡΕΙΑ ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



11 - 13 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2020 · Αμφιθέατρο Ελληνικού Ινστιτούτου Παστέρ



ΑΘΗΝΑ

**ΔΙΟΙΚΗΤΙΚΟ ΣΥΜΒΟΥΛΙΟ ΕΛΛΗΝΙΚΗΣ ΕΤΑΙΡΕΙΑΣ ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ  
ΚΑΙ ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ**

Πρόεδρος: **Καραγεωργίου Κλημεντίνη**

Αντιπρόεδρος: **Κολιός Γεώργιος**

Γενικός Γραμματέας: **Αυγερινός Αντώνης**

Ταμίας: **Κουτσοστάθης Νικόλαος**

Ειδικός Γραμματέας: **Μπούρος Δημοσθένης**

Μέλος: **Αντωνιάδης Αντώνιος**

Μέλος: **Δήμος - Δημήτριος Μητσικώστας**

ΟΡΓΑΝΩΣΗ - ΓΡΑΜΜΑΤΕΙΑ:

**ONE TO ONE S.A.**



Νίκης 16, 105 57 Αθήνα

Τηλ.: 2107254383-385-386

Fax: 2107254384

E-mail: [info@one2onesa.com](mailto:info@one2onesa.com)

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

[onetoonecongress](http://onetoonecongress)



**SPINRAZA<sup>®</sup>**  
(nusinersen) 12 mg ενέσιμο διάλυμα

**ΝΕΕΣ ΔΥΝΑΤΟΤΗΤΕΣ  
ΜΕ ΤΟ SPINRAZA<sup>1</sup>**

Φωτογραφία αρχείου (όχι πραγματικός ασθενής)



**Biogen.**

Βιβλιογραφία: 1. Περίληψη Χαρακτηριστικών του Προϊόντος  
Για συνταγογραφικές πληροφορίες ανατρέξτε στη σελίδα 7 του εντύπου.  
Περατέρω πληροφορίες διατίθενται από τη Genesis Pharma.  
SPIN.ADV.NUR/12.2019



**GENESIS**  
pharma

Λ. Κηφισίας 274, 15232 Χαλάνδρι, Αθήνα  
Τηλ.: 210 8771500, Fax: 210 6891918  
e-mail: [info@genesishpharma.com](mailto:info@genesishpharma.com)  
[www.genesishpharma.com](http://www.genesishpharma.com)

## ΣΥΝΤΑΓΟΓΡΑΦΙΚΕΣ ΠΛΗΡΟΦΟΡΙΕΣ

Το φάρμακο αυτό τελεί υπό συμπληρωματική παρακολούθηση. Αυτό θα επιτρέψει το γρήγορο προσδιορισμό νέων πληροφοριών ασφάλειας. Ζητείται από τους επαγγελματίες υγείας να αναφέρουν οποιαδήποτε πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες. Βλ. Παράγραφο 4.8 για τον τρόπο αναφοράς ανεπιθύμητων ενεργειών.

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

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

\*Ανεπιθύμητες ενέργειες που θεωρήθηκε ότι σχετίζονται με τη διαδικασία σφουρονωπίας παρακέντησης. Αυτά τα συμβάματα μπορούν να θεωρηθούν εκδηλώσεις του συνδρόμου μετά από σφουρονωπία παρακέντησης.

