

ZESPÓŁ KOORDYNACYJNY DS. LECZENIA RDZENIOWEGO ZANIKU MIĘŚNI

Instytut Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka
Seksja Koordynacji Zespołów Lekowych
ul. Al. Dzieci Polskich 20, 04-730 Warszawa

tel. (22) 815 77 79
e-mail: sma@ipczd.pl

Przewodnicząca Zespołu
prof. dr hab.n.med. Katarzyna Kotulska-Jóźwiak
Klinika Neurologii i Epileptologii
Instytut „Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka”
ul. Al. Dzieci Polskich 20, 04-730 Warszawa

tel. (22) 815 74 04
fax. (22) 815 74 02
e-mail: oddzial.neurologia@ipczd.pl

Warszawa, 29-09-2025r.

Informacja Zespołu Koordynującego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni o zmianach w programie B.102.

Zmiany wprowadzone od 1 października 2025 roku dotyczą zmian terapii z rysdyplamu na nusinersen i odwrotnie

Zgodnie z obowiązującą wersją programu lekowego B.102, możliwa jest **zmiana terapii** z rysdyplamu na nusinersen w następujących przypadkach:

1. Przeciwwskazania do terapii rysdyplamem stwierdzone w trakcie leczenia rysdyplamem - punkt 3.3.2 i 3 (kryteria wyłączenia z programu lekowego). Przykładem takiej sytuacji może być ciąża lub jej planowanie.
2. Pogorszenie stanu neurologicznego w czasie terapii rysdyplamem według kryteriów wyłączenia z terapii rysdyplamem – punkt 3.3.1 (kryteria wyłączenia z programu lekowego)
3. Nietolerancja leczenia rysdyplamem – punkt 2.1 (kryteria kwalifikacji do nusinersenu)

W przypadku wystąpienia wyżej wymienionych okoliczności należy zgłaszać je do Zespołu Koordynującego w celu uzyskania kwalifikacji do zmiany terapii z rysdyplamu na nusinersen.

Biorąc pod uwagę zapisy w programie lekowym B.102.FM, możliwa jest także **powrotna zmiana terapii** z rysdyplamu na nusinersen, o ile oczywiście nie spełnione były wcześniej kryteria nieskuteczności nusinersenu.

Oznacza to, że jeśli na przykład pacjentka z SMA, która była leczona nusinersenem, ale zmieniła lek na rysdyplam wskutek trudności w nakłuciach lędźwiowych planuje zajść w ciążę, może zmienić leczenie ponownie na nusinersen.

Zmiany terapii z nusinersen na rysdyplam są również możliwe pod warunkiem spełnienia co najmniej jednego z następujących warunków:

- 1) przeciwwskazania do terapii nusinersenem w trakcie leczenia nusinersenem,
- 2) pogorszenie stanu neurologicznego w czasie terapii nusinersenem według kryteriów wyłączenia z terapii nusinersenem - punkt 2.3.4 programu lekowego B.102.FM;
- 3) wielokrotne (dwa lub więcej) objawy niepożądane nakłucia lędźwiowego wymagające interwencji medycznej.

W takim przypadku należy pacjenta wyłączyć z programu lekowego i włączyć ponownie, wypełniając wniosek do Zespołu Koordynującego. We wniosku do Zespołu Koordynującego należy opisać stan kliniczny pacjenta i powody zmiany terapii.

U pacjentów leczonych wcześniej nusinersenem, u których nastąpiła zmiana leczenia na rysdyplam ze względu na przeciwwskazania względne lub przemijające do terapii nusinersenem, powrotna zmiana na nusinersen jest również możliwa. Należy opisać we wniosku do Zespołu Koordynującego stan kliniczny

pacjenta i powody związane ze zmianą powrotną do leczenia nusinersenem. Również w tym przypadku należy wyłączyć pacjenta z programu lekowego i na nowo zakwalifikować. Właściwą wyjściową punktacją w skali funkcjonalnej jest punktacja uzyskana bezpośrednio przed podaniem pierwszej dawki leku po ponownej kwalifikacji.

Jeśli jednak przyczyną zmiany terapii z nusinersenu na rysdyplam była nieskuteczność terapii dokanałowej, zmiana powrotna nie jest możliwa.