

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

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
<p>Kwalifikacji świadczeniobiorców do terapii dokonuje Zespół Koordynujący ds. kwalifikacji i weryfikacji leczenia w programie leczenia rdzeniowego zaniku mięśni.</p> <p>1. Kryteria kwalifikacji</p> <p>1) Do leczenia nusinersenem kwalifikowani są przedobjawowi i objawowi pacjenci z rozpoznaniem rdzeniowego zaniku mięśni 5q potwierdzonego badaniem genetycznym;</p> <p>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 rozpoznane rdzeniowego zaniku mięśni 5q potwierdzone badaniem genetycznym oraz jednocześnie nie spełniali kryteriów wyłączenia z programu określonych w ust. 3;</p> <p>3) W przypadku pacjentów, którzy wcześniej otrzymali leczenie onasemnogene abeparovvec, risdiplamem lub branaplamem w ramach badań klinicznych, programów wczesnego dostępu lub w ramach innego sposobu finansowania terapii, we wniosku dotyczącym włączenia do programu lekowego konieczne jest</p>	<p>1. Dawkowanie</p> <p>Dawkowanie nusinersenu oraz sposób modyfikacji dawkowania zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (aktualną na dzień wydania decyzji refundacyjnej).</p> <p>W przypadku pacjentów wymagających znieczulenia ogólnego do wykonania nakłucia lędźwiowego - znieczulenie ogólne zgodnie z obowiązującymi w ośrodku procedurami.</p> <p>W uzasadnionych klinicznie przypadkach dopuszcza się podanie nusinersenu dooponowo przez nakłucie podpotyliczne w przypadku kiedy podanie leku dooponowo drogą nakłucia lędźwiowego nie jest możliwe.</p>	<p>1. Badania przy kwalifikacji</p> <p>1) badanie genetyczne potwierdzające delecję lub mutację genu SMN1;</p> <p>2) badanie potwierdzające liczbę kopii genu SMN2;</p> <p>3) badanie neurologiczne z oceną w skali CHOP-INTEND lub HINE, lub HFMSE - stosownie do wieku i typu SMA;</p> <p>4) konsultacja rehabilitacyjna i/lub fizjoterapeutyczna oraz ustalenie planu rehabilitacji dla pacjenta;</p> <p>5) badania biochemiczne, w tym oceniające funkcję wątroby, nerek (białkomocz) i układu krzepnięcia (koagulogram);</p> <p>6) morfologia krwi z rozmazem;</p> <p>7) konsultacja anestezjologiczna - u pacjentów, którzy wymagają znieczulenia ogólnego;</p> <p>8) konsultacja ortopedyczna - w przypadku znacznej skoliozy;</p> <p>9) konsultacja gastroenterologiczna i/lub dietetyczna w zależności od stanu klinicznego pacjenta</p> <p>10) test ciążowy wraz z oświadczeniem o stosowaniu skutecznej antykoncepcji w trakcie trwania terapii - u kobiet w wieku reprodukcyjnym.</p>

zaraportowanie tych terapii wraz z podaniem czasu ich trwania oraz ich skuteczności, czyli liczby punktów w odpowiedniej skali funkcjonalnej sprzed terapii i po jej zakończeniu.

2. Określenie czasu leczenia w programie

Leczenie powinno być stosowane tak długo jak osiągnięta jest skuteczność kliniczna oraz nie wystąpią kryteria wyłączenia.

Łączny czas leczenia pacjenta nusinersenem zależy od decyzji lekarza prowadzącego.

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.

Po ukończeniu 18 r.ż. nie ma konieczności ponownej kwalifikacji pacjenta do programu po przeniesieniu leczenia do ośrodka dla 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:

2. Monitorowanie leczenia

- 1) Badanie neurologiczne przed każdym podaniem dawki;
- 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 (białkomocz) 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

<p>a) CHOP INTEND, HINE poniżej poziomu sprzed włączenia do leczenia utrzymujące się w dwóch kolejnych badaniach realizowanych co 4 miesiące, lub</p> <p>b) HFMSE o więcej niż 2 punkty poniżej poziomu sprzed włączenia do terapii potwierdzone w dwóch kolejnych badaniach realizowanych co 4 miesiące;</p> <p>5) Wystąpienie któregokolwiek z przeciwwskazań w trakcie trwania terapii:</p> <p>a) nadwrażliwość na substancję czynną lub na którąkolwiek substancję pomocniczą;</p> <p>b) przeciwwskazania do nakłucia lędźwiowego;</p> <p>c) ciąża.</p>		<p>udostępnionej przez OW NFZ, z częstotliwością zgodną z opisem programu oraz na zakończenie leczenia;</p> <p>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.</p>
---	--	---