**Επιπλέον μετά την κυκλοφορία στην αγορά:** Ανεπιθύμητες ενέργειες έχουν αναφερθεί κατά τη χρήση μετά την έγκριση του Spinragza. Μετά τις των ασθενών που έλαβαν θεραπεία με Spinragza με σφουρονωπία παρακέντησης, παρατηρήθηκε σοβαρή λοιμώξη, όπως μηνιγγίτιδα. Έχουν επίσης αναφερθεί επιπονημένοι υποκόκκοι, άσηπτη μηνιγγίτιδα και υπερευαίσθησία (π.χ. αιγιοειδίτιδα, κνίδωση και εξάνθημα). Η συχνότητα αυτών των αντιδράσεων δεν είναι γνωστή καθώς έχουν αναφερθεί μετά την κυκλοφορία στην αγορά. **Περιορισμένη επιλεγμένων ανεπιθύμητων ενεργειών:** Έχουν παρατηρηθεί ανεπιθύμητες ενέργειες που σχετίζονται με τη χορήγηση του Spinragza μέσω σφουρονωπίας παρακέντησης. Η πλειοψηφία αυτών αναφέρονται εντός 72 ωρών μετά τη διαδικασία. Η επίπτωση και η σοβαρότητα αυτών των συμβμάτων ήταν σε συμφωνία με τα συμβάματα που αναμένονται να εμφανιστούν με σφουρονωπία παρακέντησης. Δεν παρατηρήθηκαν σοβαρές επιπλοκές της σφουρονωπίας παρακέντησης, όπως σοβαρές λοιμώξεις στις κλινικές μελέτες του Spinragza. Μερικές ανεπιθύμητες ενέργειες που συσχετίζονται συχνά με την σφουρονωπία παρακέντησης (π.χ. κεφαλαλγία και οσφυαλγία) δεν μπορούσαν να αξιολογηθούν στον πληθυσμό βρεφών που εκτέθηκε σε Spinragza λόγω της περιορισμένης επικοινωνίας αυτής της ηλικιακής ομάδας. **Ανοσογονικότητα:** Η ανοσολογική ανταπόκριση στο nusinersen προσδιορίστηκε σε 346 ασθενείς όπου αρχικά δείγματα πλάσματος και δείγματα πλάσματος μετά την έναρξη, αξιολογήθηκαν για αντισώματα έναντι του φαρμάκου (*anti-drug antibodies, ADA*). Συνολικά, η επίπτωση των ADAs ήταν χαμηλή, καθώς 15 (4%) ασθενείς κατηγοριοποιήθηκαν συνολικά ως θετικοί σε ADA, εκ των οποίων 4 εμφάνισαν παροδική αντίγνωση, 5 εμφάνισαν ανθεκτική παρουσία και 6 ασθενείς είχαν ανεύρεση αντισώματος που δεν ήταν δυνατό να κατηγοριοποιηθούν ως παροδικά ή ανθεκτικά τη στιγμή της αποκοπής δεδομένων. Η επίπτωση της ανοσογονικότητας στην ασφάλεια δεν αναλύθηκε επίσημα, καθώς ο αριθμός ασθενών με ADAs ήταν μικρός. Ωστόσο, εξετάστηκαν μεμονωμένα δεδομένα ασφάλειας για τις περιπτώσεις ασθενών θετικών σε ADA λόγω της θεραπείας και δεν εντοπίστηκαν αξιοσημείωτες ανεπιθύμητες ενέργειες. **Αναφορά πιθανολογούμενων ανεπιθύμητων ενεργειών:** Η αναφορά πιθανολογούμενων ανεπιθύμητων ενεργειών μετά από τη χορήγηση άδειας κυκλοφορίας του φαρμακευτικού προϊόντος είναι σημαντική. Επιτρέπει τη συνεχή παρακολούθηση της σχέσης οφέλους-κινδύνου του φαρμακευτικού προϊόντος. Ζητείται από τους επαγγελματίες υγείας να αναφέρουν οποιαδήποτε πιθανολογούμενες ανεπιθύμητες ενέργειες μέσω του εθνικού συστήματος αναφοράς: **Ελλάδα:** Εθνικός Οργανισμός Φαρμάκων, Μεσογείων 284, GR-15562 Χολαργός, Αθήνα, Τηλ: + 30 21 32040380/337, Φαξ: + 30 21 06549585, Ιστοτόπος: <http://www.eof.gr>. **Κύπρος:** Φαρμακευτικές Υπηρεσίες, Υπουργείο Υγείας, CY-1475 Λευκωσία, Φαξ: + 357 22608649, Ιστοτόπος: [www.moh.gov.cy/phs](http://www.moh.gov.cy/phs). **4.9 Υπερδοσολογία:** Δεν αναφέρθηκαν περιπτώσεις υπερδοσολογίας σχετιζόμενες με ανεπιθύμητες ενέργειες σε κλινικές μελέτες. Σε περίπτωση υπερδοσολογίας, θα πρέπει να παρέχεται υποστηρικτική ιατρική φροντίδα συμπεριλαμβανομένων συμβουλευτικής ή επαγγελματία υγείας και στενής παρακολούθησης της κλινικής κατάστασης του ασθενούς. **7. ΚΑΤΟΧΟΣ ΤΗΣ ΑΔΕΙΑΣ ΚΥΚΛΟΦΟΡΙΑΣ:** Biogen Netherlands B.V., Prins Mauritslaan 13, 1171 LP Badhoevedorp, Ολλανδία. **8. ΑΡΙΘΜΟΣ(ΟΙ) ΑΔΕΙΑΣ ΚΥΚΛΟΦΟΡΙΑΣ:** EU/11/17/1188/001. **9. ΗΜΕΡΟΜΗΝΙΑ ΠΡΩΤΗΣ ΕΓΚΡΙΣΗΣ/ΑΝΑΝΕΩΣΗΣ ΤΗΣ ΑΔΕΙΑΣ:** Ημερομηνία πρώτης έγκρισης: 30 Μαΐου 2017. **10. ΗΜΕΡΟΜΗΝΙΑ ΑΝΑΘΕΩΡΗΣΗΣ ΤΟΥ ΚΕΙΜΕΝΟΥ:** 01/2020

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

**ΤΡΟΠΟΣ ΔΙΑΘΕΣΗΣ:** Με περιορισμένη ιατρική συνταγή. Μόνο για Νοσοκομειακή χρήση.

**ΕΝΔΕΙΚΤΙΚΗ ΤΙΜΗ (N.T.):** SPINRAZA INJ.SOL 12MG/IVIAL B1x1 VIAL x 5ML: 63.978,36€

**GENESIS**  
pharma  
Λ. Κηφισίας 274, 15232 Χαλάνδρι, Αθήνα  
Τηλ.: 210 8771500, Fax: 210 6891918  
e-mail: [info@genesisharma.com](mailto:info@genesisharma.com)  
[www.genesisharma.com](http://www.genesisharma.com)

