

LECZENIE CHORYCH NA RDZENIOWY ZANIK MIĘŚNI (ICD-10: G12.0, G12.1)

ZAKRES ŚWIADCZENIA GWARANTOWANEGO		
ŚWIADCZENIOBIORCY	SCHEMAT DAWKOWANIA LEKÓW W PROGRAMIE	BADANIA DIAGNOSTYCZNE WYKONYWANE W RAMACH PROGRAMU
Kwalifikacji i monitorowania skuteczności leczenia świadczeniobiorców w okresie pozostawania w programie, dokonuje Zespół Koordynujący ds. Leczenia Rdzeniowego Zaniku Mięśni, powoływany przez Prezesa Narodowego Funduszu Zdrowia. Program lekowy obejmuje terapie następującymi substancjami czynnymi: 1) onasemnogen abeparwówek; 2) nusinersen; 3) rysdyplam. Powyższych terapii nie należy traktować jako linii leczenia. 1. Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni z wykorzystaniem substancji czynnej onasemnogen abeparwówek 1.1. Kryteria kwalifikacji 1) pacjenci przedobjawowi i objawowi z rozpoznaniem rdzeniowego zaniku mięśni (SMA) 5q z bialleliczną mutacją genu SMN1 i z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2 badani w ramach Rządowego Programu Badań Przesiewowych Noworodków w Polsce lub prenatalnie w Polsce; 2) wiek do 6 miesięcy życia (<180 dni) w momencie podania leku;	1. Dawkowanie onasemnogenu abeparwóweku Dawkowanie onasemnogen abeparwówek oraz sposób modyfikacji dawkowania zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (aktualną na dzień wydania decyzji refundacyjnej). 2. Dawkowanie nusinersenu Dawkowanie nusinersenu oraz sposób modyfikacji dawkowania zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (aktualną na dzień wydania decyzji refundacyjnej). W przypadku pacjentów wymagających znieczulenia ogólnego do wykonania nakłucia lędźwiowego - znieczulenie ogólne zgodnie z obowiązującymi w ośrodku procedurami. W uzasadnionych klinicznie przypadkach dopuszcza się podanie nusinersenu dooponowo przez nakłucie podpotyliczne w przypadku kiedy podanie leku dooponowo drogą nakłucia lędźwiowego nie jest możliwe.	1. Badania przy kwalifikacji 1.1. Badania przy kwalifikacji do leczenia substancją czynną onasemnogen abeparwówek 1) badanie ogólnolekarskie; 2) badanie miana przeciwciał AAV9; 3) badanie czynności wątroby: AlAT, AspAT, bilirubina całkowita, GGTP; 4) morfologia krwi z rozmazem; 5) liczba płytek krwi; 6) stężenie troponiny I; 7) badanie genetyczne potwierdzające bialleliczną mutację genu SMN1; 8) badanie określające ilość kopii genu SMN2 z wykorzystaniem techniki MLPA lub innych specyficznych technik; 9) ocena zdolności połykania; 10) badanie zaburzeń nerwowo-mięśniowych w skali CHOP-INTEND; 11) ocena kamieni milowych rozwoju motorycznego w skali WHO; 12) określenie masy ciała pacjenta w stosunku do wieku z wykorzystaniem siatek centylowych;

