



Instituto de Evaluación  
Tecnológica en Salud®

*Evidencia que promueve Confianza*

**Informe de socialización de los Lineamientos para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal (incluyendo el perfil de seguridad) dirigida a profesionales de la salud relacionados con la prescripción, manejo y seguimiento de pacientes con atrofia muscular espinal con indicación de uso de Nusinersen.**

**Diciembre de 2020**

El Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud - IETS, es una corporación sin ánimo de lucro, de participación mixta y de carácter privado, con patrimonio propio, creado según lo estipulado en la Ley 1438 de 2011. Su misión es contribuir al desarrollo de mejores políticas públicas y prácticas asistenciales en salud, mediante la producción de información basada en evidencia, a través de la evaluación de tecnologías en salud y guías de práctica clínica, con rigor técnico, independencia y participación. Sus miembros son el Ministerio de Salud y Protección Social, Ministerio de Ciencia, Tecnología e Innovación, el Instituto Nacional de Vigilancia de Medicamentos y Alimentos - INVIMA, el Instituto Nacional de Salud - INS, la Asociación Colombiana de Facultades de Medicina - ASCOFAME y la Asociación Colombiana de Sociedades Científicas - ACSC.

### **Autores**

Fuertes, Luis Fernando. Odontólogo, especialista en Cirugía Oral, especialista en Epidemiología, Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud – IETS.

Contreras-Arrieta, Sandra Isabel de Dios. MD. Esp. MsC. Epidemiología. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud – IETS

Pardo Cardozo, Nathalia. Médico, Especialista en Neuropediatría. Asociación Colombiana de Neurología Infantil- ASCONI.

Ruiz Ospina, Edicson. Médico, Especialista en Medicina Física y Rehabilitación. Instituto Roosevelt.

Reina Leal, Liliana Marcela. Enfermera, MSc. en Información y Comunicación Científica, PhD en Enfermería. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud – IETS.

Cortes-Muñoz, Ani Julieth. Bacterióloga y laboratorista clínica, MsC. Epidemiología. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud – IETS.

### **Entidad que solicita la evaluación**

Ministerio de Salud y Protección Social.

### **Fuentes de financiación**

Ministerio de Salud y Protección Social. Contrato 568 de 2020

### **Conflictos de interés**

Los autores declaran, bajo la metodología establecida por el Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud - IETS, que no existe ningún conflicto de interés invalidante de tipo financiero, intelectual, de pertenencia o familiar que pueda afectar el desarrollo de este Análisis de Impacto Presupuestal.

### **Declaración de independencia editorial**

El desarrollo de este análisis, así como sus conclusiones, se realizaron de manera independiente, transparente e imparcial por parte de los autores.

### **Derechos de autor**

Los derechos de propiedad intelectual del contenido de este documento son de propiedad del Ministerio de Salud y Protección Social. Lo anterior, sin perjuicio de los derechos morales y las citas y referencias bibliográficas enunciadas.

En consecuencia, constituirá violación a la normativa aplicable a los derechos de autor, y acarreará las sanciones civiles, comerciales y penales a que haya lugar, su modificación, copia, reproducción, fijación, transmisión, divulgación, publicación o similares, parcial o total, o el uso del contenido de este sin importar su propósito, sin que medie el consentimiento expreso y escrito del Ministerio de Salud y Protección Social.

### **Correspondencia**

Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud - IETS  
Carrera 49 A # 91-91  
Bogotá, D.C., Colombia.  
[www.iets.org.co](http://www.iets.org.co)  
[subdireccion.etes@iets.org.co](mailto:subdireccion.etes@iets.org.co)  
© Ministerio de Salud y Protección Social, 2020

## Contenido

1. Introducción.....	14
2. Objetivos y alcance.....	15
3. Metodología.....	16
3.1. Desarrollo de estrategia de socialización.....	16
3.2. Evaluación del proceso de socialización.....	17
3.3. Evaluación de estrategia de socialización.....	18
3.4. Encuesta de satisfacción.....	18
4. Resultados.....	19
4.1. Implementación de la estrategia.....	19
4.2. Evaluación de estrategia de socialización.....	21
4.3. Encuesta de satisfacción.....	24
5. Conclusiones.....	25
6. Referencias.....	26
7. Anexos.....	27
Anexo 1. Informe encuentro de participación 2.....	27
Anexo 2. Elementos gráficos y audiovisuales utilizados en la estrategia de socialización.....	26
Anexo 3. Instrumentos usados para evaluación pre- test y post-test.....	47
Anexo 4. Formato de encuesta de satisfacción usado en el proceso.....	52

## 1. Introducción

A finales del año 2019, el Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud (IETS) a través del contrato 727 de 2019 con el Ministerio de Salud y Protección Social (MSPS), generó el documento titulado *“Lineamientos para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal (incluyendo el perfil de seguridad)”* (1), como parte de una estrategia para establecer unos lineamientos claros para el uso del medicamento en el país.

El objetivo principal de los lineamientos, fue orientar la prescripción y el uso racional de Nusinersen para el manejo de pacientes con diagnóstico de Atrofia Muscular Espinal (AME) tipo I, II y III, los cuales se construyeron de acuerdo con la evidencia científica disponible y consenso con expertos (1).

Los aspectos abordados en el lineamiento estuvieron orientados a:

- Criterios para el tratamiento con Nusinersen
- Esquema de tratamiento
- Vías de administración del medicamento
- Especialidades médicas y ámbito hospitalario relacionado con la prescripción del medicamento
- Criterios que deben ser evaluados para el mantenimiento o suspensión de la terapia.

Para garantizar la idoneidad de los lineamientos un año después de su realización, se llevó a cabo una actualización de la evidencia a través de una revisión de la literatura, de manera que no se encontró evidencia que contradijera o cambiara los lineamientos, pero se enriquecieron algunos puntos que se deben evaluar más adelante, relacionados con el uso del Nusinersen en fases presintomáticas, el uso del medicamento en adolescentes y en adultos, el uso de herramientas imagenológicas para la administración del medicamento y la individualización de la técnica anestésica para la administración.