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

**Biogen**

1<sup>ο</sup> ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ  
ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ  
& ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



**ΠΑΡΑΣΚΕΥΗ - 11 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2020**

09:00 - 10:00 Προσέλευση - Εγγραφές

10:00 - 10:30 Χαιρετισμοί από τους κ.κ.:

- Βασίλης Κικίλιας, Υπουργός Υγείας
- Βασίλης Κοντοζαμάνης, Υφυπουργός Υγείας
- Κώστας Μπακογιάννης, Δήμαρχος Αθηναίων
- Γιώργος Πατούλης, Πρόεδρος ΙΣΑ, Περιφερειάρχης Αττικής

10:30 - 11:00 Σκοποί - Στόχοι - Δραστηριότητες της ΕΕΣΠΟΦ

Ομιλητές: Κ. Ε. Καραγεωργίου, Δ. Μπούρος, Α. Αυγερινός

11:00 - 12:30 Ορφανά Φάρμακα και Ελληνική Πραγματικότητα - Η άποψη της Βιομηχανίας για τα Ορφανά Φάρμακα

Συντονίστρια: Νατάσα Σπαγαδώρου, Δημοσιογράφος

Τοποθέτηση από τους κ.κ.:

- Ολύμπιος Παπαδημητρίου, Πρόεδρος ΣΦΕΕ
- Θεόδωρος Τρύφων, Πρόεδρος ΠΕΦ
- Δημήτρης Π. Γιαννακόπουλος, Πρόεδρος ΣΑΦΕΕ
- Δημήτρης Πανταζής, Διευθύνων Σύμβουλος ΙΦΕΤ
- Χρήστος Δάκας, Διευθύνων Σύμβουλος Anexis

12:30 - 13:00 Επίσημη Ομιλία

Ομιλητής: Μελέτιος Αθανάσιος Δημόπουλος

Πρύτανης ΕΚΠΑ, Καθηγητής Αιματολογίας - Ογκολογίας, Διευθυντής Θεραπευτικής Κλινικής Ιατρικής Σχολής Εθνικού και Καποδιστριακού Πανεπιστημίου Αθηνών

13:00 - 13:30 Ομιλία Προέδρου Ελληνικής Νευρολογικής Εταιρείας

Ομιλητής: Νικόλαος Γρηγοριάδης

Καθηγητής Νευρολογίας Αριστοτέλειο Πανεπιστήμιο Θεσσαλονίκης, Πρόεδρος Ελληνικής Νευρολογικής Εταιρείας

13:30 - 14:00 Η επίδραση της πανδημίας COVID-19 στις σπάνιες παθήσεις

Ομιλητής: Παναγιώτης Γαργαλιάνος

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

\*Έχουν προσκληθεί

14:00 - 15:00 Διάλειμμα - Ελαφρύ Γεύμα

1<sup>ο</sup> ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ  
ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ  
& ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



**ΠΑΡΑΣΚΕΥΗ - 11 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2020**

15:00 – 16:00 **Ιατρική Γενετική**

Η συμβολή των Νέων Γενωμικών Τεχνολογιών στην Κλινική Γενετική  
Ομιλήτρια: Έβρα Φρουσίρα

Νεογνικό screening την εποχή των Νέων Γενωμικών Τεχνολογιών  
Ομιλήτρια: Στυλιανή Αμέντα

16:00 – 17:30 **ΣΤΡΟΓΓΥΛΟ ΤΡΑΠΕΖΙ: Νόσος Wilson**

Προεδρείο: Λεωνίδας Στεφανής, Σπυριδων Ντουράκης

Η κλινική εικόνα της νευρολογικής νόσου Wilson

Ομιλήτης: Σπυριδων Κονιτσιώτης

Παθοφυσιολογικό Προφίλ Νόσου Wilson

Ομιλήτης: Λεωνίδας Στεφανής

Το Ηπατικό Σκέλος της Νόσου Wilson

Ομιλήτης: Σπυριδων Ντουράκης

Θεραπευτικό φάσμα και νεότερες προσεγγίσεις στη Νόσο Wilson

Ομιλήτης: Βασίλειος Κυριακάκης

17:30 – 18:00 Διάλειμμα - Καφές

18:00 – 19:30 **ΣΤΡΟΓΓΥΛΟ ΤΡΑΠΕΖΙ: Διάμεσων Νοσημάτων Πνεύμονος**

Προεδρείο: Δημοσθένης Μπούρος, Σπυριδων Παπίρης

Η πρόκληση των διαμέσων πνευμονοπαθειών

Ομιλήτης: Δημοσθένης Μπούρος

Πρόοδοι στην ιδιοπαθή πνευμονική ίνωση

Ομιλήτης: Αργύριος Τζουβελέκης

Το γενετικό υπόβαθρο της πνευμονικής ίνωσης

Ομιλήτης: Ευφροσύνη Μάναλη

Πνευμονική κυψελιδική πρωτεΐνωση

Ομιλήτης: Σπυριδων Παπίρης

Το ONPATTRO<sup>®</sup> (patisiran) ενδείκνυται για χρήση σε κληρονομική αμυλοείδωση που προκαλείται από τρανσθυρετίνη (αμυλοείδωση hATTR) σε ενήλικες ασθενείς με πολυνευροπάθεια σταδίου 1 ή σταδίου 2<sup>1</sup>

