

Cod formular specific: M09AX07

**FORMULAR PENTRU VERIFICAREA RESPECTĂRII CRITERIILOR DE ELIGIBILITATE  
AFERENTE PROTOCOLULUI TERAPEUTIC DCI NUSINERSENUM**

**SECȚIUNEA I - DATE GENERALE**

1. Unitatea medicală: .....

2. CAS / nr. contract: ...../.....

3. Cod parafă medic:

4. Nume și prenume pacient: .....

CNP / CID:

5. FO / RC:  în data:

6. S-a completat "Secțiunea II- date medicale" din Formularul specific cu codul: .....

7. Tip evaluare:  inițiere  continuare  întrerupere

8. Încadrare medicament recomandat în Listă:

boala cronică (sublista C secțiunea C1), cod G:

PNS (sublista C secțiunea C2), nr. PNS: , cod de diagnostic (varianta 999 coduri de boală), după caz:

ICD10 (sublista A, B, C secțiunea C3, D, după caz), cod de diagnostic (varianta 999 coduri de boală):

9. DCI recomandat: 1)..... DC (după caz) .....

2)..... DC (după caz) .....

10. \*Perioada de administrare a tratamentului:  3 luni  6 luni  12 luni,

de la:  până la:

11. Data întreruperii tratamentului:

12. Pacientul a semnat declarația pe propria răspundere conform modelului prevăzut în Ordin:

DA  NU

\*Nu se completează dacă la "tip evaluare" este bifat "întrerupere"!

**A. ATROFIA MUSCULARĂ SPINALĂ (AMS) TIP I:****I. Obiective: 1. Îmbunătățirea funcției motorii****2. Menținerea funcției motorii****3. Îmbunătățirea funcției respiratorii****II. Pentru includere în tratament, pacienții îndeplinesc cumulativ criteriile de includere și excludere, astfel:**

1. Criteriile de includere: 1+2+3+4 DA

2. Criteriile de excludere: toate NU

**III. Pentru continuare: toate criteriile de continuare DA****IV. Pentru întrerupere: oricare criteriu de întrerupere DA****I. Criterii de includere în tratament:**

1. Testarea genetică a demonstrat o mutație (deleție) homozigotă sau heterozigotă compusă a genei 5q SMN1  DA  NU
2. Existența a cel puțin 2 copii ale genei SMN2  DA  NU
3. Pacienți cu AMS tip I b sau Ic  DA  NU
4. Consimțământ informat  DA  NU

**II. Criterii de excludere din tratament:**

1. Pacienți fără confirmare genetică a bolii AMS  DA  NU
2. Pacienți cu mai puțin de 2 copii SMN2  DA  NU
3. Pacienți cu AMS tip 0  DA  NU
4. Pacienți care necesită ventilație asistată invazivă permanentă (>16 h/zi de ventilație continuă în ultimele >21 zile, în absența unui episod acut reversibil sau traheostomiei) care nu este urmarea unui episod acut  DA  NU
5. Situații clinice care pot împiedica puncția lombară (spre exemplu, pacienți la care fuziunea vertebrală împiedică accesul în spațiile intervertebrale) sau la care pot apărea complicații importante)  DA  NU
6. Istoric de afecțiuni cerebrale sau medulare care ar putea interfera cu procedura puncției lombare sau cu circulația lichidului cefalorahidian.  DA  NU

**II. Criterii de continuare a tratamentului:**

1. Starea clinică a pacientului permite administrarea în continuare a tratamentului  DA  NU

2. Efectele adverse ale nusinersen sau ale administrării intratecale nu produc o deteriorare a calității vieții pacientului  DA  NU
3. Riscurile induse de administrarea intratecală a nusinersen nu pun în pericol viața pacientului  DA  NU
4. Nu îndeplinește niciun criteriu de întrerupere  DA  NU

### III. Criterii de întrerupere a tratamentului:

1. Înainte de administrarea celei de a VI-a doze (la 10 luni de la inițierea tratamentului) sau, ulterior, la evaluarea clinică apare o **scădere semnificativă** a funcției **motorii** (măsurată cu Scala Hammersmith - HINE secțiunea 2) sau **respiratorie** (măsurată prin schimbări în suportul ventilator), așa cum sunt definite în normele din protocolul terapeutic
- DA  NU
2. La 18 luni de la inițierea tratamentului (a VIII-a doză de nusinersen) nu s-a înregistrat nici o îmbunătățire a funcției motorii (pe scala HINE), conform cu normele din protocolul terapeutic
- DA  NU
3. La 18 luni de la inițierea tratamentului (a VIII-a doză de nusinersen) sau ulterior, la evaluările de la fiecare 4 luni, s-au înregistrat 2 scăderi consecutive ale funcției motorii a pacientului față de evaluările anterioare, conform cu normele din protocolul terapeutic
- DA  NU
4. Pacientul prezintă efecte adverse severe asociate cu administrarea nusinersen
- DA  NU
5. Datorită stării clinice, riscurile induse de administrarea intratecală a nusinersen pun în pericol viața pacientului
- DA  NU
6. Efectele adverse ale nusinersen sau ale administrării intratecale produc o deteriorare a calității vieții pacientului
- DA  NU
7. Lipsa complianței la tratament prin neprezentarea la administrarea tratamentului în zilele programate, cu o intarziere de mai mult de 7 zile pentru primele trei administrări și mai mult de 14 zile începând cu a 4-a administrare
- DA  NU
8. Pacientul sau reprezentantul său legal (în cazul minorilor) nu mai dorește administrarea tratamentului și își retrage consimțământul
- DA  NU