3) zachowana zdolność połykania w ocenie lekarza kwalifikującego; 4) ocena w skali CHOP – INTEND powyżej 12 punktów w momencie podania leku; 5) posiadanie aktualnych informacji o szczepieniach obowiązkowych; 6) brak jakiegokolwiek wcześniejszego leczenia z powodu SMA, w tym: a) brak wcześniejszego leczenia z wykorzystaniem substancji czynnej nusinersen lub rysdyplam w ramach niniejszego programu lekowego; b) brak wcześniejszego leczenia SMA w ramach badań klinicznych; c) brak wcześniejszego leczenia SMA w ramach programów wczesnego dostępu; d) brak wcześniejszego leczenia SMA w ramach innego sposobu finansowania terapii; 7) świadoma zgoda rodziców lub opiekunów prawnych pacjenta na warunki programu lekowego oraz harmonogram wizyt. 8) brak przeciwwskazań określonych w punkcie 1.2. Powyższe kryteria muszą być spełnione łącznie. Kryteriów opisanych w punkcie 2 i 6 nie stosuje się w przypadku pacjentów leczonych nusinersenem lub rysdyplamem w ramach niniejszego programu po ustąpieniu przeciwwskazań do terapii onasemnogen abeparwówek opisanych w punkcie 1.2. (pierwotnie pacjent nie otrzymał onasemnogen abeparwówek ze względu na wystąpienie przeciwwskazań). Kryteriów opisanych w punkcie 1, 2 i 6 nie stosuje się w przypadku pacjentów przedobjawowych i objawowych z rozpoznaniem rdzeniowego zaniku mięśni (SMA) 5q z bialleliczną mutacją genu	3. Dawkowanie rysdyplamu Dawkowanie rysdyplamu oraz sposób modyfikacji dawkowania zgodnie z Charakterystyką Produktu Leczniczego (aktualną na dzień wydania decyzji refundacyjnej).	13) badanie stężenia kreatyniny i mocznika; 14) badanie poziomu hemoglobiny; 15) inne badania i konsultacje specjalistyczne o ile są wskazania, w tym: konsultacja gastrologa, konsultacja pulmonologa, EKG. 1.2. Badania przy kwalifikacji do leczenia substancją czynną nusinersen 1) badanie genetyczne potwierdzające delecję lub mutację genu SMN1; 2) badanie potwierdzające liczbę kopii genu SMN2; 3) badanie neurologiczne z oceną w skali CHOP-INTEND lub HINE, lub HFMSE - stosownie do wieku i typu SMA; 4) konsultacja rehabilitacyjna lub fizjoterapeutyczna oraz ustalenie planu rehabilitacji dla pacjenta; 5) badania biochemiczne, w tym oceniające funkcję wątroby, nerek (białkomocz) i układu krzepnięcia (koagulogram); 6) morfologia krwi z rozmazem; 7) konsultacja anestezyjologiczna - u pacjentów, którzy wymagają znieczulenia ogólnego; 8) konsultacja ortopedyczna – w zależności od stanu klinicznego pacjenta; 9) konsultacja gastroenterologiczna lub dietetyczna w zależności od stanu klinicznego pacjenta; 10) test ciążowy - u kobiet w wieku reprodukcyjnym. 1.3. Badania przy kwalifikacji do leczenia substancją czynną rysdyplam
--	--	--