ONPATTRO<sup>®</sup>: Επαναπροσδιορίζοντας τις προσδοκίες στη θεραπεία της hATTR αμυλοείδωσης με πολυνευροπάθεια<sup>1-4</sup>

Οι πολυσυστηματικές εκδηλώσεις της hATTR αμυλοείδωσης επιδρούν σημαντικά στην καθημερινή ζωή<sup>3,4</sup>

**onpattro**<sup>®</sup>  
2 mg/mL concentrate for solution for infusion patisiran

### Η θεραπεία με ONPATTRO<sup>®</sup>:

- Αναστρέφει την πολυνευροπάθεια στην πλειοψηφία των ασθενών<sup>2</sup>
- Μειώνει τα συμπτώματα της αυτόνομης νευροπάθειας<sup>2</sup>
- Αναστέλλει την έκπτωση στην ικανότητα των ασθενών να πραγματοποιούν καθημερινές δραστηριότητες<sup>2</sup>
- Βελτιώνει την ποιότητα ζωής στην πλειοψηφία των ασθενών<sup>2</sup>

Το ONPATTRO<sup>®</sup> μπορεί να χρησιμοποιηθεί ως θεραπεία πρώτης γραμμής για τους ασθενείς σας με κληρονομική αμυλοείδωση που προκαλείται από τρανσθυρετίνη (hATTR) με πολυνευροπάθεια<sup>1</sup>

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

Περαιτέρω πληροφορίες διατίθενται από τη Γένεσις Φάρμα Α.Ε.

Για τις Συνταγογραφικές Πληροφορίες ανατρέξτε στην επόμενη σελίδα

**GENESIS**  
pharma

Α. Κηφισός 274, 15232 Χαλάνδρι, Αθήνα  
Τηλ.: 210 8771500, Fax: 210 8891918  
e-mail: info@genesispharma.com  
www.genesispharma.com

**Alnylam**  
PHARMACEUTICALS

Alnylam Netherlands B.V.  
Strevinskylaan 3051  
1077ZX Amsterdam  
Netherlands

1<sup>ο</sup> ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ  
ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ  
& ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



**ΠΑΡΑΣΚΕΥΗ - 11 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2020**

19:30 - 21:00 **ΣΤΡΟΓΓΥΛΟ ΤΡΑΠΕΖΙ: Διάμεσων Νοσημάτων Πνεύμονος**

Προεδρείο: Δημοσθένης Μπούρος, Σπυρίδων Παπίρης

Ηωσινόφιλο κοκκίωμα

Ομιλητής: Βασίλειος Τζίλας

Ανεπάρκεια α1 αντιθρυψίνης: Νεότερες εξελίξεις στην «κρυφή» αιτία του πνευμονικού εμφυσήματος

Ομιλητής: Νικολέττα Ροβίνα

Κυστική ίνωση

Ομιλητής: Φιλία Διαμαντέα

Πνευμονική υπέρταση

Ομιλητής: Αναστασία Άνθη

Μεταμόσχευση πνεύμονος

Ομιλητής: Ηρακλής Τσαγκάρης

ΛΗΞΗ ΣΥΝΕΔΡΙΟΥ 1<sup>ης</sup> ΗΜΕΡΑΣ

1<sup>ο</sup> ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ  
ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ  
& ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



**ΣΑΒΒΑΤΟ - 12 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2020**

09:30 - 11:00 **ΣΤΡΟΓΓΥΛΟ ΤΡΑΠΕΖΙ: Ορφανά φάρμακα, οφέλη και ιδιαιτερότητες**  
Προεδρείο: Ανδρέας Παπαπετρόπουλος, Θεόδωρος Κωνσταντινίδης

Ορφανά φάρμακα και θεραπευτική αντιμετώπιση σπανίων παθήσεων  
Ομιλητής: Γεώργιος Κολιός

Ιδιαιτερότητες στην ανάπτυξη και κλινική μελέτη των ορφανών φαρμάκων  
Ομιλητής: Ευάγγελος Μανωλόπουλος

Ο ρόλος της Φαρμακοβιομηχανίας. Η σημασία της καταγραφής των περιστατικών και των Κέντρων Αναφοράς  
Ομιλητής: Νικόλαος Νίκας

11:00 - 12:30 **ΣΤΡΟΓΓΥΛΟ ΤΡΑΠΕΖΙ: Σπάνιες παθήσεις και ορφανά φάρμακα πεπτικού σωλήνα**

Προεδρείο: Σπυρίδων Μιχόπουλος, Γεώργιος Κολιός

Σύνδρομο βραχέος εντέρου, νεότερες θεραπευτικές προσεγγίσεις  
Ομιλητής: Γεώργιος Κολιός

Συνήθη σπάνια νοσήματα του πεπτικού : "VIPoma, Menetrier, Wiskott-Aldrichsyndrome, Carcinoid Syndrome Diarrhea".

