**Cod formular specific: M09AX07**

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

**SECŢIUNEA I - DATE GENERALE**

**1. Unitatea medicală: ....................................................**

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

**\_ \_ \_ \_ \_ \_**

**3. Cod parafă medic: |\_|\_|\_|\_|\_|\_|**

**4. Nume şi prenume pacient: ..............................................**

**\_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_**

**CNP/CID: |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|**

**\_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_**

**5. FO/RC: |\_|\_|\_|\_|\_|\_| în data: |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|**

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

\_ \_ \_

**7. Tip evaluare:** |\_| iniţiere |\_| continuare |\_| întrerupere

**8. Încadrare medicament recomandat în Listă:**

\_ \_ \_ \_

|\_| boala cronică (sublista C secţiunea C1), cod G: |\_|\_|\_|

\_ \_ \_ \_ \_

|\_| PNS (sublista C secţiunea C2), nr. PNS: |\_|\_|\_|\_|, cod de diagnostic

\_ \_ \_

(varianta 999 coduri de boală), după caz: |\_|\_|\_|

\_

|\_| ICD10 (sublista A, B, C secţiunea 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 declaraţia pe propria răspundere conform modelului prevăzut în Ordin:**

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

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

**SECŢIUNEA II - DATE MEDICALE** Cod formular specific **M09AX07**

**A. ATROFIA MUSCULARĂ SPINALĂ (AMS) TIP I:**

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

1. Testarea genetică a demonstrat o mutaţie (deleţie) homozigotă sau heterozigotă compusă a genei 5q SMN1

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

2. Existenţa a cel puţin 2 copii ale genei SMN2

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

\_ \_

3. Pacienţi cu AMS tip I b sau Ic |\_| DA |\_| NU

\_ \_

4. Consimţământ informat |\_| DA |\_| NU

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

\_ \_

1. Pacienţi fără confirmare genetică a bolii AMS |\_| DA |\_| NU

\_ \_

2. Pacienţi cu mai puţin de 2 copii SMN2 |\_| DA |\_| NU

\_ \_

3. Pacienţi cu AMS tip 0 |\_| DA |\_| NU

4. Pacienţi care necesită ventilaţie asistată invazivă permanentă (> 16 h/zi de ventilaţie continuă în ultimele > 21 zile, în absenţa unui episod acut reversibil sau traheostomiei) care nu este urmarea unui episod acut.

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

\_ \_

5. Situaţii clinice care pot împiedica puncţia lombară |\_| DA |\_| NU

**III. 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 calităţii vieţii pacientului.

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

3. Riscurile induse de administrarea intratecală a Nusinersen nu pun în pericol viaţa pacientului.

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

\_ \_

4. Nu îndeplineşte niciun criteriu de întrerupere. |\_| DA |\_| NU

**IV. Criterii de întrerupere a tratamentului\*\*):**

1. Scădere semnificativă a funcţiei motorii (măsurată cu Scala Hammersmith - HINE secţiunea 2) sau **respiratorie** înainte de administrarea celei de a VI-a doze sau ulterior, la evaluarea clinică.

\_

|\_|

2. **Nu se înregistrează nicio îmbunătăţire a funcţiei motorii** (pe scala HINE) la 18 luni de la iniţierea tratamentului.

\_

|\_|

3. Înregistrează **2 scăderi consecutive ale funcţiei motorii a pacientului** la 18 luni de la iniţierea tratamentului sau la evaluările de la fiecare 4 luni.

\_

|\_|

4. Pacientul prezintă **efecte adverse severe** asociate cu administrarea Nusinersen.

\_

|\_|

5. Starea clinică **pune în pericol viaţa pacientului** datorită riscurilor induse de administrarea intratecală.

\_

|\_|

\_

6. Reacţii adverse inacceptabile şi necontestabile |\_|

\_

7. Lipsa complianţei la tratament |\_|

\_

8. Decizia pacientului, cauza: ................................. |\_|

\_

9. Decizia medicului, cauza: ................................... |\_|

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

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

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

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

\_ \_

2. Existenţa a cel puţin 2 copii a genei SMN2 |\_| DA |\_| NU

\_ \_

3. Pacienţi simptomatici cu diagnostic de AMS tip II sau III |\_| DA |\_| NU

4. Scor </= 54 puncte la măsurarea funcţiei motorii cu ajutorul Scalei Hammersmith Functional Motor Scale - Expanded (HFMSE)

