



ΕΠΙΣΤΗΜΟΝΙΚΗ ΕΤΑΙΡΕΙΑ

Σ Π Α Ν Ι Ω Ν & Ο Ρ Φ Α Ν Ω Ν  
Π Α Θ Η Σ Ε Ω Ν Φ Α Ρ Μ Α Κ Ω Ν

15 Οκτωβρίου 2012  
Αρ. Πρωτ.: 105/2012

Αγαπητοί Συνάδελφοι,

Με μεγάλη χαρά σας ενημερώνουμε για τη συμπλήρωση 1 έτους επίσημης λειτουργίας της Επιστημονικής Εταιρείας Σπανίων Παθήσεων & Ορφανών Φαρμάκων (Ε.Ε.Σ.Π.Ο.Φ.), με Μέλη ιατρούς όλων των ειδικοτήτων και επιστήμονες υγείας, με αποδεδειγμένο ενδιαφέρον και ερευνητική δράση στο πεδίο των Σπανίων Παθήσεων ή των Ορφανών Φαρμάκων.

Συνοπτικά, οι στόχοι της Ε.Ε.Σ.Π.Ο.Φ. είναι:

- Η μελέτη και προαγωγή της έρευνας των Σπανίων Παθήσεων και των Ορφανών Φαρμάκων.
- Η ανάπτυξη νέων ιδεών και η ενδυνάμωση της επιστημονικής συνεργασίας στο πεδίο των Σπανίων Παθήσεων και των Ορφανών Φαρμάκων.
- Η ανάπτυξη εκπαιδευτικών και πρακτικών δραστηριοτήτων για τους ιατρούς και επιστήμονες υγείας όλων των ειδικοτήτων σε θέματα Σπανίων Παθήσεων & Ορφανών Φαρμάκων.

Όλες οι ανακοινώσεις για τις δραστηριότητες της Ε.Ε.Σ.Π.Ο.Φ., καθώς και σημαντικές πληροφορίες για τις Σπάνιες Παθήσεις και τα Ορφανά Φάρμακα αναρτώνται στον επίσημο δικτυακό τόπο [www.eespof.gr](http://www.eespof.gr).

Στο παραπάνω πλαίσιο, σας αποστέλλεται με το παρόν, Ενημερωτικό Δελτίο σχετικά με τη δραστική ουσία αμιφαμπριδίνη (εμπορικό όνομα Firdapse - εγκεκριμένο από τον Ευρωπαϊκό Οργανισμό Φαρμάκων), για τη συμπτωματική θεραπεία του Μυασθενικού Συνδρόμου Lambert – Eaton (LEMS) στους ενήλικες, καθώς και ένα χρήσιμο Ερωτηματολόγιο.

Είμαστε στη διάθεσή σας για οποιαδήποτε επιπλέον πληροφορία ή υλικό χρειαστείτε. Μπορείτε να επικοινωνείτε με τη Γραμματεία μας (τηλ. 210 6516988, κα Ανδριάννα Βαρύγιαννη).

Με συναδελφικούς χαιρετισμούς,  
Για το Δ.Σ. της Ε.Ε.Σ.Π.Ο.Φ.

Ο Πρόεδρος

Καθ. Δημοσθένης Μπούρος  
Πνευμονολόγος



Ο Γενικός Γραμματέας

Δρ. Αντώνης Αυγερινός  
Φαρμακοποιός

## ΔΙΟΙΚΗΤΙΚΟ ΣΥΜΒΟΥΛΙΟ

Δημοσθένης  
Μπούρος  
Πρόεδρος

Αντώνης  
Αντωνιάδης  
Αντιπρόεδρος

Αντώνης  
Αυγερινός  
Γεν. Γραμματέας

Ερρίκος  
Τζεμπελίκος  
Ταμίας

Σπύρος  
Κονιτσιώτης  
Ειδ. Γραμματέας

Γεωργία  
Μπίρμπα  
Σύμβουλος

Δημήτρης  
Παπαχρήστου  
Σύμβουλος

Στοιχεία  
Επικοινωνίας:  
Κατεχάκη 36  
115 25 Ν. Ψυχικό  
Τηλ.: 210 6516988  
Fax: 210 6031594  
[www.eespof.gr](http://www.eespof.gr)  
[info@eespof.gr](mailto:info@eespof.gr)



## Μυασθενικό σύνδρομο Lambert - Eaton (LEMS)

### Το σύνδρομο Lambert - Eaton (LEMS)

Το μυασθενικό σύνδρομο Lambert-Eaton (LEMS) είναι μια πολύ σπάνια αυτοάνοση γενετική διαταραχή, η οποία προκαλείται εξαιτίας της μείωσης του ασβεστίου στις τελικές νευρικές απολήξεις που επηρεάζει δευτερευόντως την απελευθέρωση ακετυλοχολίνης στη νευρομυϊκή σύναψη.