Ομιλητής: Βασίλειος Βαλάτας

Παρουσίαση και συζήτηση περιστατικού: Νόσος Whipple  
Ομιλήτρια: Καλλιόπη Φωτεινογιαννοπούλου

12:30 - 12:45 Διάλειμμα - Καφές

12:45 - 14:15 **ΣΤΡΟΓΓΥΛΟ ΤΡΑΠΕΖΙ**

Προεδρείο: Φώτης Ψαρρός, Νικόλαος Κουτσοστάθης

Ταξινόμηση και διαγνωστική προσπέλαση του κληρονομικού αγγειοιδήματος  
Ομιλητής: Αναστάσιος Γερμενής

Κληρονομικό αγγειοίδημα - Μια σπάνια νόσος με ιδιαίτερη θεραπεία.  
Η ελληνική εμπειρία αγγειοιδήματος  
Ομιλητής: Φώτης Ψαρρός

Το κληρονομικό αγγειοίδημα στα παιδιά  
Ομιλητής: Μανώλης Μανουσάκης

1<sup>ο</sup> ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ  
ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ  
& ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



**ΣΑΒΒΑΤΟ - 12 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2020**

**14:15 – 15:45** ΣΤΡΟΓΓΥΛΟ ΤΡΑΠΕΖΙ: Νωτιαία Μυϊκή Ατροφία

Προεδρείο: Αργύριος Ντινόπουλος, Αντιγόνη Παπαβασιλείου

Νωτιαία Μυϊκή Ατροφία. Παθοφυσιολογία φαινότυποι και φυσική ιστορία της νόσου

Ομιλήτρια: Αντιγόνη Παπαβασιλείου

Διαχείριση ασθενών και διαθέσιμες Θεραπείες

Ομιλητής: Κωνσταντίνος Παπαδόπουλος

Ενήλικες ασθενείς: Προσδοκίες και προβληματισμοί

Ομιλητής: Γεώργιος Παπαδήμας

**15:45 – 16:15** Διάλειμμα – Ελαφρύ Γεύμα

**16:15 – 17:45** ΣΤΡΟΓΓΥΛΟ ΤΡΑΠΕΖΙ: Σπάνιες Παθήσεις γενικού ενδιαφέροντος: Αμυλοείδωση

Προεδρείο: Άρης Αναστασάκης, Κλημεντίνη Ε. Καραγεωργίου

Αιματολογική Προσέγγιση

Ομιλητής: Ευστάθιος Καστρίτης

Καρδιολογική Προσέγγιση

Ομιλητής: Άρης Αναστασάκης

Νευρολογική Προσέγγιση

Ομιλητής: Σοφία Βασιλοπούλου

Οικογενής Αμυλοειδική Πολυνευροπάθεια – Ιστορική Αναδρομή και Εμπειρία στην Κρήτη

Ομιλητής: Μηνάς Τζαγκουρνιασάκης

1<sup>ο</sup> ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ  
ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ  
& ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



**ΣΑΒΒΑΤΟ - 12 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2020**

17:45 – 19:15 **ΣΤΡΟΓΓΥΛΟ ΤΡΑΠΕΖΙ: Νόσος Fabry**

Προεδρείο: Κωνσταντίνος Βουμβουράκης, Γεώργιος Τσιβγούλης

Επιδημιολογία και νευρολογικές εκδηλώσεις νόσου Fabry

Ομιλήτης: Χριστίνα Ζόμπολα

Νεφρολογική Προσέγγιση

Ομιλήτης: Δημήτρης Πετράς

Καρδιολογική Προσέγγιση

Ομιλήτης: Κωνσταντίνος Ριτσάτος

Θεραπευτικές προσεγγίσεις νόσου Fabry: Νευρολογική προσέγγιση

Ομιλήτης: Γεώργιος Τσιβγούλης

19:15 – 20:00 **ΔΙΑΛΕΞΗ: Importance of early diagnosis in CLN2**

Προεδρείο: Κλημεντίνη Ε. Καραγεωργίου

Ομιλήτης: Μαρία Σπανού

20:00 – 21:30 **ΣΤΡΟΓΓΥΛΟ ΤΡΑΠΕΖΙ: Σπάνιες Παθήσεις με Υπερυπνία στην Ιατρική του Ύπνου**

Προεδρείο: Δημήτριος Δικαίος

Παθοφυσιολογικοί Μηχανισμοί στη Θεραπεία Ναρκοληψίας

Ομιλήτης: Αναστάσιος Μπονάκης

Kleine Levin Σύνδρομο και Δυσλειτουργία Μετωποκροταφικών Δικτύων

Ομιλήτης: Ελισσαίος Καραγεωργίου

ΛΗΞΗ ΣΥΝΕΔΡΙΟΥ 2<sup>ης</sup> ΗΜΕΡΑΣ

1<sup>ο</sup> ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ  
ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ  
& ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