Con la elaboración de los lineamientos se tenía la necesidad de difundirlos a todos los interesados, a través de procesos de socialización; es así, como en una etapa previa se construyó una estrategia de socialización, la cual se encuentra en detalle en el documento *“Construcción de estrategia de socialización de los Lineamientos para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal (incluyendo el perfil de seguridad) dirigida a profesionales de la salud relacionados con la prescripción, manejo y seguimiento de pacientes con Atrofia Muscular Espinal tipo I, II y III con indicación de uso de Nusinersen”*.

Esta estrategia tuvo en cuenta los componentes participativos del Manual de Participación del IETS, los cuales tienen como base el reconocimiento de las diversas perspectivas y valores de los profesionales para contribuir a un ejercicio que derive en una mayor

aplicabilidad e impacto de los lineamientos (4). Este documento detalla el proceso de la aplicación de la estrategia de socialización construida previamente, dirigida a socializar el documento *“Lineamientos para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal (incluyendo el perfil de seguridad)”* a profesionales de la salud relacionados con la prescripción, manejo y seguimiento de pacientes con AME con indicación de uso de Nusinersen.

## 2. Objetivos y alcance

### 2.1. Objetivos generales

- Aplicar la estrategia participativa de comunicación y socialización del documento *“Construcción de estrategia de socialización de los Lineamientos para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal (incluyendo el perfil de seguridad) dirigida a profesionales de la salud relacionados con la prescripción, manejo y seguimiento de pacientes con Atrofia Muscular Espinal tipo I, II y III con indicación de uso de Nusinersen”*.
- Identificar los aspectos clave a difundir y socializar contenidos en el documento *“Lineamientos para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal (incluyendo el perfil de seguridad)”*, por parte de profesionales de salud.

#### 2.1.1. Objetivos específicos

- Identificar los criterios de inicio y suspensión del tratamiento establecido en los lineamientos.
- Reconocer las escalas de evaluación para los diferentes tipos de AME.
- Reconocer el esquema de tratamiento con Nusinersen descrito en los lineamientos.
- Identificar los aspectos de seguridad del uso del medicamento estipulados en el lineamiento.

### 2.2. Alcance

Determinar los resultados de la aplicación de la estrategia de socialización con profesionales de la salud y prescriptores, luego de la divulgación y socialización del contenido del documento *“Lineamientos para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal (incluyendo el perfil de seguridad)”*.

Población objeto: profesionales de la salud relacionados con la prescripción, manejo y seguimiento de pacientes con AME con indicación de uso de Nusinersen.

Ámbito: los servicios de medicina especializada que manejan casos de AME (neurología, neurología pediátrica, pediatría, fisiatría y rehabilitación y genética).

Esta socialización no incluyó:

- Indicaciones dirigidas a pacientes.
- Manejo de la AME con otras tecnologías en salud o intervenciones.
- Manejo de las complicaciones derivadas del tratamiento de la AME con Nusinersen.
- Aspectos de cobertura y financiación de tecnologías o servicios en salud.

### 3. Metodología

#### 3.1. Desarrollo de estrategia de socialización

Para el desarrollo de la estrategia, se siguieron los parámetros delimitados en el documento *“Construcción de estrategia de socialización de los Lineamientos para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal (incluyendo el perfil de seguridad) dirigida a profesionales de la salud relacionados con la prescripción, manejo y seguimiento de pacientes con Atrofia Muscular Espinal tipo I, II y III con indicación de uso de Nusinersen”* publicada por el Ministerio de Salud y Protección Social: “Cero papel” y dada la actual pandemia de COVID-19, con el fin de evitar contagios por fómites, las estrategias de comunicación se limitaron a aquellas que no requerían de impresión y las cuales se detallan en la sección de resultados de este documento.

Inicialmente, se contó con el equipo del IETS conformado por epidemiólogos, expertos clínicos, salubristas públicos, expertos en investigación cualitativa, diseñadores gráficos e ingenieros de sistemas, para la construcción de los insumos correspondientes como algoritmos de manejo, líneas de tiempo y video clips e infografías, así como todos los elementos gráficos necesarios para su presentación final en un webinar que contó con la asistencia de participantes correspondientes a la población objeto de la socialización. Adicionalmente, se realizó la demostración de una herramienta interactiva de desarrollo propio para calcular las fechas en las cuales los prescriptores deben administrar el Nusinersen a los pacientes. El detalle del proceso de participación para la realización del webinar se detalla en el **Anexo 1**.

Dentro del webinar, se aplicó una estrategia participativa, logrando que tanto el personal técnico del IETS (epidemiólogos), como los expertos clínicos, se apropiaran del proceso y lo transmitieran hacia el público. El detalle del material presentado en el webinar se muestra en el **Anexo 2**.

El webinar incluyó la socialización de los siguientes puntos:

- La presentación del equipo encargado de la socialización.
- El objetivo y alcance de la socialización.
- La metodología utilizada para la construcción de los lineamientos, incluyendo los métodos y las conclusiones del proceso de la actualización de la evidencia (de noviembre de 2019 a octubre de 2020).
- Los lineamientos en sí, siguiendo la estructura de preguntas orientadoras que se utilizó en la metodología. Este punto fue presentado por un experto clínico.
- Explicación de las escalas usadas para evaluar la función motora para el inicio y seguimiento de los pacientes con AME.
- La presentación de las líneas del tiempo y algoritmos a modo de resumen del lineamiento. Adicionalmente, se presentó un aplicativo diseñado por el IETS para facilitar la programación de la administración del Nusinersen, teniendo en cuenta las pautas del Lineamiento.
- La presentación de casos clínicos, provistos por los expertos, los cuales permitieron realizar la aplicación de los lineamientos previamente explicados en la práctica clínica del proceso de formulación del Nusinersen.

