

## **ZESPÓŁ KOORDYNACYJNY DS. LECZENIA CHORYCH NA RDZENIOWY ZANIK MIĘŚNI**

Sekcja Koordynacji Zespołów Lekowych  
Instytut Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka  
Al. Dzieci Polskich 20; 04-730 Warszawa

Tel. (22) 815 77 79  
fax. (22) 815 77 99  
sma@ipczd.pl

Przewodnicząca Zespołu  
Klinika Neurologii i Epileptologii  
Instytut „Pomnik-Centrum Zdrowia Dziecka”  
Al. Dzieci Polskich 20, 04-730 Warszawa

Tel. (22) 815 74 04  
fax. (22) 815 74 02  
oddzial.neurologia@ipczd.pl

Warszawa, 28-11-2024r.

**Ministerstwo Zdrowia  
Departament Polityki  
Lekowej i Farmacji**

**Narodowy Fundusz Zdrowia  
Departament Gospodarki Lekami**

**Szpital realizujący Program Lekowy  
B.102.FM**

**Stanowisko Zespołu Koordynującego ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni w sprawie kryteriów zmiany terapii z nusinersenu na rysdyplam u pacjentów leczonych w ramach programu B.102.FM.**

Biorąc pod uwagę, że od 1 października 2024 roku w programie B.102.FM dopuszczalna jest zmiana terapii z nusinersenu na rysdyplam pod warunkiem spełnienia następujących kryteriów:

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

**Zespół Koordynacyjny ds. Leczenia Chorych na Rdzeniowy Zanik Mięśni rekomenduje, aby:**

**Ad. 1.** W razie wystąpienia przeciwwskazań do terapii nusinersenem zgłaszać je do Zespołu Koordynującego kierując się wcześniej obowiązującymi kryteriami (nieudane nakłucia, opinia ortopedy o niewykonalności nakłucia lędźwiowego, przeszkody anatomiczne). W takiej sytuacji należy ocenić, czy przeciwwskazania te są trwałe; trwałe przeciwwskazania stwarzają ryzyko braku możliwości powrotu do terapii nusinersenem w przyszłości.

**Ad. 2.** W przypadku stwierdzenia nieskuteczności terapii nusinersenem nie ma możliwości kontynuacji terapii ani ponownego włączenia pacjenta do tej terapii w ramach programu lekowego.

**Ad.3.** Za wymagające interwencji objawy niepożądane nakłucia lędźwiowego należy uznać te zdarzenia, które powodują:

- konieczność hospitalizacji pacjenta lub przedłużające się hospitalizacje związane z podaniem leku,
- objawy zapalenia/podrażnienia opon mózgowo-rdzeniowych,
- uszkodzenie lub podrażnienie więzadeł kręgosłupa, korzeni nerwowych wymagające podawania leków przeciwbólowych i przeciwzapalnych poza lekami podanymi w ramach znieczulenia do nakłucia lędźwiowego,
- objawowe krwawienie do płynu mózgowo-rdzeniowego,
- wyciek płynu mózgowo-rdzeniowego lub konieczność zaopatrzenia chirurgicznego miejsca nakłucia,
- stany pobudzenia wymagające podania leków uspokajających,
- konieczność podawania leku w znieczuleniu ogólnym,
- konieczność podawania leku pod kontrolą tomografii komputerowej.

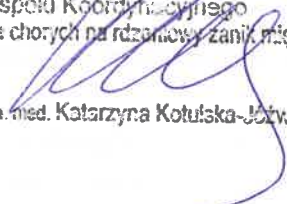
**Uwagi dodatkowe:**

- Wymagające interwencji działania niepożądane nakłucia lędźwiowego należy opisać we wniosku do Zespołu Koordynującego. Należy także podać, czy działania te trwale dyskwalifikują pacjenta z leczenia nusinersenem.

- W przypadku pacjentów, którzy w przeszłości przerwali terapię nusinersenem z powodu działań niepożądanych i obecnie nie są leczeni, a zgłaszają chęć powrotu do terapii, ale wyłącznie z zastosowaniem rysdyplamu, należy uzyskać informacje na temat zgłaszanych przez nich działań niepożądanych. W przypadku stwierdzenia, że spełniały one kryteria wymagających interwencji zdarzeń, należy je opisać we wniosku do Zespołu Koordynującego.

- Właściwą wyjściową punktacją w skali funkcjonalnej jest punktacja uzyskana bezpośrednio przed podaniem pierwszej dawki leku, a zatem u pacjentów zmieniających terapię nie jest to punktacja sprzed poprzedniej terapii.

- W razie stwierdzenia działań niepożądanych nusinersenu zgłaszać ich wystąpienie wraz z opisem klinicznym do Zespołu Koordynującego, ale również do URPL. Informacje te będą bardzo przydatne w ocenie skuteczności i bezpieczeństwa leczenia w programie.

PRZEWODNICZĄCA  
Zespołu Koordynacyjnego  
ds. leczenia chorych na rdzeniowy zanik mięśni  
  
prof. dr hab. n. med. Katarzyna Kotulska-Jóźwiak