**ΚΥΡΙΑΚΗ - 13 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2020**

09:30 - 10:00 **ΔΙΑΛΕΞΗ: Νόσος Rompre**

Προεδρείο: Γεώργιος Παπαδήμας

Ομιλητής: Κωνσταντίνος Παπαδόπουλος

10:00 - 11:00 **ΣΤΡΟΓΓΥΛΟ ΤΡΑΠΕΖΙ: Οζώδης Σκλήρυνση**

Προεδρείο: Αντιγόνη Παπαβασιλείου - Χαράλαμπος Κότσαλης

Η οζώδης Σκλήρυνση στα παιδιά

Ομιλητής: Αντιγόνη Παπαβασιλείου

Η οζώδης Σκλήρυνση στους ενήλικες

Ομιλητής: Στυλιανός Γιαννακόδημος

11:00 - 12:00 **ΣΤΡΟΓΓΥΛΟ ΤΡΑΠΕΖΙ: Σύνδρομο Harding**

Προεδρείο: Κλημεντίνη Ε. Καραγεωργίου, Θεόδωρος Κωνσταντινίδης

Γενετική Προσέγγιση οπτικής νευροπάθειας κατά Leber

Ομιλητής: Σμαράγδα Καμακάρη

Νευρολογική Προσέγγιση

Ομιλητής: Κλημεντίνη Ε. Καραγεωργίου

Οφθαλμολογική Προσέγγιση

Ομιλητής: Αλέξανδρος Χαρώνης

12:00 - 13:00 **ΣΤΡΟΓΓΥΛΟ ΤΡΑΠΕΖΙ: Νόσος Κινητικού Νευρώνα**

Προεδρείο: Κλημεντίνη Ε. Καραγεωργίου, Αντώνης Κωδούνης

Νευρολογική Προσέγγιση. Νεότερες Θεραπευτικές Προσεγγίσεις

Ομιλητής: Θεόδωρος Κωνσταντινίδης

ΛΗΞΗ ΣΥΝΕΔΡΙΟΥ

Value through  
innovation

# *Η βελτίωση της υγείας ανθρώπων και ζώων είναι ο σκοπός μας*

Από την ίδρυσή της το 1885 η Boehringer Ingelheim παραμένει οικογενειακή επιχείρηση και συγκαταλέγεται ανάμεσα στις 20 κορυφαίες φαρμακευτικές επιχειρήσεις στον κόσμο. Οι 50.000 εργαζόμενοί της δημιουργούν αξία μέσω καινοτομίας στους τομείς των φαρμάκων για τον άνθρωπο και τα ζώα και βιοφαρμακευτικών. Στο ρόλο μας ως συνεργάτης των ασθενών μας επικεντρωνόμαστε στην έρευνα και εξέλιξη καινοτόμων φαρμάκων και θεραπειών που μπορούν να βελτιώσουν και να επιμηκύνουν τη ζωή τους.

# 1<sup>ο</sup> ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ & ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



## ΟΜΙΛΗΤΕΣ

### Αμέντα - Κυριαζή Στυλιανή

MD, PhD, Παιδίατρος, Επιστ. Υπεύθυνη  
Κλινικής Γενετικής Μαιευτηρίου ΜΗΤΕΡΑ

### Αναστασάκης Άρης

MD, PhD, Καρδιολόγος, Επιστημονικός  
Υπεύθυνος Μονάδας Κληρονομικών και  
Σπανίων Καρδιαγγειακών Παθήσεων,  
Αναπληρωτής Διευθυντής Καρδιολογικού  
Τομέα, Ωνάσειο Καρδιοχειρουργικό Κέντρο

### Άνθη Αναστασία

Διευθύντρια ΕΣΥ, Β' Πανεπιστημιακή Κλινική  
Εντατικής Θεραπείας και Διακλινικό Ιατρείο  
Πνευμονικής Υπέρτασης, ΠΓΝ «ΑΤΤΙΚΟΝ»

### Αυγερινός Αντώνιος

Φαρμακοποιός, Πρόεδρος Δ.Σ. Ελληνικού  
Ερυθρού Σταυρού, Γενικός Διευθυντής ΣΑΦΕΕ,  
Γεν. Γραμματέας ΕΕΣΠΟΦ

### Βαλάτας Βασίλειος

Γαστρεντερολόγος, Επιμελητής Α'  
Πανεπιστημιακής Γαστρεντερολογικής Κλινικής  
Πανεπιστημιακού Νοσοκομείου Ηρακλείου  
Κρήτης

### Βασιλοπούλου Σοφία

Επίκουρη Καθηγήτρια Νευρολογίας ΕΚΠΑ

### Βουμβουράκης Κωνσταντίνος

Καθηγητής Νευρολογίας ΕΚΠΑ

### Γαργαλιάνος Παναγιώτης

Λοιμξιολόγος, Πρόεδρος Ελληνικής Εταιρείας  
Λοιμξέων, Διευθυντής Παθολογικής -  
Λοιμξιολογικής Κλινικής, Ιατρικό Κέντρο  
Αθηνών, Μέλος της επιτροπής των  
εμπειρογνωμόνων για τον νέο κορονοϊό

