

**LECZENIE RDZENIOWEGO ZANIKU MIĘŚNI (ICD-10: G12.0, G12.1)**

<b>ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO</b>		
<b>ŚWIADCZENIOBIORCY</b>	<b>SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE</b>	<b>BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU</b>
<p>Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii dokonuje Zespół Koordynujący ds. kwalifikacji i weryfikacji leczenia w programie leczenia rdzeniowego zaniku mięśni.</p> <p><b>1. Kryteria kwalifikacji:</b></p> <p>1.1. do leczenia nusinersenem kwalifikowani są przedobjawowi i objawowi pacjenci z rozpoznaniem rdzeniowego zaniku mięśni 5q potwierdzonego badaniem genetycznym.</p> <p>1.2. w celu zapewnienia kontynuacji terapii do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci uprzednio leczeni nusinersenem w ramach innego sposobu finansowania terapii, pod warunkiem, że na dzień rozpoczęcia terapii mieli rozpoznanie rdzeniowego zaniku mięśni 5q potwierdzone badaniem genetycznym oraz jednocześnie nie spełniali kryteriów wyłączenia z programu określonych w ust. 3.</p> <p><b>2. Określenie czasu leczenia w programie:</b></p> <p>Leczenie powinno być stosowane tak długo jak osiągnięta jest skuteczność kliniczna oraz nie wystąpią kryteria wyłączenia.</p> <p>Łączny czas leczenia pacjenta nusinersenem zależy od decyzji lekarza prowadzącego.</p> <p>Po podaniu 6 dawki, niezależnie od mechanizmu finansowania terapii w jakim to nastąpiło, a następnie przed podaniem każdej kolejnej dawki przeprowadza się ocenę skuteczności leczenia.</p> <p>Po ukończeniu 18 r.ż. nie ma konieczności ponownej kwalifikacji pacjenta do programu po przeniesieniu leczenia do ośrodka dla</p>	<p><b>1. Dawkowanie:</b></p> <p>Dawkowanie nusinersenu oraz sposób modyfikacji dawkowania - zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego.</p> <p>2. W przypadku pacjentów wymagających znieczulenia ogólnego do wykonania nakłucia lędźwiowego- znieczulenie ogólne zgodnie z obowiązującymi w ośrodku procedurami.</p>	<p><b>1. Badania przy kwalifikacji:</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) badanie genetyczne potwierdzające delecję lub mutację genu SMN1;</li> <li>2) badanie potwierdzające liczbę kopii genu SMN2;</li> <li>3) badanie neurologiczne z oceną w skali CHOP-INTEND lub HINE, lub HFMSE - stosownie do wieku i typu SMA;</li> <li>4) konsultacja rehabilitacyjna i/lub fizjoterapeutyczna oraz ustalenie planu rehabilitacji dla pacjenta;</li> <li>5) badania biochemiczne, w tym oceniające funkcję wątroby, nerek (białkomocz) i układu krzepnięcia (koagulogram);</li> <li>6) morfologia krwi z rozmazem;</li> <li>7) konsultacja anestezjologiczna - u pacjentów, którzy wymagają znieczulenia ogólnego;</li> <li>8) konsultacja ortopedyczna - w przypadku znacznej skoliozy;</li> <li>9) konsultacja gastroenterologiczna i/lub dietetyczna w zależności od stanu klinicznego pacjenta</li> <li>10) test ciążyowy wraz z oświadczeniem o stosowaniu skutecznej antykoncepcji w trakcie trwania terapii - u kobiet w wieku reprodukcyjnym.</li> </ol> <p><b>2. Monitorowanie leczenia:</b></p> <ol style="list-style-type: none"> <li>1) badanie neurologiczne przed każdym podaniem dawki;</li> </ol>

dorosłych. Leczenie powinno być kontynuowane w ośrodku dla dorosłych tak długo jak osiągnięta jest skuteczność kliniczna oraz nie wystąpią kryteria wyłączenia.

### 3. Kryteria wyłączenia z programu:

- 1) zaawansowana skolioza uniemożliwiająca podanie dokanałowe leku;
- 2) przeciwwskazania bezwzględne do nakłucia lędźwiowego;
- 3) drenaż płynu mózgowo-rdzeniowego;
- 4) pogorszenie w odpowiednio dobranej do wieku i typu SMA, skali:
  - a) CHOP INTEND, HINE poniżej poziomu sprzed włączenia do leczenia utrzymujące się w dwóch kolejnych badaniach realizowanych co 4 miesiące; lub
  - b) HFMSE o więcej niż 2 punkty poniżej poziomu sprzed włączenia do terapii potwierdzone w dwóch kolejnych badaniach realizowanych co 4 miesiące;
- 5) wystąpienie któregośkolwiek z przeciwwskazań w trakcie trwania terapii:
  - a) nadwrażliwość na substancję czynną lub na którąkolwiek substancję pomocniczą;
  - b) przeciwwskazania do nakłucia lędźwiowego;
  - c) ciąża.

- 2) badanie w skali CHOP-INTEND lub HINE, lub HFMSE (stosownie do wieku i typu SMA) przy dawkach podtrzymujących;
- 3) ocena przez fizjoterapeutę wykonania planu rehabilitacji;
- 4) ocena gastroenterologa i/lub dietetyka w zależności od stanu pacjenta;
- 5) ocena stanu odżywienia i wydolności oddechowej pacjenta w zależności od stanu, ale nie rzadziej niż raz do roku;
- 6) badania biochemiczne, w tym oceniające funkcję wątroby, nerek (białkomoczu) i układu krzepnięcia (koagulogram), wykonywane przed podaniem kolejnej dawki nusinersenu;
- 7) morfologia krwi z rozmazem wykonywana przed podaniem kolejnej dawki nusinersenu;
- 8) w przypadku pacjentek w wieku reprodukcyjnym - test ciążowy każdorazowo przed każdym podaniem dawki.

### 3. Monitorowanie programu:

- 1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich przedstawianie na żądanie kontrolerów Narodowego Funduszu Zdrowia;
- 2) uzupełnianie danych zawartych w rejestrze (SMPT) dostępnym za pomocą aplikacji internetowej udostępnionej przez OW NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia;
- 3) przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez Narodowy Fundusz Zdrowia.