

## **DOPORUČENÉ PODMÍNKY POUŽITÍ – Od 5. 12. 2019**

LP s obsahem účinné látky NUSINERSEN (ATC skupina M09AX07; LP Spinraza) jsou indikovány pacientům do dovršení 19 let věku (18 let + 364 dní) v souladu s níže uvedenými doporučenými podmínkami použití.

### **Indikační kritéria léčby Nusinersenem, která jsou společná pro všechny typy SMA:**

- Geneticky potvrzená diagnóza 5qSMA (homozygotní delece či heterozygotní delece a mutace v genu SMN1).
- Stanovení počtu kopií SMN2 genu – průkaz minimálně 2 kopie.
- Zahájení léčby u všech symptomatických dětských pacientů bez rozdílu věku i typu SMA – SMA typ I, II, III.
- Klinické hodnocení léčby je nutné provádět před nasazením léčby, následně po 6 měsících léčby škálou CHOP INTEND, HFMSE a 6MWT - výběr škály dle tíže obtíží a věku pacienta.
- Ukončení léčby pouze v případech atypické rychlé progresy nemoci či v případě nespolupracující rodiny.

### **Indikační kritéria léčby Nusinersenem pro asymptomatické pacienty**

- Zahájení léčby u pacientů s geneticky potvrzenou vlohou pro 5q SMA s 2 či 3 kopiemi SMN2 genu.
- Klinické hodnocení léčby je nutné provádět před nasazením léčby, následně po 6 měsících léčby škálou CHOP INTEND, HFMSE, RULM či 6MWT - výběr škály dle tíže obtíží a věku pacienta.
- Ukončení léčby pouze v případech atypické rychlé progresy nemoci či v případě nespolupracující rodiny.

### **Vylučující kritéria léčby Nusinersenem, která platí pro všechny typy SMA:**

- Nemožnost provedení lumbální punkce.
- Symptomatická léčba, která neodpovídá mezinárodním standardům péče.
- Nespolupracující rodina pacienta – vždy zvažováno individuálně ošetřujícím lékařem.
- Jiné závažné interní onemocnění nesouvisející se základní diagnózou – vždy zvažováno individuálně ošetřujícím lékařem.