### 3.2. Evaluación del proceso de socialización

Dentro del webinar, se solicitó a los participantes el diligenciamiento de pruebas pre-test para determinar los conocimientos previos del tema, una prueba post test, para evaluar el aprendizaje obtenido durante el webinar y finalmente una encuesta de satisfacción, para evaluar el agrado del público receptor frente a todo el proceso. Los formularios y el contenido de las preguntas evaluadas en el pre-test y post-test se pueden encontrar en el **Anexo 3**.

Al tratarse de un evento participativo, se contó con la realización en vivo de preguntas por parte del público, las cuales fueron respondidas tanto de manera virtual como verbal por parte de los expertos clínicos y por el equipo del IETS de conformidad con los participantes.

**Tabla 1. Estrategia de socialización**

SOCIALIZACIÓN LINEAMIENTOS NURSINERSEN – ESTRATEGIA DE COMUNICACIÓN				
Herramientas	Temas	Actor	Objetivos	Actividades
Un árbol de decisiones sobre los criterios de inicio del tratamiento.	Criterios de inicio/suspensión de tratamiento	Prescriptores y actores de la industria farmacéutica, la subdirección de enfermedades no transmisibles del MSPS, el INS, y otros profesionales de	Ofrecer información que contribuya a la comprensión y apropiación del lineamiento en cuanto a los criterios clave en la toma de decisiones del especialista	- Reconocer que existe un núcleo de especialistas con formación e información actualizada sobre el lineamiento; sin embargo, los potenciales prescriptores y otros profesionales pueden no estar sensibilizados con respecto a la AME, sus manifestaciones clínicas, y tampoco con el tratamiento con Nusinersen. Por tanto, debe hacerse especial énfasis en los criterios de inicio/suspensión, así que los árboles de
Un árbol de decisiones sobre los criterios de suspensión del tratamiento.				



SOCIALIZACIÓN LINEAMIENTOS NURSINERSEN – ESTRATEGIA DE COMUNICACIÓN				
Un videoclip sobre los criterios de inicio /suspensión del tratamiento.		la salud terapeutas físicas, enfermería-.	- para el inicio/suspensión de tratamiento (especialmente en cuanto a la edad y las escalas de valoración funcional).	decisiones deben contar con información llamativa que invite al uso racional del medicamento.
Una línea de tiempo que refleje los hitos en la administración del tratamiento.				- Tener en cuenta que los especialistas comparten entre sí información, de manera que los tres temas deben socializarse en formatos que sean fácilmente accesibles para todos los profesionales potencialmente implicados en la atención de pacientes con AME y tratamiento con Nusinersen, de una manera tal que puedan compartirla entre ellos, especialmente en situaciones clínicas de urgencia.
Una infografía sobre los aspectos de seguridad del tratamiento (efectos adversos).	Hitos en el tratamiento		Orientar sobre las dosis y tiempos de administración del tratamiento, así como en los desenlaces clínicos esperados y en su evaluación.	- Aunque no estén explícitos en el lineamiento, para los potenciales prescriptores y otros profesionales, sería importante sensibilizar sobre la AME, su detección temprana y sus implicaciones en la atención/cuidado especialmente en la administración del medicamento, los desenlaces esperados, cómo determinar posibles efectos adversos e intervenir ante ellos.
Un videoclip sobre los aspectos de seguridad (eventos adversos).				
Un webinar que resuma los tres temas (de aquí podrían extraerse fragmentos para los videoclips)	Seguridad del tratamiento (Efectos adversos)		Proporcionar información sobre signos y síntomas clave que denoten que el paciente puede estar desarrollando un evento adverso.	
Las herramientas deben estar disponibles en formato digital de acceso rápido.				

### 3.3. Evaluación de estrategia de socialización

La metodología pre-test-post-test se utiliza como una forma cuasi experimental para cuantificar el cambio en conocimientos frente a un tema en específico posterior a una estrategia educativa. El pre-test se aplica a la población objetivo antes de la intervención para determinar un entendimiento inicial de los temas relacionados con los objetivos de aprendizaje y, se realiza luego de la aplicación de la estrategia educativa para determinar lo que se aprendió (5).

Las preguntas incluidas en el pre-test y post-test se relacionaron con las indicaciones y contraindicaciones para el inicio del tratamiento, los requerimientos institucionales del lugar idóneo donde se realice la administración del Nusinersen, la evaluación con las escalas funcionales de los pacientes con AME previa al inicio del tratamiento y durante el seguimiento de este, los momentos en los que se debe realizar la aplicación de las escalas funcionales para determinar la decisión de continuar con el medicamento, las pruebas de laboratorio para el seguimiento del tratamiento y la vigilancia de eventos adversos, las características del esquema de tratamiento y las indicaciones del registro sanitario expedido por el INVIMA.

Para la evaluación de la estrategia de socialización, se realizó un análisis descriptivo de los resultados en las pruebas pre-test y post-test y los cambios generados en los resultados del post-test respecto a los resultados del pre-test.

### 3.4. Encuesta de satisfacción

Para la evaluación del nivel de agrado del público asistente frente a la estrategia de socialización, se utilizó la estrategia de administración de una encuesta de satisfacción para evaluar la acogida de la estrategia con el propósito de continuar con un proceso de mejoramiento en miras a próximas socializaciones. El formulario usado para esta encuesta se detalla en el **Anexo 4**.

La encuesta incluyó preguntas tipo *Likert* tomando como medidas una escala de 1 a 5, siendo 1 la expresión “Muy en desacuerdo” y 5 “Completamente de acuerdo”, frente a afirmaciones relacionadas con las características de la socialización.

Los aspectos evaluados fueron:

- Contenido de la presentación:
  - Objetivos de la socialización.
  - Temas contenidos en el lineamiento.
  - Conocimiento con el que fueron abordados los temas expuestos.
  - Claridad en la explicación.
  - Utilidad de la información en la práctica clínica
- Presentación:
  - Interés despertado por el expositor en el público (empatía del presentador con el público, respuesta clara a preguntas realizadas por el público, uso lenguaje científico y claro).
  - Metodología utilizada.
  - Calidad de las ayudas audiovisuales.
  - Tema de la presentación con una secuencia lógica y agradable.,
  - Tiempo de la presentación,
  - Cumplimiento de horarios pactados para la socialización.
- Método de la presentación:
  - Pertinencia de los canales de educación utilizados,
  - Horario escogido para la presentación.
  - Uso de resultados y sugerencias administradas en el grupo focal realizado para la construcción de la estrategia.

