

E	Campo obbligatorio ai fini dell'eleggibilità	SPINRAZA (nusinersen)_SMA
O	Campo obbligatorio	



Spinraza è indicato per il trattamento dell'atrofia muscolare spinale (Sma) 5q

1- Scheda Registrazione paziente (RP)

E	Età	..	nessun limite
---	-----	----	---------------

2- Scheda Eleggibilità e Dati Clinici (EDC)

Per l'individuazione del presunto fenotipo di SMA si faccia riferimento a:
1) Arnold WD, Kassar D, Kissel JT. Spinal muscular atrophy: diagnosis and management in a new therapeutic era. Muscle Nerve. 2015;51(2):157-67.
2) Mercuri E, Bertini E, Iannaccone ST. Childhood spinal muscular atrophy: controversies and challenges. Lancet Neurol. 2012;11(5):443-52.

E	Paziente con diagnosi geneticamente accertata di SMA 5q (mutazioni nel gene SMN1)	Si		
		No		
O	Disponibilità del numero di copie del gene paralogo SMN2	Si		
		No		

blocca

Se Sì, si apre la seguente domanda

O	Numero di copie del gene paralogo SMN2	0		
		1		
		2		
		3		
		4		
		>4		

blocca

E	Presunto fenotipo di SMA	tipo 0		
		tipo 1 (esordio prima dei 6 mesi) mai acquisito la posizione seduta		
		tipo 2 (esordio tra 7-18 mesi) ha acquisito la posizione seduta (anche se in passato e potrebbe averla persa)		
		tipo 3a (esordio tra i 18 mesi e prima del 3° anno di età) ha acquisito la deambulazione autonoma (anche se in passato e potrebbe averla persa)		
		tipo 3b (esordio dopo il 3° anno di età)		
tipo 4	blocca			

blocca

blocca

Caratteristiche della patologia		
<input type="radio"/>	Data esordio della patologia	.././....
<input type="radio"/>	Data della diagnosi	.././....
<input type="radio"/>	Paziente sintomatico	Si No
<input type="radio"/>	Età del paziente alla diagnosi	...
<input type="radio"/>	Paziente in grado di mantenere la posizione seduta?	Si No Non pertinente
<input type="radio"/>	Paziente deambulante?	Si No Non pertinente
<input type="radio"/>	Presenza di complicanze respiratorie?	Si No
Se si risponde Sì, si apre la seguente domanda:		
<input type="radio"/>	Paziente in ventilazione assistita?	Si No
In caso di paziente con diagnosi di Sma tipo 2, si aprono le seguenti domande		
<input type="radio"/>	E' stata eseguita la misurazione della capacità vitale forzata (FVC)?	Si No
Se si risponde Sì, si apre la seguente domanda:		
<input type="radio"/>	FVC	.. %
<input type="radio"/>	Test effettuato:	CHOP INTEND Motor milestones HINE, sez. 2 HFMSE
	Se indicato CHOP si apre la scala CHOP INTEND	...
	Scala CHOP-Intend (punteggio variabile da 0 a 4 in ciascun item)	editabile
		Score
<input type="radio"/>	1 Movimento spontaneo (estremità superiore)	
	2 Movimento spontaneo (estremità inferiore)	
	3 Capacità di impugnare (handgrip)	
	4 Capo mantenuto sulla linea mediana con stimolazione visiva	
	5 Adduzione delle anche	
	6 Rotolamento sollecitato dalle gambe	
	7 Rotolamento sollecitato dalle braccia	
	8 Flessione spalla e gomito e abduzione orizzontale (in decubito laterale)	
	9 Flessione spalla e flessione gomito (da seduto in grembo o sul tappeto con supporto per testa e tronco)	
	10 Estensione ginocchio da seduto in braccio (da seduto in grembo o sul tappeto con supporto per testa e tronco)	
	11 Flessione anca, dorsiflessione piede	
	12 Controllo del capo da seduto	
	13 Flessione gomito da supino - risposta alla trazione (v. item 14)	
	14 Flessione collo - risposta alla trazione (v. item 13)	
	15 Estensione capo/collo (Landau)	
	16 Inarcamento spinale (Galant)	
	Punteggio Totale:	.../64