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

SAU

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

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

\_ \_

5. Consimţământ informat |\_| DA |\_| NU

6. Pacienţi 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 HFMSE

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

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

1. Pacienţi care necesită ventilaţie asistată invazivă permanentă. (> 16 h/zi de ventilaţie continuă în ultimele > 21 zile, în absenţa unui episod acut reversibil sau traheostomiei) care nu este urmarea unui episod acut

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

2. Situaţii clinice care pot împiedica puncţia lombară

3. Istoric de afecţiuni cerebrale sau medulare care ar putea interfera cu procedura puncţiei lombare sau cu circulaţia lichidului cefalo-rahidian

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

4. Pacienţi cu boală în stadii foarte avansate, cu scor >/= 47 pe scala Funcţională Egen Klassification versiunea 2 (EK2), care nu au beneficiu clinic

\_ \_

|\_| DA |\_| NU

**III. Criterii de continuare a tratamentului\*):**

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

\_

|\_|

2. Efectele adverse ale Nusinersen sau ale administrării intratecale nu produc o deteriorare a calităţii vieţii pacientului.

\_

|\_|

3. Riscurile induse de administrarea intratecală a Nusinersen nu pun în pericol viaţa pacientului.

\_

|\_|

\_

4. Nu îndeplineşte niciun criteriu de întrerupere. |\_|

**IV. Criterii de întrerupere a tratamentului\*\*):**

1. După 2 ani de la iniţierea tratamentului:

a. La pacienţii care **au** capacitatea de a merge nu se produce o îmbunătăţire de >/= 3 puncte pe scala HFMSE şi nu apare o creştere a distanţei parcurse la testul mersului 6 minute cu > 30 metri

\_

|\_|

b. La pacienţii care **nu au** capacitatea de a merge, nu se produce o îmbunătăţire de >/= 3 puncte pe scala HFMSE şi nu apare o creştere cu > 2 puncte pe scala membrelor superioare (Upper Limb Module Test - RULM)

\_

|\_|

2. La 36 luni de la începerea tratamentului se constată o deteriorare faţă de progresul funcţional obţinut la 2 ani.

\_

|\_|

3. În cazul deteriorării importante a funcţiei respiratorii, dacă este necesară instituirea ventilaţiei asistate permanente (> 16 h/zi ventilaţie continuă în absenţa unui episod acut reversibil sau traheostomia), fără existenţa unei cauze acute

\_

|\_|

4. Pacientul prezintă efecte adverse severe asociate cu administrarea Nusinersen.

\_

|\_|

5. Datorită stării clinice, riscurile induse de administrarea intratecală a Nusinersen pun în pericol viaţa pacientului.

\_

|\_|

6. Efectele adverse ale Nusinersen sau ale administrării intratecale produc o deteriorare a calităţii vieţii pacientului.

\_

|\_|

7. Lipsa complianţei la tratament prin neprezentarea la administrarea tratamentului în zilele programate, cu o întârziere de cel mult 7 zile pentru primele patru administrări şi 14 zile începând cu a 4-a administrare

\_

|\_|

\_

8. Decizia pacientului, cauza: ................................ |\_|

\_

9. Decizia medicului, cauza: .................................. |\_|

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

\_ \_ \_ \_ \_ \_ \_ \_

Data: |\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_|\_| Semnătura şi parafa medicului curant

Notă:

\*) Pentru includerea în tratament/continuarea tratamentului/excluderea din tratament pacienţii trebuie să

îndeplinească, cumulativ toate criteriile menţionate.

\*\*) Pentru întreruperea tratamentului pacienţii trebuie să îndeplinească cel puţin unul dintre criteriile menţionate.

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

ANEXA 6 \*1)

\*1) Anexa nr. 6 este reprodusă în facsimil.