SMN1 i z nie więcej niż 3 kopiami genu SMN2 urodzonych przed 1 września 2022 r. i leczonych od momentu diagnozy nusinersenem lub rysdyplamem w ramach niniejszego programu. W opinii lekarza prowadzącego pacjent ten ma prawidłowy stan odżywienia. Pacjenci, którzy zostali zakwalifikowani do leczenia SMA z wykorzystaniem substancji czynnej onasemnogen abeparwówek i otrzymali leczenie z wykorzystaniem substancji czynnej onasemnogen abeparwówek, przez wzgląd na brak dowodów naukowych przedstawianych w ramach procesów refundacyjnych w Polsce, nie mogą być włączeni do leczenia SMA z wykorzystaniem nusinersenu lub rysdyplamu finansowanego w ramach niniejszego programu lekowego. 1.2. Kryteria stanowiące przeciwwskazania do włączenia do programu 1) tracheostomia i konieczność stosowania wentylacji mechanicznej inwazyjnej lub konieczność nieinwazyjnego wspomagania wentylacji średnio ≥ 16 godzin dziennie przez 7 dni przed kwalifikacją do programu; 2) niewydolność oddechowa od urodzenia; 3) masa ciała mniejsza niż 2,6 kg lub większa niż 13,5 kg; 4) zaburzenia połykania wymagające karmienia z zastosowaniem sondy dożołądkowej lub gastrostomii odżywczej; 5) znana aktywna infekcja uniemożliwiająca zastosowanie terapii; 6) choroby współistniejące uniemożliwiające podanie leczenia w ocenie lekarza prowadzącego lub Zespołu Koordynującego; 7) nadwrażliwość na substancję czynną lub substancje pomocnicze leku, znana alergia lub nadwrażliwość na		1) badanie genetyczne potwierdzające delecję lub mutację genu SMN1; 2) badanie potwierdzające liczbę kopii genu SMN2; 3) badanie neurologiczne z oceną w skali CHOP-INTEND lub HINE, lub HFMSE - stosownie do wieku i typu SMA; 4) morfologia krwi z rozmazem; 5) badania biochemiczne, w tym oceniające funkcję wątroby (AlAT, AspAT, bilirubina); 6) konsultacja rehabilitacyjna lub fizjoterapeutyczna oraz ustalenie planu rehabilitacji dla pacjenta; 7) konsultacja ortopedyczna - w zależności od stanu klinicznego pacjenta; 8) konsultacja gastroenterologiczna lub dietetyczna w zależności od stanu klinicznego pacjenta; 9) test ciążowy wraz z oświadczeniem o stosowaniu skutecznej antykoncepcji w trakcie trwania terapii oraz przez 1 miesiąc po przyjęciu ostatniej dawki - u kobiet w wieku rozrodczym. 2. Monitorowanie leczenia 2.1. Monitorowanie leczenia z wykorzystaniem substancji czynnej onasemnogen abeparwówek 2.1.1. Ocena skuteczności leczenia 1) badanie neurologiczne i w skali funkcjonalnej odpowiedniej do wieku i stanu pacjenta po podaniu leku przeprowadza się w 3, 6, 9, 12, 15, 21, 24, 27, 36, 48 miesiącu po podaniu leku; 2) monitorowanie leczenia przez okres 48 miesięcy od podania leku z substancją czynną onasemnogen abeparwówek polega na ocenie kryteriów, które umożliwią ewentualne stwierdzenie braku skuteczności leczenia lub braku osiągnięcia kamieni milowych;
--	--	---

prednizolon lub inne glikokortykosteroidy lub ich substancje pomocnicze; 8) miano przeciwciał przeciwko adenowirusowi o serotypie 9 (AAV9) > 1:50 określone w teście ELISA - wynik uzyskany nie więcej niż 30 dni przed podaniem leku; 9) klinicznie istotne nieprawidłowe wartości laboratoryjne (gamma-glutamylotranspeptydaza [GGTP], ALAT i AspAT > 2 × GGN, bilirubina ≥ 2,0 mg/dl, kreatynina ≥ 1,0 mg/dl, hemoglobina [Hgb] < 8 lub > 18 g/dl; białe krwinki [WBC] > 20 000 na mm³), PLT poniżej 50 tys. w mm³ przed genową terapią zastępczą; 10) inne wymienione w Charakterystyce Produktu Leczniczego. 1.3. Zakończenie leczenia w programie Zakończenie leczenia w programie lekowym następuje w przypadku stwierdzenia przez Zespół Koordynujący braku skuteczności lub braku osiągnięcia kamieni milowych u pacjenta leczonego z wykorzystaniem substancji czynnej onasemnogen abeparwovek. Stwierdzenie braku skuteczności lub braku osiągnięcia kamieni milowych lekarz prowadzący musi udokumentować w SMPT. Zakończenie leczenia w programie lekowym musi zostać potwierdzone przez Zespół Koordynujący. 2. Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni z wykorzystaniem substancji czynnej nusinersen 2.1. Kryteria kwalifikacji 1) do leczenia nusinersenem kwalifikowani są przedobjawowi i objawowi pacjenci z rozpoznaniem rdzeniowego zaniku mięśni 5q potwierdzonego badaniem genetycznym lub pacjenci zdiagnozowani również w ramach Rządowego	3) jako brak skuteczności uznaje się: a) konieczność włączenia stałej wentylacji mechanicznej w okresie 48 miesięcy od dnia podania leku, rozumianej jako: – inwazyjna wentylacja poprzedzona wykonaniem zabiegu tracheostomii trwająca przez co najmniej 16 godzin dziennie, w sposób ciągły przez co najmniej 14 kolejnych dni (przy braku ostrej, odwracalnej choroby i z wyjątkiem wentylacji okołoperacyjnej), – stała wentylacja mechaniczna – należy udokumentować za pomocą 1 zdjęcia wykonanego w dniu stwierdzenia tego faktu oraz potwierdzić kodem ICD-9: 31.29 w dokumentacji medycznej pacjenta oraz w systemie rozliczeniowym NFZ. b) utratę uzyskanych kamieni milowych rozwoju motorycznego w okresie 48 miesięcy od podania leku. Uzyskane kamienie milowe rozwoju motorycznego należy rozumieć jako umiejętności zgodne z definicją WHO: samodzielne siedzenie, stanie bez podparcia, chodzenie bez podparcia, zdobyte w okresie przed podaniem leku oraz w dowolnym czasie po podaniu leku, a następnie utracone przez pacjenta w wyniku progresji choroby podstawowej (SMA). 4) jako brak osiągnięcia kamieni milowych rozwoju motorycznego (dotyczy pacjentów przedobjawowych) uznaje się: a) nieuzyskanie umiejętności siedzenia bez podparcia przez co najmniej 10 sekund w badaniu wykonanym metodą wg. WHO po osiągnięciu 12 miesiąca życia pacjenta i potwierdzone w ponownym badaniu przeprowadzonym po 15 miesiącu życia pacjenta.
---	--