### Γερμενής Αναστάσιος

Ομότιμος Καθηγητής, Τμήμα Ιατρικής,  
Πανεπιστήμιο Θεσσαλίας

### Γιαννακόδημος Στυλιανός

Δρ. Νευρολόγος - Επιληπτολόγος, Συνεργάτης  
Νοσοκομείου ΥΓΕΙΑ

### Γρηγοριάδης Νικόλαος

Καθηγητής Νευρολογίας, Αριστοτέλειο  
Πανεπιστήμιο Θεσσαλονίκης, Πρόεδρος  
Ελληνικής Νευρολογικής Εταιρείας

### Δημόπουλος Μελέτιος Αθανάσιος

Πρύτανης ΕΚΠΑ, Καθηγητής Αιματολογίας-  
Ογκολογίας, Δ/ντης Θεραπευτικής Κλινικής  
Ιατρικής Σχολής Εθνικού και Καποδιστριακού  
Πανεπιστημίου Αθηνών

### Διαμαντέα Φιλία

Διευθύντρια ΕΣΥ Πνευμονολόγος, Υπεύθυνη  
της Μονάδας Κυστικής Ίνωσης Ενηλίκων στο  
Σισμανόγλειο ΓΝΑ

### Δικαίος Δημήτριος

Καθηγητής Ψυχιατρικής, Α' Ψυχιατρική Κλινική  
ΕΚΠΑ, Αιγινήτειο Νοσοκομείο

### Ζόμπολα Χριστίνα

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

### Καμακάρη Σμαράγδα

Δρ. Μοριακής Γενετικής, Διευθύντρια Μονάδας  
Οφθαλμικής Γενετικής

### Καραγεωργίου Ε. Κλημεντίνη

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

### Καραγεωργίου Ελισσαίος

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

# 1<sup>ο</sup> ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ & ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



## ΟΜΙΛΗΤΕΣ

### Καστρίτης Ευστάθιος

Αν. Καθηγητής Θεραπευτικής Παθολογίας  
Ογκολογίας ΕΚΠΑ

### Κολιός Γεώργιος

Γαστρεντερολόγος, Καθηγητής Φαρμακολογίας,  
Τμήμα Ιατρικής Δημοκριτείου Πανεπιστημίου  
Θράκης

### Κονιτσιώτης Σπυρίδων

Καθηγητής Νευρολογίας, Τμήμα Ιατρικής,  
Πανεπιστήμιο Ιωαννίνων

### Κότσαλης Χάρης

Δρ. Νευρολόγος - Παιδονευρολόγος,  
Συντονιστής Διευθυντής Νευρολογικής Κλινικής  
Γ. Ν. Παίδων Πεντέλης

### Κουτσοστάθης Νικόλαος

MD, PhD, Αλλεργιολόγος και Κλινικός  
Ανοσολόγος Hospital center, «Ερρίκος  
Ντυνάν»

### Κυριακάκης Βασίλειος

Νευρολόγος, Διευθυντής Νευρολογικού  
Τμήματος και Ιατρείου Κινητικών Διαταραχών  
ΓΝ Λαμίας

### Κωδούνης Αντώνης

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

### Κωνσταντινίδης Θεόδωρος

Δρ. Νευρολόγος, Πρόεδρος Ελληνικής Εταιρείας  
Κλινικής Νευροφυσιολογίας

### Μάναλη Ευφροσύνη

Επίκουρη Καθηγήτρια Πνευμονολογίας ΕΚΠΑ

### Μανουσάκης Εμμανουήλ

Διευθυντής Αλλεργιολογικής Μονάδας Β'  
Παιδιατρική Πανεπιστημιακή Κλινική Νοσοκομείο  
Παίδων «Π. & Α. Κυριακού»,

### Μανωλόπουλος Ευάγγελος

Καθηγητής Φαρμακολογίας, Τμήμα Ιατρικής  
Δημοκριτείου Πανεπιστημίου Θράκης

### Μιχόπουλος Σπυρίδων

Γαστρεντερολόγος, Συντονιστής Διευθυντής  
Γαστρεντερολογικής Κλινικής, Γ.Ν.Α.  
«Αλεξάνδρα»

### Μπονάκης Αναστάσιος

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

### Μπούρος Δημοσθένης

Ομότιμος Καθηγητής Πνευμονολογίας ΕΚΠΑ,  
Ιατρικό Κέντρο Αθηνών

### Νίκας Νικόλαος

Ιατρικός Διευθυντής εταιρείας Boehringer-  
Ingelheim

### Ντινόπουλος Αργύριος

Επίκουρος Καθηγητής Παιδονευρολογίας, Γ'  
Παιδιατρική Κλινική, Αττικό Νοσοκομείο, Αθήνα

### Ντουράκης Σπυρίδων

Παθολόγος - Ηπατολόγος, Διευθυντής  
Β' Παθολογικής Κλινικής και Ομώνυμου  
Εργαστηρίου, Ιατρικής Σχολής Εθνικού και  
Καποδιστριακού Πανεπιστημίου Αθηνών,  
Γ. Ν. Α Ιπποκράτειο, Πρόεδρος Επιστημονικής  
Εταιρείας Εσωτερικής Παθολογίας και Κλινικής  
Ηπατολογίας

