

## Formulario de solicitud de DOSIS POSTERIORES y SEGUIMIENTO de TRATAMIENTO de la ATROFIA MUSCULAR ESPINAL.

Fecha de solicitud : \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_

Nombre del paciente \_\_\_\_\_ C.I. \_\_\_\_\_

Edad: \_\_\_\_\_ años      Sexo:  Femenino  Masculino      Institución de origen \_\_\_\_\_

### Neuropediatra / Neurólogo solicitante:

Nº de caja profesional \_\_\_\_\_ C.I.: \_\_\_\_\_

Nombre \_\_\_\_\_ Firma \_\_\_\_\_

**Suspensión de tratamiento:**     NO     SI    Fecha: \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_ (Adjuntar informe médico)

Motivo:     Intolerancia/Efectos adversos     Abandono     Fallecimiento     Falta de respuesta  
 Otra: \_\_\_\_\_

**Cambio de tratamiento:**     No     Si (Adjuntar informe médico)

Droga que recibía:     Nusinersen     Risdiplam

Motivo de cambio:     Intolerancia a la droga/Efectos adversos  
 Fallo terapéutico  
 Otros. Especifique \_\_\_\_\_

**Tratamiento solicitado:**     Nusinersen     Risdiplam

Peso (kg): \_\_\_\_ . \_\_\_\_ (Solo para Risdiplam)

**Complicaciones del tratamiento:**     No     Si

**ASOCIADAS A PUNCION LUMBAR**     No     Si

- Hematoma subdural/epidural
- Radiculopatía
- Fistula LCR
- Infección SNC
- Síndrome post punción lumbar
- Otros. Esp. \_\_\_\_\_

**NEUROLOGICAS**     No     Si

- Cefalea
- Meningitis aséptica
- Hidrocefalia
- Otros. Esp. \_\_\_\_\_

**NEFROUROLOGICAS**     No     Si

- Proteinuria
- Otros. Esp. \_\_\_\_\_

**INFECCIOSAS**     No     Si

- Infección del tracto urinario
- Infección respiratoria baja
- Infección respiratoria alta
- Otras. Esp. \_\_\_\_\_

**TRANSITO DIGESTIVO**  No  Si

- Diarrea
- Vómitos
- Constipación
- Otros. Esp.: \_\_\_\_\_

**HEMATOLOGICAS**  No  Si

- Trombocitopenia
- Otros. Esp. \_\_\_\_\_

**HIPERSENSIBILIDAD**  No  Si

- Rash
- Angioedema
- Urticaria
- Otros. Esp. \_\_\_\_\_

**OTRAS**  No  Si

- Fiebre
- Ulceras bucales
- Artralgias
- Otras. Esp. \_\_\_\_\_

**Información del período en curso**

Alimentación:  Oral  SNG  Gastrostomía

Ventilación asistida:  No  Si

Fecha de inicio \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_

Invasiva  No invasiva

Número de horas/día: \_\_\_

Ingreso hospitalario:  No  Si Motivo:  Infección respiratoria baja

Otros. Especifique: \_\_\_\_\_

Requirió CTI:  Si  No

Fisioterapia respiratoria:  Si  No

Fisioterapia motora:  Si  No

Fonoaudiólogo:  Si  No

**Seguimiento primera dosis posterior:** (completar por **única** vez en la **primer** dosis posterior: Solo para los que recibieron dosis carga en la solicitud de tratamiento con Nusinersen o inicio de Risdiplam)

Informe médico reportando tolerancia al fármaco y evolución:  Si  No (Adjuntar documentación)

Paraclínica (solo para Nusinersen): (Adjuntar documentación)

Hemograma:  No  Si Fecha \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_  Normal  Alterado

Si alterado: Hb: \_\_, \_\_ g/dl Leucocitos: \_\_, \_\_ mil/mm<sup>3</sup> Linfocitos \_\_, \_\_ mil/mm<sup>3</sup>

Neutrófilos \_\_, \_\_ mil/mm<sup>3</sup> Plaquetas: \_\_\_\_\_ mil/mm<sup>3</sup>