Programu Badań Przesiewowych Noworodków w Polsce. 2) do leczenia nusinersenem kwalifikowani są pacjenci, którzy nie byli leczeni z wykorzystaniem substancji czynnej onasemnogen abeparwówek w ramach niniejszego programu lekowego; 3) 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 rdzeniowe zaniki mięśni 5q potwierdzone badaniem genetycznym oraz jednocześnie nie spełniali kryteriów wyłączenia z programu określonych w pkt 2.3. 4) w przypadku pacjentów, którzy wcześniej otrzymali leczenie onasemnogenem abeparwówkiem, rysdyplamem 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 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. Kryteria 1) i 2) muszą być spełnione łącznie. Do programu włącza się, bez konieczności ponownej kwalifikacji, w celu zapewnienia kontynuacji terapii: 1) pacjentów, którzy z powodu okoliczności niezwiązanych z brakiem skuteczności leczenia (np. uraz, zabieg operacyjny) spełnili kryterium wyłączenia z programu, a jednocześnie po ustaniu tych okoliczności wykazują poprawę.		b) nieuzyskanie umiejętności stania bez podparcia przez co najmniej 10 sekund w badaniu wykonanym metodą wg. WHO po osiągnięciu 20 miesiąca życia pacjenta i potwierdzone w ponownym badaniu przeprowadzonym po 23 miesiącu życia pacjenta. 2.1.2. Badania laboratoryjne 1) co tydzień przez pierwszy miesiąc po podaniu leku, a następnie co 2 tygodnie w drugim i trzecim miesiącu lub dłużej (do czasu powrotu parametrów do wartości początkowej): a) badanie aktywności aminotransferaz wątrobowych i poziom bilirubiny całkowitej; b) badanie liczby płytek krwi; c) stężenie troponiny I; d) inne badania i pomiary konieczne ze względu na stan zdrowia (np. ciśnienie tętnicze) w zależności od decyzji lekarza prowadzącego. 2.2. Monitorowanie leczenia z wykorzystaniem substancji czynnej nusinersen 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;
---	--	--