## 4. Resultados

### 4.1. Implementación de la estrategia.

Teniendo en cuenta las conclusiones del documento *“Construcción de estrategia de socialización de los Lineamientos para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal (incluyendo el perfil de seguridad) dirigida a profesionales de la salud relacionados con la prescripción, manejo y seguimiento de*

*pacientes con Atrofia Muscular Espinal tipo I, II y III con indicación de uso de Nusinersen”, se realizaron las siguientes actividades:*

- Construcción de algoritmos para resumir lo establecido en los lineamientos. Se incluyeron tres algoritmos relacionados con el tratamiento con Nusinersen: un algoritmo general para el inicio de Nusinersen en AME tipo I, II y III, uno para el seguimiento y continuación del tratamiento con Nusinersen en AME tipo I y otro para el seguimiento y continuación del tratamiento con Nusinersen en AME tipo II y III. (**Anexo 2**).
- Video clip, narrado por experto, explicando los criterios de inicio y suspensión del tratamiento con Nusinersen y aspectos de seguridad. (**Anexo 2**).
- Dos líneas de tiempo explicando el seguimiento del manejo con Nusinersen, una para AME tipo I y una para AME tipo II y III. (**Anexo 2**).
- Dos infografías sobre los aspectos relacionados con el seguimiento del tratamiento con Nusinersen, incluyendo aspectos relacionados con seguridad y eventos adversos: una infografía para seguimiento de AME tipo I y otra para seguimiento de AME tipo II y III.
- Herramienta interactiva de la línea del tiempo para el planeamiento del manejo con Nusinersen, ajustado según los lineamientos socializados (Ver enlace adjunto en el **Anexo 2**).
- Un webinar en el que se incluyó todo el material gráfico y se realizó la socialización (Ver enlace del Webinar completo en el **Anexo 2**). La presentación utilizada en el webinar puede ser consultada en el **Anexo 2**.

El webinar para la socialización se realizó el día 01 de diciembre de 2020, contando con la participación de profesionales de la salud, dentro de los cuales se incluyeron neuropediatras, neurólogos, fisiatras, fisioterapeutas y genetistas.

El webinar fue presentado por dos epidemiólogos del equipo del IETS: para la *moderación y la presentación* de los aspectos metodológicos relacionados con la metodología utilizada para la construcción de los lineamientos y los *resultados del proceso de actualización de la evidencia*. Adicionalmente, se contó con la presencia de dos expertos clínicos, quienes explicaron los siguientes puntos:

- Generalidades
- Lineamientos y flujogramas
- Puntos clave acerca de los lineamientos
- Casos clínicos de manejo con Nusinersen en pacientes con AME

El informe de encuentro de participación 2 puede ser consultado en el **Anexo 1**.

Sobre el análisis cualitativo, del webinar llevado a cabo, cuya duración fue de una hora y 27 minutos,

se vio restringido por las características propias y el objetivo con el que fue desarrollado, dado que da un papel central a los expertos y a los demás participantes únicamente con la posibilidad de interacción a través del chat. Sin embargo, el análisis del contenido allí presentado permitió hacer mención a un tema principal dado por la información sobre asuntos críticos del tratamiento, que se relacionan con lo obtenido en el proceso participativo previo con especialistas para la construcción de la estrategia de socialización de los lineamientos.

Al respecto, se hizo visible que los profesionales con alguna competencia en el uso de Nusinersen han accedido a información científica que les condujo a preguntar sobre la fecha a partir de la cual se modifica la indicación de la edad, la emaciación y caquexia como contraindicación para el uso del medicamento no mencionada en los lineamientos. Cabe destacar que tienen inquietudes en cuanto a la evaluación funcional y su reporte tanto en historia clínica como a los aseguradores, la curva de aprendizaje en las escalas, el análisis del costo-beneficio de la mejora de los hitos motores y las implicaciones para el sistema de salud colombiano. En cuanto a esto, y aunque el alcance de lineamiento no incluye aspectos de cobertura y financiación de tecnologías o servicios en salud, una de las participantes menciona que las tecnologías empleadas en enfermedades huérfanas entran a presupuestos máximos a partir de la confirmación de la misma.

Respecto a la estrategia de comunicación, refieren la necesidad de que la continuidad del tratamiento en el algoritmo para las AME tipo I sea diferencial, teniendo en cuenta que es un grupo con mayor severidad y menor tiempo de evolución de la enfermedad. Además, señalan la importancia de contar con un vídeo sobre la aplicación de las escalas, lo cual podría contribuir a una mejor aplicación e interpretación de las mismas.

Finalmente, a partir de algunas preguntas realizadas por los participantes, la interacción permitió a los expertos enfatizar en que la formulación del medicamento debe estar respaldada por un equipo multidisciplinar, y que debe explicarse a la familia que el diagnóstico de AME implica una enfermedad crónica, con múltiples implicaciones, y que el tratamiento con Nusinersen no representa en si una posibilidad de curación.

#### **4.2. Evaluación de estrategia de socialización.**

La evaluación pre-test fue realizada por un total de 18 profesionales de la salud y/o prescriptores, los cuáles asistieron en representación de múltiples entidades de salud, incluyendo:

- Instituciones académicas superiores:
  - Universidad Nacional de Colombia (2 personas)
  - Universidad Militar Nueva Granada (1 persona)
  - Universidad del Rosario (1 persona)
  - Universidad de Antioquia (1 persona)

- Entidades prestadoras de servicios de salud e Instituciones prestadoras
  - Coomeva EPS (2 personas)
  - Famisanar EPS (1 persona)
  - Clínica Universidad de la Sabana (1 persona)
  - Instituto Roosevelt (1 persona)
  - CIASER ICESI (1 persona)
  - Club infantil Noel (Cali, Colombia)
  - Hospital Internacional de Colombia (1 persona)
- Sociedades científicas
  - Sociedad Colombiana de Pediatría (1 persona)
- Especialistas y personal en formación
  - Enfermera especialista en enfermedades neuromusculares (1 persona)
  - Estudiante de medicina física y rehabilitación (1 persona)

En cuanto a los campos de experticia, las respuestas variaron entre neuropediatría (6 personas), fisioterapia y rehabilitación (4 personas), otros (5 personas), genética (1 persona) neuropediatría y pediatría (1 persona). Dentro de las personas calificadas como otros, se encontraron dos auditores, un internista con formación en epidemiología, un químico farmacéutico y un estudiante de medicina física y rehabilitación.

