

**FORMULAR PENTRU VERIFICAREA RESPECTĂRII CRITERIILOR DE ELIGIBILITATE
AFERENTE PROTOCOLULUI TERAPEUTIC DCI RISDIPLAMUM**- *atrofie musculară spinală* -**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:** **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"!

INDICAȚII: Risdiplam este indicat pentru tratamentul atrofiei musculare spinale 5q (atrofie musculară spinală /AMS) la pacienți cu un diagnostic clinic, confirmat genetic, de AMS tip 1, tip 2 sau tip 3, sau doar genetic (presimptomatici) cu una până la patru copii ale genei SMN2.

I.**I. CRITERII DE INCLUDERE ÎN TRATAMENT**

Se consideră eligibili pentru inițierea tratamentului cu risdiplam pacienții simptomatici (cu fenotip clinic AMS tip 1, tip 2, tip 3) sau presimptomatici care **îndeplinesc cumulativ următoarele criterii:**

- | | |
|--|-------|
| 1. confirmarea genetică a bolii prin prezența unei mutații (deleții) homozigote sau heterozigote compusă a genei 5q SMN1 | DA NU |
| 2. existența unui număr între 1 și 4 copii ale genei SMN2 | DA NU |
| 3. existența acordului informat al pacientului/reprezentanților lui legali. | DA NU |

NOTĂ: Decizia de tratament trebuie să se bazeze pe o evaluare individualizată, realizată de un specialist cu experiență în managementul pacienților cu AMS, cu privire la beneficiile tratamentului pentru pacienți, în raport cu riscurile potențiale ale tratamentului cu risdiplam. Evaluarea clinică inițială se va realiza în condiții de stare stabilă a pacientului, fără afecțiuni intercurrente, pentru a reflecta corect situația funcției motorii și respiratorii.

SAU UNUL DINTRE:

- | | |
|---|-------|
| 4. pacienți simptomatici/presimptomatici care au fost deja inițiați pe tratamentul cu risdiplam în alte centre și doresc să îl continue (de exemplu, în cadrul unor programe de acces precoce la tratament sau programe de tratament de ultimă instanță) | DA NU |
| 5. pacienți care au beneficiat de alte tratamente pentru AMS, pe care medicul curant a decis să le întrerupă din motive medicale, documentate (de ex.: răspuns terapeutic nesatisfăcător, reacții adverse, condiții anatomice dificile). Pacienții care îndeplinesc criteriile de inițiere a tratamentului cu risdiplam cu întreruperea celui cu nusinersen, din motive medicale, vor introduce tratamentul cu risdiplam la ~ 4 luni de la ultima injecție cu nusinersen. | DA NU |

II. CRITERII DE EXCLUDERE DIN TRATAMENT**Pacienți cu AMS Tip 1, Tip 2, Tip 3**

Nu se recomandă inițierea tratamentului cu risdiplam în oricare din următoarele situații:

- | | |
|---|-------|
| 1. pacienți cu mai mult de 4 copii ale genei SMN2 | DA NU |
| 2. pacienți care în momentul inițierii necesită ventilație asistată (invazivă sau noninvazivă) permanentă (> 16 h/zi de ventilație continuă în ultimele > 21 zile sau traheostomie, care nu sunt urmare a unui episod acut reversibil) și nu au fost inițiați în cadrul unor programe de acces precoce sau programe de tratament de ultimă instanță | DA NU |
| 3. hipersensibilitate cunoscută la substanța activă sau la oricare dintre excipienți | DA NU |

¹ Se încercuiesc criteriile care corespund situației clinico-biologice a pacientului la momentul completării formularului

4. pacienți care au primit terapie genică sau care primesc tratament cu nusinersen care nu a fost întrerupt din motive medicale DA NU

Se consideră eligibili pentru inițierea tratamentului cu risdiplam pacienții care îndeplinesc cumulativ criteriile de includere și excludere astfel:

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

II. Criteriile de excludere – NU la punctele 1-4.

III. CRITERII DE CONTINUARE A TRATAMENTULUI

1. Statusul bolii la data evaluării demonstrează beneficiul terapeutic DA NU
2. Starea clinică a pacientului permite continuarea tratamentului DA NU
3. Probele biologice permit continuarea tratamentului în condiții de siguranță. DA NU

Pentru continuare: pacienții îndeplinesc cumulativ toate criteriile de continuare: 1-3 DA

Notă: Monitorizarea tratamentului și criteriile de evaluare a eficacității terapeutice respectă precizările din protocolul terapeutic.

IV. CONTRAINDICAȚII

1. Hipersensibilitate la substanța activă sau la oricare dintre excipienți (lista excipienților se regăsește în rezumatul caracteristicilor produsului).

V. CRITERII DE ÎNTRERUPERE A TRATAMENTULUI

A. Generale:

1. Pacientul prezintă efecte adverse severe asociate cu administrarea risdiplam DA NU
2. Lipsa complianței la tratament prin nerespectarea regimului de administrare, întârzierea cu mai mult de 30 zile la programările de evaluare din centrele acreditate de management al patologiei AMS, cu excepția unor situații care pot fi documentate DA NU
3. Pacientul sau reprezentantul său legal (în cazul minorilor) nu mai dorește administrarea tratamentului și își retrage consimțământul. DA NU

B. Specifice

➤ Pacienți cu AMS Tip 1

Se va lua în considerare întreruperea tratamentului dacă la evaluarea clinică obiectivă efectuată după 24 luni de tratament se constată că apare o scădere semnificativă a funcției motorii (măsurată cu Scala HINE secțiunea 2) sau respiratorie (măsurată prin schimbări în suportul ventilator).

1. Se consideră semnificativă o scădere a funcției motorii sau pierderea unui punct la fiecare dintre criteriile motorii din Scala HINE - secțiunea 2 (controlul capului, răsucire, ședere, mers târât,

susținere în picioare, mers), cu excepția categoriei mișcare de pedalare, la care se consideră semnificativă pierderea a două puncte DA NU

2. Se consideră semnificativă o scădere a funcției respiratorii dacă este necesară instituirea ventilației asistate (invazivă sau noninvazivă) permanente (> 16 h/zi, > 21 de zile consecutive, ventilație continuă sau traheostomie, în absența unui episod acut reversibil). DA NU

➤ **Pacienți cu AMS Tip 2 sau Tip 3**

Se va lua în considerare întreruperea tratamentului dacă la evaluarea clinică obiectivă efectuată după 24 luni de tratament:

- 1) Se constată o scădere de > 3 puncte pe scala Hammersmith *Functional Motor Scale Expanded for SMA* (HFMSE).

- La pacienții care au capacitatea de a merge se va lua în considerare suplimentar dacă apare o scădere a distanței parcurse la testul mersului în 6 minute (6 MWT) de > 30 metri.
- La pacienții care nu au capacitatea de a merge, se va lua în considerare suplimentar, dacă apare o scădere cu > 2 puncte pe scala adresată membrilor superioare (RULM).

Testările cu cele două scale adiționale se vor face concomitent cu HFMSE.

DA NU

- 2) În cazul deteriorării importante a funcției respiratorii, dacă este necesară instituirea ventilației asistate (invazivă sau noninvazivă) permanente (> 16 h/zi ventilație, > 21 de zile consecutive continuă în absența unui episod acut reversibil sau traheostomia), fără existența unei cauze acute.

DA NU

Notă: Evaluarea pe baza scalelor menționate se va face de către medici/kinetoterapeuți cu experiență în utilizarea lor.

Pentru întrerupere: oricare criteriu de întrerupere DA.

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.