Zespół Koordynujący ds. Leczenia Rdzeniowego Zaniku Mięśni wskaże właściwą punktację wyjściową dla pacjenta w oparciu o wnioski o kontynuację terapii po przerwie w leczeniu zawierający: 1) opis dotychczasowych wyników leczenia, w tym daty włączenia i zakończenia terapii oraz daty ocen funkcjonalnych i ocen w odpowiednich skalach, 2) opis okoliczności, które mogłyby się przyczynić do ewentualnego pogorszenia stanu pacjenta. 2.2. Określenie czasu leczenia w programie Leczenie powinno być stosowane tak długo jak osiągana 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 osiągana jest skuteczność kliniczna oraz nie wystąpią kryteria wyłączenia. 2.3. 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:		6) badania biochemiczne, w tym oceniające funkcję wątroby, nerek (białkomocznica) 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; 2.3. Monitorowanie leczenia z wykorzystaniem substancji czynnej rysdyplam 1) badanie neurologiczne po 2 miesiącach, 6 miesiącach, a następnie co 6 miesięcy; 2) badanie w skali CHOP-INTEND lub HINE, lub HFMSE (stosownie do wieku i typu SMA) nie rzadziej niż co 6 miesięcy; 3) badania biochemiczne, w tym oceniające funkcję wątroby – po 2 miesiącach, 6 miesiącach, a następnie co 6 miesięcy; 4) morfologia krwi z rozmazem - po 2 miesiącach, 6 miesiącach, a następnie co 6 miesięcy; 5) ocena przez fizjoterapeutę wykonania planu rehabilitacji; 6) ocena gastroenterologa i/lub dietetyka w zależności od stanu pacjenta; 7) Ocena stanu odżywienia i wydolności oddechowej w zależności od stanu pacjenta, ale nie rzadziej niż raz do roku; 8) w przypadku pacjentek w wieku rozrodczym - test ciążowy co 6 miesięcy. 3. Monitorowanie programu 1) gromadzenie w dokumentacji medycznej pacjenta danych dotyczących monitorowania leczenia i każdorazowe ich
--	--	--

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: 6) nadwrażliwość na substancję czynną lub na którąkolwiek substancję pomocniczą; 7) przeciwwskazania do nakłucia lędźwiowego; 8) brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich ze strony świadczeniobiorcy lub jego prawnych opiekunów, w szczególności dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia. 3. Leczenie chorych na rdzeniowy zanik mięśni z wykorzystaniem substancji czynnej rysdyplam 3.1. Kryteria kwalifikacji 1) pacjenci wcześniej nie leczeni w ramach niniejszego programu lekowego: a) z klinicznym rozpoznaniem SMA typu 1, typu 2 lub typu 3 lub b) z bialleliczną mutacją genu SMN1 i posiadający od jednej do czterech kopii genu SMN2; 2) pacjenci uprzednio leczeni nusinersenem w ramach niniejszego programu lekowego: a) u których stwierdzono przeciwwskazania do terapii nusinersenem w trakcie leczenia nusinersenem,		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) w przypadku terapii z wykorzystaniem substancji czynnej onasemnogen abeparwówek przekazywanie za pośrednictwem rejestru SMPT danych dotyczących wskaźników skuteczności terapii: a) przeżycie (niewystąpienie zgonu), b) konieczności wykonania tracheostomii, c) konieczności stałej wentylacji, d) zależności od wspomagania wentylacji, e) osiągnięcie kamieni milowych, dotyczących etapów rozwojowych w zakresie funkcji motorycznych, f) utrata uzyskanych uprzednio kamieni milowych, g) wyniki testu zaburzeń nerwowo-mięśniowych (CHOP-INTEND) w stosunku do wartości przed podaniem leku, h) wymaganie wspomagania żywienia innego niż żywienie doustne. Dodatkowo, Świadczeniodawca zobowiązany jest do gromadzenia dokumentacji w formie nagrań wideo oraz zdjęć umożliwiających ocenę skuteczności terapii pacjenta. Nagranie wideo powinno zostać wykonane techniką cyfrową, w jakości HD (High Density) i obejmować okres wystarczający do oceny punktów służących do oceny braku skuteczności lub braku osiągnięcia kamieni milowych. Utratę uzyskanych kamieni milowych rozwoju ruchowego, należy udokumentować za pomocą nagrań wideo
---	--	---