### Παπαβασιλείου Αντιγόνη

Επικεφαλής Παιδονευρολόγος, Ιασώ Παίδων

### Παπαδήμας Γεώργιος

Νευρολόγος, ΕΔΙΠ Α', Αιγινήτειο Νοσοκομείο,  
ΕΚΠΑ

### Παπαδόπουλος Κωνσταντίνος

Νευρολόγος, ΕΔΙΠ, Αιγινήτειο Νοσοκομείο, ΕΚΠΑ

# 1<sup>ο</sup> ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ & ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



## ΟΜΙΛΗΤΕΣ

### Παπαετρόπουλος Ανδρέας

Καθηγητής Φαρμακολογίας, Τμήμα  
Φαρμακευτικής Εθνικού Καποδιστριακού  
Πανεπιστημίου Αθηνών

### Παπίρης Σπυρίδων

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

### Πετράς Δημήτριος

Νεφρολόγος, Διευθυντής Νεφρολογικού  
Τμήματος Ιπποκρατείου Νοσοκομείου Αθηνών

### Ριτσάτος Κωνσταντίνος

Επιμελήτης Β', Μονάδα Κληρονομικών και  
Σπανίων Καρδιαγγειακών παθήσεων  
«Ωνάσειο Καρδιοχειρουργικό Κέντρο»

### Ροβίνα Νικολέττα

Επίκουρη Καθηγήτρια Πνευμονολογίας -  
Εντατικής Θεραπείας, Ιατρική Σχολή Εθνικού  
και Καποδιστριακού Πανεπιστημίου Αθηνών,  
Α' Πανεπιστημιακή Πνευμονολογική Κλινική  
Γ.Ν.Ν.Θ.Α «Η Σωτηρία»

### Σπανού Μαρία

Πανεπιστημιακός Υπότροφος  
Παιδονευρολογίας, ΠΓΝ Αττικών

### Στεφανής Λεωνίδας

Καθηγητής Νευρολογίας - Νευροβιολογίας  
ΕΚΠΑ

### Τζίλας Βασίλειος

Πνευμονολόγος, Διδάκτωρ Πανεπιστημίου  
Αθηνών, Ιατρικό Κέντρο Αθηνών

### Τζουβελέκης Αργύριος

Αν. Καθηγητής Παθολογίας-Πνευμονολογίας  
Πανεπιστημίου Πατρών

### Τσαγκάρης Ηρακλής

Αν. Καθηγητής Εντατικής Θεραπείας ΕΚΠΑ

### Τζαγκουρнисάκης Μηνάς

Νευρολόγος, Διευθυντής ΕΣΥ, Πανεπιστημιακό  
Νοσοκομείο Ηρακλείου

### Τσιβγούλης Γεώργιος

Καθηγητής Νευρολογίας ΕΚΠΑ, Διευθυντής  
Β' Νευρολογικής Κλινικής ΕΚΠΑ Νοσοκομείο  
«ΑΤΤΙΚΟΝ»

### Φρουσίρα Έβρα

Καθηγήτρια Κλινικής Ιατρικής Γενετικής, MD,  
MSc, PhD, Ιατρική Σχολή ΕΚΠΑ

### Φωτεινογιαννοπούλου Καλλιόπη

Γαστρεντερολόγος, Επιμελήτης  
Πανεπιστημιακής Γαστρεντερολογικής Κλινικής  
Πανεπιστημιακού Νοσοκομείου Ηρακλείου  
Κρήτης

### Χαρώνης Αλέξανδρος

Χειρουργός Οφθαλμίατρος, Ιατρικό Κέντρο  
Athens Vision

### Ψαρρός Φώτιος

Αλλεργιολόγος, Διευθυντής Αλλεργιολογικού  
τμήματος Ναυτικού Νοσοκομείου Αθηνών

1<sup>ο</sup> ΠΑΝΕΛΛΗΝΙΟ ΣΥΝΕΔΡΙΟ  
ΣΠΑΝΙΩΝ ΠΑΘΗΣΕΩΝ  
& ΟΡΦΑΝΩΝ ΦΑΡΜΑΚΩΝ



ΥΠΟ ΤΗΝ ΑΙΓΙΔΑ



11 - 13 ΣΕΠΤΕΜΒΡΙΟΥ 2020 · Αμφιθέατρο Ελληνικού Ινστιτούτου Παστέρ



ΧΟΡΗΓΟΙ

ΜΕ ΤΗΝ ΕΥΓΕΝΙΚΗ ΧΟΡΗΓΙΑ ΤΩΝ ΕΤΑΙΡΕΙΩΝ





 **Galafold™**  
(migalastat)

**Η πρώτη εγκεκριμένη φαρμακολογική  
μοριακή συνοδός αναδίπλωσης (chaperone),  
για ασθενείς ηλικίας 16 ετών και άνω,  
με επιβεβαιωμένη διάγνωση της νόσου  
Fabry και μετάλλαξη επιδεκτική θεραπείας<sup>1</sup>**

GALAFOLD/SPEC/ADN/10-2019

1. Περίληψη Χαρακτηριστικών Προϊόντος Galafold

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