campo in automatico data diagnosi-data di nascita

	Se indicato HFMSE si apre la scala HFMSE	...	<i>editabile</i>
	HFMSE (0, 1, 2 for each items)		
	Test item 1: Plinth /chair sitting	...	menù a tendina 0, 1 o 2
	Test item 1: Additional postural information	...	
	Test item 2: Long sitting	...	
	Test item 3: One hand to head in sitting	...	
	Test item 4: Two hands to head in sitting	...	
	Test item 5: Supine to side lying	...	
	Test item 6: Rolls prone to supine over R	...	
	Test item 7: Rolls prone to supine over L	...	
	Test item 8: Rolls supine to prone over R	...	
	Test item 9: Rolls supine to prone over L	...	
	Test item 10: Sitting to lying	...	
	Test item 11: Props on forearms	...	
	Test item 12: Lifts head from prone	...	
	Test item 13: Prop on extended arms	...	
	Test item 14: Lying to sitting	...	
	Test item 15: Four-point kneeling	...	
	Test item 16: Crawling	...	
	Test item 17: Lifts head from supine	...	
	Test item 18: Supported standing	...	
	Test item 19: Stand unsupported	...	
	Test item 20: Stepping	...	
	Item 21: Right hip flexion in supine	...	
	Item 22: Left hip flexion in supine	...	
	Item 23: High kneeling to right half kneel	...	
	Item 24: High kneeling to left half kneel	...	
	Item 25: High kneeling to standing, leading with left leg (through right half kneel)	...	
	Item 26: High kneeling to standing leading with right leg (through left half kneel)	...	
	Item 27: Stand to sitting on the floor	...	
	Item 28: Squat	...	
	Item 29: Jumps 12 inches forward	...	
	Item 30: Ascends 4 stairs with railing	...	
	Item 31: Descends 4 stairs with railing	...	
	Item 32: Ascends 4 stairs without arm support	...	
	Item 33: Descends 4 stairs without arm support	...	
	Total score		.../66

0

Solo nel caso di *Presunto fenotipo di SMA tipo 1* si apre la domanda sotto:

E	Paziente già sottoposto ad altri trattamenti farmacologici specifici per la SMA	Si	blocca
		No	
O	Paziente già in trattamento con nusinersen secondo l'indicazione autorizzata EMA e i criteri AIFA (DM 08 maggio 2003)?	Si	
		No	
Se Sì, si aprono le due seguenti domande			
O	Data inizio trattamento con nusinersen	.././....	giorno/mese/anno
O	Numero di somministrazioni effettuate	..	

3- Scheda Richiesta Farmaco (RF)

**Il trattamento con Spinraza deve essere iniziato esclusivamente da un medico esperto nella gestione dell'atrofia muscolare spinale (SMA).
La decisione di procedere con il trattamento deve basarsi su una esperta valutazione personalizzata sul singolo soggetto dei benefici attesi dal trattamento con Spinraza rispetto al suo potenziale rischio (vd paragrafo 4.2 RCP).**

Il trattamento con Spinraza deve essere iniziato non appena possibile dopo la diagnosi, con 4 dosi di carico ai Giorni 0, 14, 28 e 63. Successivamente, una dose di mantenimento deve essere somministrata una volta ogni 4 mesi.

Si prega di leggere attentamente il Riassunto delle Caratteristiche del Prodotto di SPINRAZA prima del suo utilizzo.

La durata delle RF1 e RF2 è di 14 giorni. La durata di RF3 è di 35 giorni. La durata delle successive RF è di 120 giorni.

testo fisso

<input type="radio"/>	Data richiesta farmaco	.././....	
<input type="radio"/>	Richiesta numero	1	il numero delle dosi è precompilato
<input type="radio"/>	Tipo di dose	dose di carico	max 4 RF. Compilata in automatico da RF1 a RF4
		dose di mantenimento	Compilata in automatico da RF5 in poi
<input type="radio"/>	Posologia richiesta	12 mg (5 ml)	
<input type="radio"/>	Dose/Die o Dose calcolata in base alla posologia		uguale a posologia richiesta
<input type="radio"/>	Dose totale (mg)	...	calcolo in automatico

Dalla RF2 in poi si aprono le domande sottostanti:

<input type="radio"/>	Ci sono state reazioni avverse al medicinale nel ciclo precedente?	Si No	link RNFV
<input type="radio"/>	Sono state verificate le condizioni riportate al paragrafo 4.3 e 4.4 di RCP?	Si No	blocca

4- Scheda Dispensazione Farmaco (DF)

	Lista AIC	Numero di confezioni	
<input type="radio"/>	045426018: flaconcino da 5 ml contenente nusinersen sodico equivalente a 12 mg di nusinersen	1	il numero delle confezioni è precompilato

5- Scheda Rivalutazione (RIV)

RV1 obbligatoria dopo la fine delle dosi di carico. RIV successive obbligatorie dopo ogni RF (4 mesi)

O	Data di RV	.../.../....	
O	Stato di malattia (secondo il giudizio del clinico)	migliorato	
		peggiorato	
		stabile	
O	Test effettuato:	CHOP INTEND	<i>in RIV1 Il sistema ripropone il test selezionato in EDC riportando i campi precompilati ma editabili. Da RIV2 in poi il sistema ripropone il test selezionato nel RIV precedente riportando i campi precompilati ma editabili. E' selezionabile comunque anche un altro test</i>
		Motor milestones HINE, sez. 2	
		HFMSE	
	Se indicato CHOP INTEND si apre la scala CHOP INTEND	...	
	Scala CHOP-Intend (punteggio variabile da 0 a 4 in ciascun item)		Score
	1	Movimento spontaneo (estremità superiore)	
	2	Movimento spontaneo (estremità inferiore)	
	3	Capacità di impugnare (handgrip)	
	4	Capo mantenuto sulla linea mediana con stimolazione visiva	
	5	Adduzione delle anche	
	6	Rotolamento sollecitato dalle gambe	
	7	Rotolamento sollecitato dalle braccia	
	8	Flessione spalla e gomito e abduzione orizzontale (in decubito laterale)	
	9	Flessione spalla e flessione gomito (da seduto in grembo o sul tappeto con supporto per testa e tronco)	
	10	Estensione ginocchio da seduto in braccio (da seduto in grembo o sul tappeto con supporto per testa e tronco)	
	11	Flessione anca, dorsiflessione piede	
	12	Controllo del capo da seduto	
	13	Flessione gomito da supino - risposta alla trazione (v. item 14)	
	14	Flessione collo - risposta alla trazione (v. item 13)	
	15	Estensione capo/collo (Landau)	
	16	Inarcamento spinale (Galant)	
		Punteggio Totale:	.../64
	Se indicato Motor milestones HINE, sez. 2 si apre la scala Motor milestones HINE, sez. 2	...	

HAMMERSMITH INFANT NEUROLOGICAL EXAMINATION, SECTION 2 (age 2-24 months)		
O	Motor milestone category	Milestone level progression and age [months] expected in healthy infants
	Voluntary grasp	No grasp
		Uses whole hand
		Index finger and thumb but immature grasp
		Pincer grasp
	Ability to kick (in supine position)	No kicking
		Kick horizontal, legs do not lift
		Upward (vertical) [3]
		Touches leg [4 to 5]
		Touches toes [5 to 6]
	Head control	Unable to maintain upright [< 3]
		Wobbles [4]
		All the time upright [5]
	Rolling	No rolling
		Rolling to side [4]
		Prone to supine [6]
		Supine to prone [7]
	Sitting	Cannot sit
		Sit with support at hips [4]
		Props self using arms [6]
		Stable sit [7]
		Pivots (rotates) [10]
	Crawling	Does not lift head
		On elbow [3]
		On outstretched hand [4-5]
		Crawling flat on abdomen [8]
		On hands and feet [10]
	Standing	Does not support weight
		Supports weight [4-5]
		Stands with support [8]
		Stands unaided [12]
	Walking	No walking
		Bouncing [6]
		Cruising (holding on) [11]
		Walking independently [15]
		Total