Por otro lado, el post-test fue contestado por 9 participantes, lo cual corresponde al 50% de los que participaron en el pre-test.

En cuanto a las respuestas a las preguntas del pre-test, los resultados fueron los siguientes:

**Pregunta 1:** En Colombia, la institución que realice el manejo de pacientes con AME y que vaya a administrar el medicamento Nusinersen, debe contar con un protocolo de manejo de medicamentos de alto riesgo. Responda verdadero o falso.

El 94.4% (n=17) personas contestaron correctamente (verdadero), mientras que el 5.6% (n=1) contestó incorrectamente. En el post-test, el 100% (n=9) de los participantes contestaron correctamente.

**Pregunta 2:** Para evaluación funcional motora de un niño de 18 meses con AME tipo I, es posible utilizar la escala HINE 2 o el CHOP INTEND.

El 83.3% (n=15) de los participantes contestaron la opción correcta (verdadero), mientras que el 16.7% (n=3) contestaron incorrectamente. En el post-test, el 100% (n=9) contestaron correctamente.

**Pregunta 3:** ¿Cuál de las siguientes escalas puede ser usada para evaluar la capacidad funcional de una paciente con AME que aún preserve la capacidad de marcha?

El 77.8% (n=14) contestaron correctamente (6WMWT), mientras con el 11.1% (n=2) en CHOP INTEND 11.1% (n=2) HINE 2. Para el post-test, se mantuvieron los mismos resultados.

**Pregunta 4:** La primera evaluación para decidir si continuar el manejo con Nusinersen en un paciente con AME tipo I se realiza:

El 27.8% (n=5) contestaron correctamente (previo a la administración de la tercera dosis de mantenimiento, mientras que el 55.6% (n=10) contestaron al año del inicio del tratamiento y el 16.7% (n=3) contestaron luego de terminar la dosis de carga. En el post-test, el 88.9% contestaron correctamente, mientras que el 11.1% (n=1) contestó que luego de terminar las dosis de carga.

**Pregunta 5:** ¿Cuál de las siguientes es una prueba de monitoreo y seguimiento para el paciente en manejo con Nusinersen?

El 88.9% (n=16) contestaron correctamente (todas las anteriores), mientras que el 11.1% (n=2) contestaron pruebas de función renal y función hepática. En el post-test, el mismo porcentaje de participantes contestó correctamente (88.9%) mientras que una persona contestó cuadro hemático completo y tiempo de coagulación.

**Pregunta 6:** ¿Cuál es el rango de edad de los pacientes para realizar una valoración con la escala CHOP INTEND?

El 44.4% (n=8) de los participantes contestaron correctamente (de 2 meses a dos años), mientras que el 38.9% (n=7) contestaron de 4 meses a 4 años y el 16.7% (n=3) contestaron primeros meses de edad. En el post-test, el 100% de los participantes contestaron correctamente.

**Pregunta 7:** En pacientes con AME tipo II y III, la valoración para decir el mantenimiento o suspensión del tratamiento se hace en la cuarta dosis de mantenimiento, que equivale a la octava dosis desde el inicio del tratamiento. Conteste verdadero o falso.

El 61.1% (n=11) de los participantes contestaron correctamente, mientras que el 38.9% (n=7) contestaron falso. En el post-test, el 100% de los participantes contestaron correctamente.

**Pregunta 8:** El esquema de dosis de carga del Nusinersen, se realiza en los días:

El 88.9% (n=16) de los participantes contestó correctamente (0, 14, 28 y 63), mientras que el 11.1% (n=2) contestó incorrectamente. En el post-test, el 100% de los participantes contestaron correctamente.

**Pregunta 9:** De acuerdo con el registro sanitario de Nusinersen vigente en Colombia, es cierto que:

El 50% (n=9) de los participantes contestaron correctamente, mientras que el 27.4% (n=5) respondió que está indicado en AME en general antes de los 7 años y 22.2% (n=4) que el medicamento está indicado cuando tenga una escala funcional motora de Hammersmith de <10 y <54. En el post-test, el 77.7% (n=7) de los participantes, contestaron correctamente, mientras que el 22.2% (n=2) contestaron que el medicamento está indicado cuando tenga una escala funcional motora de Hammersmith de <10 y <54.

**Pregunta 10:** El Nusinersen está contraindicado en pacientes con AME tipo I, II o III con escoliosis severa, cirugía de fusión espinal o enfermedad del SNC o medula espinal.

El 33.3% (n=6) contestaron correctamente, mientras que el 66.7% (n=12) contestaron incorrectamente. En el post-test, el 22.2% (n=2) de los participantes contestaron correctamente, mientras que el 77.8% (n=7) contestaron incorrectamente.

El promedio de preguntas contestadas correctamente en el pre-test fue de 6.7 puntos, mientras que en el post-test fue de 8.4 preguntas correctas.

#### 4.3. Encuesta de satisfacción.

La encuesta de satisfacción fue respondida por 4 participantes, de los cuales la totalidad correspondió a representantes de EPS e IPS. Dos participantes declararon desempeñarse dentro del campo de la fisioterapia y rehabilitación y dos participantes fueron *otros* (un auditor y un residente de fisioterapia). Cada uno de los participantes expresó una razón diferente para su participación en la socialización: uno por actualización, otro por conocer el manejo de estos pacientes, otro por conocer el abordaje de la patología y uno por ampliar el conocimiento sobre la prescripción del Nusinersen en AME. En la Tabla 2. **Resultados encuesta de satisfacción** se describe el promedio de calificación para cada una de las preguntas realizadas en la encuesta. El promedio de calificación de todas las preguntas fue de 4 (correspondiente a de acuerdo).