**B. ATROFIA MUSCULARĂ SPINALĂ (AMS) TIP tip II sau III:**

**I. Pentru includere: pacienții îndeplinesc cumulativ criteriile de includere și excludere astfel:**

1. Criteriile de includere: 1+2+3+4+5 DA sau 5+6 DA

2. Criteriile de excludere: toate NU

**II. Pentru continuare:** toate criteriile de continuare DA.

**III. Pentru întrerupere:** oricare criteriu de întrerupere DA.

**I. Criterii de includere în tratament:**

1. Testarea genetică a demonstrat o deleție homozigotă sau heterozigotă compusă a genei 5q SMN1

DA  NU

2. Existența a cel puțin 2 copii a genei SMN2

DA  NU

3. Pacienți simptomatici cu diagnostic de AMS tip II sau III

DA  NU

4. Scor  $\leq$  54 puncte la măsurarea funcției motorii cu ajutorul Scalei Hammersmith Functional Motor Scale – Expanded (HFMSSE):

DA  NU

**SAU**

Scorul HFMSSE este  $>54$  puncte, dar în urma monitorizării clinice se constată o scădere cu  $> 3$  puncte:

DA  NU

5. Consimțământ informat

DA  NU

6. Pacienți care au primit tratament cu nusinersen, însă s-a decis întreruperea acestuia, iar la 8 luni de la oprirea tratamentului se constată o pierdere de  $> 3$  puncte pe scala HFMSSE:

DA  NU

**Criterii de excludere din tratament:**

1. Pacienți care necesită ventilație asistată invazivă permanentă ( $>16$  h/zi de ventilație continuă în ultimele  $>21$  zile, în absența unui episod acut reversibil sau traheostomie) care nu este urmarea unui episod acut:

DA  NU

2. Situații clinice care pot împiedica puncția lombară (spre exemplu, pacienți la care fuziunea vertebrală împiedică accesul în spațiile intervertebrale) sau la care pot apărea complicații importante  
 DA     NU
3. Istoric de afecțiuni cerebrale sau medulare care ar putea interfera cu procedura puncției lombare sau cu circulația lichidului cefalo-rahidian  
 DA     NU
4. Pacienți cu boală în stadii foarte avansate, cu scor  $\geq 47$  pe scala funcțională Egen Klassifikation versiunea 2 (EK2), care nu au beneficiu clinic și nu ar putea fi stabiliizați cu ajutorul tratamentului (pacienți cu activitate funcțională minimă care necesită asistență pentru toate activitățile vieții cotidiene, cu traheostomie, etc.), cu afectare clinică ireversibilă, la care nu există posibilitatea obținerii unui beneficiu clinic relevant și nu se consideră că ar putea fi stabiliizați cu ajutorul tratamentului  
 DA     NU

## II. Criterii de continuare a tratamentului:

1. Starea clinică a pacientului permite administrarea în continuare a tratamentului  
 DA     NU
2. Efectele adverse ale nusinersen sau ale administrării intratecale nu produc o deteriorare a calității vieții pacientului  
 DA     NU
3. Riscurile induse de administrarea intratecală a nusinersen nu pun în pericol viața pacientului  
 DA     NU
4. Nu îndeplinește niciun criteriu de întrerupere  
 DA     NU

## III. Criterii de întrerupere a tratamentului:

1. După 2 ani de la inițierea tratamentului:
  - a. La pacienții care **au** capacitatea de a merge nu se produce o îmbunătățire de  $\geq 3$  puncte pe scala HFMSE și nu apare o creștere a distanței parcurse la testul mersului 6 minute cu  $> 30$  metri  
 DA     NU
  - b. La pacienții care **nu au** capacitatea de a merge, nu se produce o îmbunătățire de  $\geq 3$  puncte pe scala HFMSE și nu apare o creștere cu  $> 2$  puncte pe scala membrilor superioare (Upper Limb Module Test -RULM)  
 DA     NU

2. La 36 luni de la începerea tratamentului se constată o deteriorare față de progresul funcțional obținut la 2 ani  
 DA     NU
3. În cazul deteriorării importante a funcției respiratorii, dacă este necesară instituirea ventilației asistate permanente (>16 h/zi ventilație continuă în absența unui episod acut reversibil sau traheostomia), fără existența unei cauze acute  
 DA     NU
4. Pacientul prezintă efecte adverse severe asociate cu administrarea nusinersen  
 DA     NU
5. Datorită stării clinice, riscurile induse de administrarea intratecală a nusinersen pun în pericol viața pacientului  
 DA     NU
6. Efectele adverse ale nusinersen sau ale administrării intratecale produc o deteriorare a calității vieții pacientului  
 DA     NU
7. Lipsa complianței la tratament prin neprezentarea la administrarea tratamentului în zilele programate, cu o întârziere de mai mult de 7 zile pentru primele trei administrări și mai mult de 14 zile începând cu a 4-a administrare  
 DA     NU
8. Pacientul sau reprezentantul său legal (în cazul minorilor) nu mai dorește administrarea tratamentului și își retrage consimțământul  
 DA     NU

Subsemnatul, dr....., răspund de realitatea și exactitatea completării prezentului formular.

Data:

Semnătura și parafa medicului curant

Originalul dosarului pacientului, împreună cu toate documentele anexate (evaluări clinice și buletine de laborator sau imagistice, consimțământul informat, declarația pe propria răspundere a pacientului, formularul specific, confirmarea înregistrării formularului etc.), constituie documentul-sursă față de care, se poate face auditarea/controlul datelor completate în formular.