Κύριο σύμπτωμα της LEMS είναι η μυϊκή αδυναμία (χαρακτηριστική είναι η αίσθηση του «βάρους» στα πόδια, όπως το περπάτημα στο νερό). Επίσης, επηρεάζει συχνά τις λειτουργίες του αυτόνομου νευρικού συστήματος, κάτι που μπορεί να προκαλέσει ξηροστομία ή δυσκοιλιότητα. Όχι τόσο συχνά εμφανιζόμενα, είναι επίσης τα προβλήματα ομιλίας, μάσησης, κατάποσης ή ακόμα και αναπνοής.

Η LEMS είναι στενά συνδεδεμένη με τον καρκίνο, κυρίως του πνεύμονα (SCLC). Υπολογίζεται ότι περίπου το 3% των ασθενών με SCLC έχουν LEMS, 40% έως 60% των ασθενών με LEMS έχουν SCLC και το 5% έχει άλλες μορφές καρκίνου. Εάν το LEMS υφίσταται με απουσία του καρκίνου τότε συνδέεται συχνά με μια αυτοάνοση διαταραχή.

Εγκρίθηκε το FIRDAPSE, το νέο ορφανό φάρμακο για τη θεραπεία του μυασθενικού συνδρόμου Lambert - Eaton (LEMS), από τον Ευρωπαϊκό Οργανισμό Φαρμάκων. Μέχρι τώρα δεν υπήρχε καμία εγκεκριμένη θεραπεία γι' αυτήν τη σπάνια πάθηση. Η δραστική του "FIRDAPSE" είναι η αμιφαμπριδίνη (3,4 DAP φωσφορικό άλας). Ακολούθως της έγκρισης αυτής το φάρμακο εισάγεται επί του παρόντος στην Ελλάδα μέσω του ΙΦΕΤ.

### Τι είναι το FIRDAPSE;

Το FIRDAPSE™ είναι το πρώτο εγκεκριμένο φάρμακο για τη συμπτωματική θεραπεία του Lambert - Eaton (LEMS) (μυασθενικό σύνδρομο) στους ενήλικες και είναι διαθέσιμο ως συσκευασία των 100 δισκίων των 10mg.

### Πώς χρησιμοποιείται;

Η θεραπεία πρέπει να ξεκινά υπό την επίβλεψη ιατρού με εμπειρία στη θεραπεία της νόσου. Το FIRDAPSE πρέπει να χορηγείται σε διαιρεμένες δόσεις, τρεις ή τέσσερις φορές την ημέρα. Η συνιστώμενη δόση έναρξης είναι 15mg την ημέρα, το οποίο μπορεί να αυξηθεί κατά 5mg κάθε 4 έως 5 ημέρες, με ανώτατο όριο τα 60mg ανά ημέρα. Καμία μεμονωμένη δόση δεν πρέπει να υπερβαίνει τα 20mg. Τα δισκία πρέπει να λαμβάνονται με τροφή.

### Πώς λειτουργεί;

Οι μυς για να διεγερθούν πρέπει τα νεύρα να διαβιβάζουν ηλεκτρικά ερεθίσματα, μέσω ενός χημικού αγγελιοφόρου που ονομάζεται ακετυλοχολίνη. Η ακετυλοχολίνη είναι μια ουσία που απελευθερώνεται από τις απολήξεις των νευρών κατά τη διάρκεια μιας περιόδου «εκπόλωσης». Φορτισμένα σωματίδια ασβεστίου ρέουν στα νεύρα κατά τη διάρκεια αυτής της περιόδου και είναι απαραίτητα για την απελευθέρωση της ακετυλοχολίνης. Η δραστική ουσία αμιφαμπριδίνη (FIRDAPSE), είναι ένας αναστολέας των διαύλων καλίου. Αποτρέπει τα φορτισμένα σωματίδια του καλίου να φύγουν από τα νευρικά κύτταρα και έτσι παρατείνει την περίοδο της εκπόλωσης. Αυτό επιτρέπει σε περισσότερα σωματίδια του ασβεστίου να μεταφερθούν στα νεύρα και δίνει περισσότερο χρόνο στα νεύρα να απελευθερώσουν ακετυλοχολίνη για την τόνωση και διέγερση των μυών.

Το φάρμακο αυτό κυκλοφορεί στην Ευρώπη από την εταιρεία BioMarin Europe Ltd, από το Φεβρουάριο 2011. Η εταιρεία έχει δημιουργήσει ήδη ένα αυστηρό πρόγραμμα φαρμακοεπαγρύπνησης και, επιπλέον, έχει δημιουργήσει ένα διεθνές αρχείο καταγραφής της νόσου, το οποίο είναι ανοικτό σε όλους τους ασθενείς με LEMS, ανεξάρτητα από τη θεραπεία που λαμβάνουν. Αυτό το μητρώο θα συντελέσει σημαντικά στην κατανόηση αυτής της σπάνιας ασθένειας προς όφελος των ασθενών με LEMS.

Σημείωση: Μπορείτε να επισκεφθείτε την ιστοσελίδα: <http://www.lems.com>