lub b) których stan neurologiczny w czasie terapii nusinersenem uległ pogorszeniu według kryteriów wyłączenia z terapii nusinersenem - punkt 2.3.4 programu lekowego B.102.FM; lub c) u których występują wielokrotne (dwa lub więcej) objawy niepożądane nakłucia lędźwiowego wymagające interwencji medycznej; 3) w celu zapewnienia kontynuacji terapii do programu lekowego kwalifikowani są również pacjenci uprzednio leczeni rysdyplamem 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 pkt. 3.3; 4) do leczenia rysdyplamem kwalifikują się pacjenci, którzy nie byli leczeni z wykorzystaniem substancji czynnej onasemnogen abeparwówek w ramach niniejszego programu lekowego; Kryterium 4 musi być spełnione w każdym przypadku. W przypadku pacjentów, którzy wcześniej otrzymali leczenie onasemnogenem abeparwówką, nusinersenem 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 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.		przeprowadzonych w chwili uzyskania danego kamienia milowego oraz w momencie jego utraty z potwierdzeniem tego faktu po 3 miesiącach. Ponadto, Świadczeniodawca zapewni dostęp Zespołu Koordynującego ds. Leczenia Rdzeniowego Zaniku Mięśni do dokumentacji medycznej pacjentów leczonych z wykorzystaniem substancji czynnej onasemnogen abeparwówek objętych programem lekowym, w szczególności do zdjęć lub nagrań wideo dokumentujących badania wymagane do oceny skuteczności lub oceny kamieni milowych rozwoju motorycznego wymienionych w pkt 2.1.1. monitorowania leczenia z wykorzystaniem substancji czynnej onasemnogen abeparwówek. 4) przekazywanie informacji sprawozdawczo-rozliczeniowych do NFZ: informacje przekazuje się do NFZ w formie papierowej lub w formie elektronicznej, zgodnie z wymaganiami opublikowanymi przez NFZ.
---	--	--

Do programu włącza się, bez konieczności ponownej kwalifikacji, w celu zapewnienia kontynuacji terapii: 1) pacjentki wyłączone z programu w związku z ciążą, które w momencie wyłączenia spełniały kryteria pozostania w programie. 2) pacjentów, którzy z powodu okoliczności niezwiązanych z brakiem skuteczności leczenia (np. uraz, zabieg operacyjny) spełnili kryterium wyłączenia z programu, a jednocześnie po ustaniu tych okoliczności wykazują poprawę. Zespół Koordynujący ds. Leczenia Rdzeniowego Zaniku Mięśni wskaże właściwą punktację wyjściową dla pacjenta w oparciu o wnioski o kontynuację terapii po przerwie w leczeniu zawierający: 1) opis dotychczasowych wyników leczenia, w tym daty włączenia i zakończenia terapii oraz daty ocen funkcjonalnych i ocen w odpowiednich skalach, 2) opis okoliczności, które mogłyby się przyczynić do ewentualnego pogorszenia stanu pacjenta. 3.2. 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 rysdyplamem zależy od decyzji lekarza prowadzącego. Po 6 miesiącach 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.		
--	--	--

3.3. Kryteria wyłączenia z programu

- 1) 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 6 miesięcy
 - lub
 - b) HFMSE o więcej niż 2 punkty poniżej poziomu sprzed włączenia do terapii potwierdzone w dwóch kolejnych badaniach realizowanych co 6 miesięcy;
- 2) wystąpienie w trakcie trwania terapii któregośkolwiek z przeciwwskazań wymienionych w Charakterystyce Produktu Leczniczego;

W takim przypadku po uzyskaniu zgody Zespołu Koordynującego ds. Leczenia Rdzeniowego Zaniku Mięśni możliwa jest zmiana leczenia na nusinersen.
- 3) ciąża;
- 4) brak współpracy lub nieprzestrzeganie zaleceń lekarskich ze strony świadczeniobiorcy lub jego prawnych opiekunów, w szczególności dotyczących okresowych badań kontrolnych oceniających skuteczność i bezpieczeństwo leczenia.