**Tabla 2. Resultados encuesta de satisfacción**

Pregunta	Promedio de calificación
<b>Sobre el contenido de la presentación</b>	
Los objetivos de la socialización del lineamiento para uso de Nusinersen fueron claros desde el principio	4.25
Los temas del lineamiento de uso de Nusinersen fueron abordados con conocimiento	4.5



Pregunta	Promedio de calificación
Hubo claridad en cada uno de los temas abordados en la socialización	4.5
La información socializada es de utilidad para mi práctica clínica en el manejo de pacientes con AME	4.25
<b>Sobre la presentación</b>	
El presentador despertó el interés del auditorio	4.25
La metodología de presentación fue adecuada	4.5
Las ayudas audiovisuales fueron adecuadas	4.25
El tema de presentación lleva una secuencia lógica y agradable	4.5
El tiempo de la presentación fue adecuado	4
El presentador creó empatía con el auditorio	4
Las preguntas fueron resueltas con claridad	4
El lenguaje utilizado fue científico y claro	4.25
Se cumplieron los horarios planeados para la socialización	4
<b>Sobre el método de presentación</b>	
El canal de comunicación para la presentación fue adecuado	4.5
La hora de presentación se facilita al auditorio	4.5
Se tuvieron en cuenta los aspectos señalados y sugeridos en el grupo focal para la socialización de los lineamientos para profesionales de la salud	4

## 5. Conclusiones

A partir de la realización de la actividad de socialización del documento: “*Lineamientos para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal (incluyendo el perfil de seguridad)*” con los profesionales de salud y prescriptores, se concluye:

- La socialización de la estrategia contó con la participación de diversos actores del área de prescriptores y profesionales de la salud, incluyendo no solo clínicos, sino también representantes de Instituciones Prestadoras de Servicios en salud (área administrativa), sociedades científicas y estudiantes de las áreas clínicas interesadas.
- La realización de un grupo focal previo para la construcción de la estrategia permitió la integración de las necesidades y opiniones de la población objeto de la socialización de los lineamientos.



- Es necesario incentivar la participación de los asistentes en las pruebas pre-test y post-test, así como en la encuesta de satisfacción.
- Se requiere hacer claridad sobre las contraindicaciones del manejo con Nusinersen, debido a que los resultados del post-test muestran que no hubo claridad sobre el concepto que la escoliosis severa o cirugía de fusión espinal NO constituye una contraindicación absoluta para el tratamiento con el Nusinersen.
- Se logró un buen desempeño general con la socialización, sin embargo, de acuerdo a las respuestas, es posible mejorar con respecto al respeto al tiempo asignado para la actividad, la empatía creada por parte de los expositores con el público, la respuesta con claridad a las preguntas realizadas por los asistentes y el hecho de tener en cuenta los aspectos sugeridos durante el grupo focal para la realización de próximas socializaciones. Sin embargo, cabe resaltar que en todos los puntos evaluados no se obtuvo una calificación inferior a 4 (de acuerdo) en la encuesta de satisfacción.

## 6. Referencias

1. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud. Lineamientos para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal (incluyendo el perfil de seguridad). Colombia; 2019.
2. Ministerio de Salud y Protección Social. Plan Decenal de Salud Pública PDSP 2012-2021 Estrategia PASE a la Equidad en Salud. Lineamientos conceptuales. Lineamientos Conceptuales. 2014;291.
3. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud – IETS. Construcción de estrategia de socialización de los Lineamientos para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal (incluyendo el perfil de seguridad) dirigida a profesionales de la salud relacionados con la pre. Bogotá; 2020.
4. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud – IETS. Manual de Participación y Deliberación. 2014. 85 p.
5. Tan-Lei D, Zhu X. Pre-test–Posttest Designs. In: The SAGE Encyclopedia of Educational Research, Measurement, and Evaluation. 2455 Teller Road, Thousand Oaks, California 91320: SAGE Publications, Inc.; 2018.

## 7. Anexos

### Anexo 1. Informe encuentro de participación 2.

**informe de socialización del documento “lineamientos para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de nusinersen en atrofia muscular espinal (incluyendo el perfil de seguridad)” a prescriptores.**

#### 1. Introducción

La participación en salud, al ser interdependiente de la realización efectiva del derecho a la salud, permite a los diferentes actores sociales asumir la responsabilidad y el compromiso de hacer parte de las deliberaciones y discusiones sobre los problemas en salud que afectan a la comunidad (1). De manera específica, la participación en salud, al ser interdependiente de la realización efectiva del derecho a la salud, permite a los diferentes actores sociales asumir la responsabilidad y el compromiso de hacer parte de las deliberaciones y discusiones sobre los problemas en salud que afectan a la comunidad (1).

Dentro de los diferentes mecanismos y modalidades de participación existentes, la participación informativa permite la entrega de información sobre un asunto clave a un público objetivo determinado, a través de diversos medios y canales como por ejemplo, las conferencias virtuales, las páginas web, los correos electrónicos, las redes sociales, los boletines informativos y las encuestas (2). En este contexto, los procesos de socialización suelen ser la forma de participación informativa más común en la que se procura involucrar de forma amplia a los diversos actores interesados y a la ciudadanía en general (2).

Para el caso particular, y considerando el contexto actual, se identificó como un medio de socialización, la realización de una conferencia virtual o webinar dirigida a prescriptores, a través del/la cual se transmitiera la información relevante sobre los “Lineamientos de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal”.

Teniendo en cuenta lo anterior, el presente informe describe de manera sintética el proceso de gestión adelantado para el desarrollo del webinar dirigido a prescriptores, incluyendo la convocatoria realizada de los actores clave identificados, así como de las acciones de divulgación del webinar.