	Se indicato HFMSE si apre la scala HFMSE	...	
	HFMSE (0, 1, 2 for each items)		
	Test item 1: Plinth /chair sitting	...	menù a tendina 0, 1 o 2
	Test item 1: Additional postural information	...	
	Test item 2: Long sitting	...	
	Test item 3: One hand to head in sitting	...	
	Test item 4: Two hands to head in sitting	...	
	Test item 5: Supine to side lying	...	
	Test item 6: Rolls prone to supine over R	...	
	Test item 7: Rolls prone to supine over L	...	
	Test item 8: Rolls supine to prone over R	...	
	Test item 9: Rolls supine to prone over L	...	
	Test item 10: Sitting to lying	...	
	Test item 11: Props on forearms	...	
	Test item 12: Lifts head from prone	...	
	Test item 13: Prop on extended arms	...	
	Test item 14: Lying to sitting	...	
	Test item 15: Four-point kneeling	...	
	Test item 16: Crawling	...	
	Test item 17: Lifts head from supine	...	
	Test item 18: Supported standing	...	
	Test item 19: Stand unsupported	...	
	Test item 20: Stepping	...	
	Item 21: Right hip flexion in supine	...	
	Item 22: Left hip flexion in supine	...	
	Item 23: High kneeling to right half kneel	...	
	Item 24: High kneeling to left half kneel	...	
	Item 25: High kneeling to standing, leading with left leg (through right half kneel)	...	
	Item 26: High kneeling to standing leading with right leg (through left half kneel)	...	
	Item 27: Stand to sitting on the floor	...	
	Item 28: Squat	...	
	Item 29: Jumps 12 inches forward	...	
	Item 30: Ascends 4 stairs with railing	...	
	Item 31: Descends 4 stairs with railing	...	
	Item 32: Ascends 4 stairs without arm support	...	
	Item 33: Descends 4 stairs without arm support	...	
		Total score	../66
O	n° RF inserite prima di questa RIV	..	<i>dato in automatico</i>
E	Il paziente continua il trattamento	Si	
		No	<i>blocca e inserire FT</i>

6- Scheda Fine Trattamento (FT)

<input type="radio"/>	Data di FT	.././....	
<input type="radio"/>	Causa di Fine Trattamento	Decisione del genitore/caregiver/paziente	
		Passaggio ad altra terapia	
		Progressione di malattia	
		Decisione medica	
		Perso al follow up	
		Evento avverso grave	
		Complicanze legate alla procedura di somministrazione	
		Impossibilità a eseguire la procedura di somministrazione	
	<i>Decesso</i>		
<input type="radio"/>	Se Decesso, indicare il motivo:	<i>Progressione di malattia</i>	
		<i>Tossicità</i>	
		<i>Altro</i>	
<input type="radio"/>	Se Decesso, indicare la data del decesso:	.././....	
<input type="radio"/>	Stato di malattia (sulla base dei test effettuati e/o secondo il giudizio del clinico)	migliorato	
		peggiorato	
		stabile	
<input type="radio"/>	Test effettuato:	CHOP INTEND	
		Motor milestones HINE, sez. 2	
		HFMSE	
	Se indicato CHOP INTEND si apre la scala CHOP INTEND	...	<i>il sistema ripropone il test selezionato nell'ultima RIV riportando i campi precompilati ma editabili. Se non presente alcuna RIV, il sistema ripropone il test selezionato nella EDC riportando i campi precompilati ma editabili. E' selezionabile comunque anche un altro test</i>
	Se indicato Motor milestones HINE, sez. 2 si apre la scala Motor milestones HINE, sez. 2	...	
	Se indicato HFMSE si apre la scala HFMSE	...	
<input type="radio"/>	Ci sono state reazioni avverse al medicinale?	Sì No	

7- Scheda follow up (RIV post FT)

Rivalutazione a 1 mese dopo la fine trattamento

O	Data di RV	.././....	
O	Stato di malattia (secondo il giudizio clinico)	migliorato	
		peggiorato	
		stabile	
O	Test effettuato:	CHOP INTEND	
		Motor milestones HINE, sez. 2	
		HFMSE	
	Se indicato CHOP INTEND si apre la scala CHOP INTEND	...	
	Se indicato Motor milestones HINE, sez. 2 si apre la scala Motor milestones HINE, sez. 2	...	
	Se indicato HFMSE si apre la scala HFMSE	...	
O	n° RF inserite prima di questa RIV	..	<i>dato in automatico</i>