Funcional Hepático:  No  Si Fecha \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_  Normal  Alterado

Si alterado: Bilirrubina total (mg/dl); \_\_, \_\_ GGT (UI/l) \_\_\_\_\_ Fosfatasa alcalina (UI/l) \_\_\_\_\_

TGP (UI/l) \_\_\_\_\_ TGO (UI/l) \_\_\_\_\_

Función renal:  No  Si Fecha \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_ Creatinina: \_\_, \_\_ mg/dl

Examen de orina:  No  Si  Normal  Alterado

Si alterado: Proteinuria:  Si  No Hemoglobina:  Si  No Leucocitos:  Si  No

Nitritos  Si  No Otros:  Si  No

Crisis:  No  Si Fecha \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_ Tiempo de protrombina (%): \_\_ KPTT(seg):\_\_

**Seguimiento semestral:**  No  Si

Informe médico de situación clínica (no es requerido incluir escalas motoras), tolerancia y adherencia al tratamiento:  No  Si (Adjuntar)

Hemograma:  No  Si Fecha \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_  Normal  Alterado

Si alterado: Hb: \_\_, \_\_ g/dl Leucocitos: \_\_, \_\_ mil/mm<sup>3</sup> Linfocitos \_\_, \_\_ mil/mm<sup>3</sup>

Neutrófilos \_\_, \_\_ mil/mm<sup>3</sup> Plaquetas: \_\_ mil/mm<sup>3</sup>

Funcional Hepático:  No  Si Fecha \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_  Normal  Alterado

Si alterado: Bilirrubina total (mg/dl); \_\_, \_\_ GGT (UI/l) \_\_ Fosfatasa alcalina (UI/l) \_\_

TGP (UI/l) \_\_ TGO (UI/l) \_\_

Función renal:  No  Si Fecha \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_ Creatinina: \_\_ mg/dl

Examen de orina (Solo para Nusinersen):  No  Si  Normal  Alterado

Si alterado: Proteinuria:  Si  No Hemoglobina:  Si  No Leucocitos:  Si  No

Nitritos  Si  No Otros:  Si  No

Crisis:  No  Si Fecha \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_ Tiempo de protrombina (%): \_\_ KPTT(seg):\_\_

**Seguimiento anual:**  No  Si

Informe médico respecto a situación clínica  No  Si (Adjuntar informe)

HINE-2 (Hammersmith infant neurological examination section 2):

No  Si Fecha \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_ Puntaje: \_\_/26 (niños entre 2-24 meses)

CHOP INTEND (Children's Hospital of Philadelphia infant test of neuromuscular disorders):

No  Si Fecha \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_ Puntaje: \_\_/64

HFMSE (Hammersmith functional motor scale-Expanded):

No  Si Fecha \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_ Puntaje: \_\_/66 (niños > 24 meses)

RULM (Revised upper limb module):

No  Si Fecha \_\_\_/\_\_\_/\_\_\_ Puntaje: \_\_/37 (niños > 30 meses)

6MWT (Prueba de marcha de 6 minutos):

No  Si Fecha \_\_/\_\_/\_\_ Distancia caminada (metros): \_\_\_\_\_

OMS Hitos de desarrollo motor- Actividades funcionales logradas Fecha \_\_/\_\_/\_\_

- Sentarse sin soporte
- Gateo
- Pararse con ayuda o apoyo
- Pararse solo
- Caminar con ayuda o apoyo
- Caminar solo

**Datos antropométricos**

Peso (kg): \_\_\_\_ , \_\_\_\_ Percentil (%): \_\_\_\_

Talla(cm): \_\_\_\_ Percentil (%): \_\_\_\_

**Interconsultas: (Adjuntar informes)**

Informe de fisiatra  Si  No

Informe de neumólogo  Si  No

Informe de fonoaudiólogo  Si  No

---

**Datos para el tratamiento propuesto:**

- Nusinersen dosis de mantenimiento 12 mg
- Risdiplam

---

**Consideraciones que juzgue relevantes:**  No  Si (Adjuntar informe médico)