#### 2. Objetivo

Facilitar el desarrollo del webinar dirigido a prescriptores como un mecanismo de participación informativa para divulgar y socializar la información contenida en el documento titulado “*Lineamientos para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal (incluyendo el perfil de seguridad)*”.

### 3. Metodología

Todo proceso de gestión de espacios participativos, incluyendo los espacios de participación consultiva, comienza con la identificación de los actores clave conforme el objetivo del espacio y la temática. Para el caso particular, se identificaron las organizaciones y sociedades científicas claves por su relación con el tema y por su potencial en la divulgación de la información. Posterior a esta identificación, se procedió con la gestión de los espacios virtuales en los cuales se transmitiría la conferencia virtual. Con los enlaces de conexión de la plataforma Zoom y del canal del IETS en YouTube, se procedió con el diseño de una imagen de invitación que acompañaría la invitación al webinar.

Luego, se procedió con el envío de la convocatoria a los actores clave identificados, por medio de carta de invitación a través de correo electrónico (en esta carta, también se les pidió a las organizaciones la divulgación entre todos sus afiliados). Esta convocatoria, se acompañó de acciones divulgación en las redes sociales del IETS, así como por mensajes personalizados de WhatsApp. Estas acciones complementarias se realizan para los espacios participativos liderados por el Instituto, en tanto son herramientas que permiten llegar más fácil a los actores interesados.

A continuación, se describen las actividades adelantadas.

#### 3.1. Identificación de actores y convocatoria

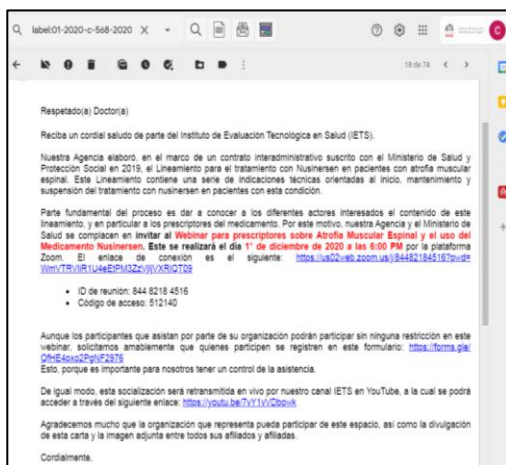
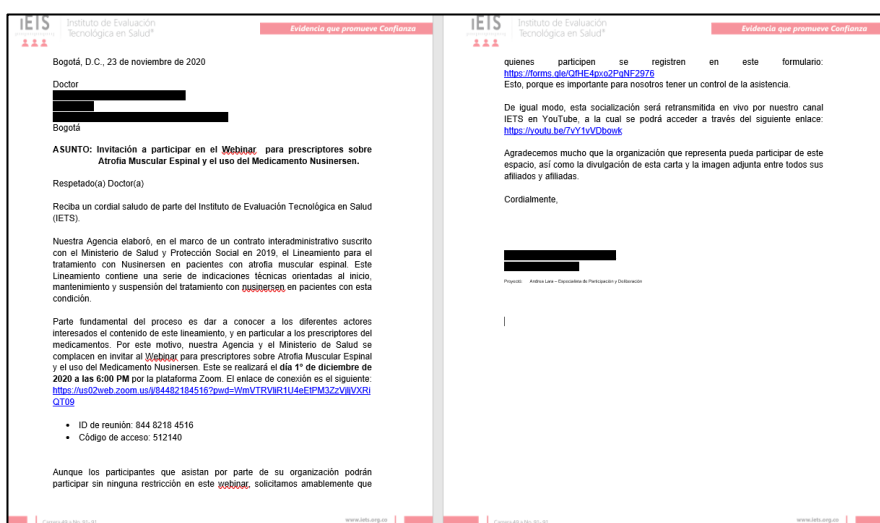
La convocatoria de participación se inició a partir de la definición las organizaciones clave en el proceso de socialización:

- Asociación Colombiana de Neurología Infantil
- Asociación Colombiana de Neurología
- Asociación Colombiana de Genética Humana
- Asociación Colombiana de Médicos Genetistas
- Asociación Colombiana de Medicina Física y Rehabilitación
- Sociedad Colombiana de Medicina Familiar
- Asociación Colombiana de Sociedades Científicas
- Colegio Colombiano de Terapia Ocupacional
- Asociación Colombiana de Facultades de Medicina
- Instituto de Ortopedia Infantil Roosevelt
- Fundación Valle de Lili
- Instituto de Genética Humana de la Pontificia Universidad Javeriana
- Universidad de Caldas

- Asociación de Laboratorios Farmacéuticos de Investigación y desarrollo (AFIDRO)
- Asociación Nacional de Empresarios de Colombia (ANDI)
- Asociación Colombiana de Empresas de Medicina Integral (ACEMI)
- Asociación de Empresas Gestoras del Aseguramiento en Salud (GestarSalud)
- Instituto Nacional de Salud
- Ministerio de Salud y Protección Social - Subdirección de Enfermedades No Transmisibles

A continuación, se relaciona un ejemplo de la convocatoria realizada:

### Ilustración 3. Ejemplo convocatoria.





Fuente: IETS, 2020

Esta convocatoria se acompañó de la siguiente imagen:

#### Ilustración 4. Imagen de convocatoria.



Vale precisar en este punto, que por seguridad de los procesos el IETS tomó la decisión de compartir los enlaces con las organizaciones identificadas y con actores individuales confirmados. Esto, como una medida de prevención y de protección de ataques virtuales.

También se divulgó en la cuenta de Twitter del IETS. A continuación, relacionamos un ejemplo de los mensajes divulgados:

#### Ilustración 5. Mensajes divulgados en Twitter.



Fuente: IETS, 2020

De igual manera, y considerando que al mismo tiempo se estaban llevando a cabo varias socializaciones sobre otros temas, se diseñó un folleto informativo para ser compartido por

WhatsApp a actores clave (ilustración 4), así como mensajes personalizados en WhatsApp, para motivar la convocatoria mediante la estrategia voz a voz (ilustración 5).

**Ilustración 6. Folleto informativo.**



**#SOCIALIZACIONESIETS**

**LINEAMIENTO PARA EL TRATAMIENTO CON NUSINERSEN EN PACIENTES CON ATROFIA MUSCULAR ESPINAL**

Se harán dos socializaciones virtuales, dirigidas a todos los actores interesados en el tema, fundamentalmente prescriptores, cuidadores e industria farmacéutica.

La primera socialización se realizará el día 1º de diciembre a las 4:00 PM y participarán pacientes y cuidadores.

La segunda socialización se realizará el día 1º de diciembre a las 6:00 PM y participarán prescriptores, especialistas clínicos e industria farmacéutica.

En estas socializaciones webinar se difundirá la información clave del Lineamiento para el tratamiento con Nusinersen en pacientes con atrofia muscular espinal.

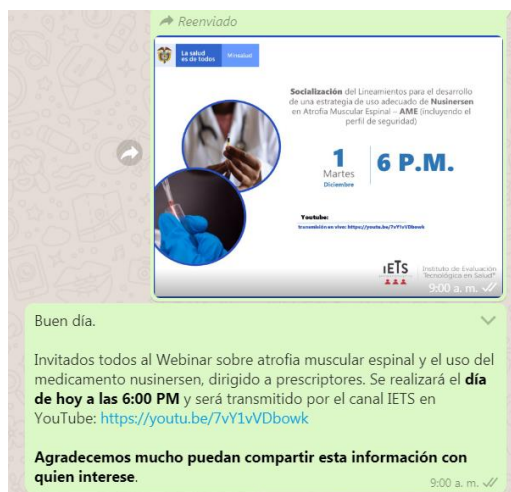
**Enlace de conexión:**  
<https://us02web.zoom.us/j/82745780274?pwd=MkxyYjROZkxmZUJyTXZ3OUJNWWGVMT09>

**Enlace de conexión:**  
<https://us02web.zoom.us/j/84482184516?pwd=WmVTRVlIRU4eEtPM3ZzVjIjVXRiQT09>

IETS Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud  
Evidencia que promueve Confianza

Fuente: IETS, 2020

**Ilustración 7. Ejemplo mensajes enviados por WhatsApp.**



Reenviado

La salud es de todos

**Socialización del Lineamiento para el desarrollo de una estrategia de uso adecuado de Nusinersen en Atrofia Muscular Espinal - AME (incluyendo el perfil de seguridad)**

**1 Martes** | **6 P.M.**  
Diciembre

**YouTube:**  
<https://youtu.be/7vY1vVDbowk>

IETS Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud  
9:00 a. m. ✓

Buen día.

Invitados todos al Webinar sobre atrofia muscular espinal y el uso del medicamento nusinersen, dirigido a prescriptores. Se realizará el **día de hoy a las 6:00 PM** y será transmitido por el canal IETS en YouTube: <https://youtu.be/7vY1vVDbowk>

Agradecemos mucho puedan compartir esta información con quien interese.

Fuente: IETS, 2020

### 3.2. Desarrollo del espacio participativo

Conforme a lo requerido por el grupo desarrollador, se llevó a cabo el webinar el día 01/12/2020, a las 6:00 PM, por la plataforma Zoom. Considerando las restricciones en cuanto al número de personas asistentes, se decidió usar la herramienta de transmisión en vivo por YouTube. Con esta acción, se buscó tener mayor audiencia, así como un alcance en el tiempo, en el sentido que esta transmisión queda disponible para la audiencia en el canal IETS en YouTube, y puede ser consultada en cualquier momento por cualquier ciudadano. En la descripción del video, además, se indicó el enlace en el cual la ciudadanía puede encontrar el contenido del Lineamiento completo.

Durante el desarrollo del espacio, y en aras de no agotar a los asistentes por los diferentes formularios que se debían responder a lo largo del webinar, el pre-test se usó como registro de asistencia (fue compartido tanto en Zoom como en YouTube). No obstante, el número de respuestas (18) no corresponde con el número de asistentes en Zoom y en YouTube. En Zoom, el número de asistentes fue de 26 personas, y en simultáneo por YouTube, fue de 25 personas. Posterior a este webinar, el número de visualizaciones<sup>1</sup> (a fecha de 3 de diciembre) es de 88, con un tiempo de visualización (en horas) de 34,7506, con 281 impresiones<sup>2</sup> y 5,69% de clic de las impresiones<sup>3</sup>.

A continuación, la lista de asistentes que registraron su asistencia:

**Tabla 8. Asistentes registrados.**

No.	Organización	Participante	Perfil
1	Clínica Infantil Club Noel Cali	José Manuel Cañón	Neuropediatra
2	Universidad Nacional de Colombia	Jairo Fernando Lasso Benavides	Fisiatría y rehabilitación
3	Hospital Internacional de Colombia	Norma Carolina Barajas	Pediatra Neuropediatra
4	Universidad Militar Nueva Granada	Sindy Bermejo	Neuropediatra
5	Cooomeva EPS	Juan Camilo García	Químico farmacéutico
6		Harold Alfredo Muñoz Trochez	Epidemiólogo y médico internista
7		Lina Vanessa Mesa	Médica auditora

<sup>1</sup> Se refiere a la cantidad total de veces que una persona decidió mirar el video, durante al menos 30 segundos (3).

<sup>2</sup> Se refiere a la cantidad de veces que el video se mostró a un cliente potencial (3).

<sup>3</sup> Este porcentaje corresponde a la cantidad de clics que recibe el video dividida por la cantidad de veces que este se muestra (4).



8	Universidad de Antioquia	Isabel Pareja	Neuropediatra
9	Clínica Universidad de la Sabana	Marvid Sol Duarte Moreno	Neuropediatra
10		Ivonne Carolina Escobar Urrego	Fisiatría y rehabilitación
11	Independiente	Edna Julieth Bobadilla	Neuropediatra Especialista en enfermedades neuromusculares
12	Famisanar EPS	Dubois Anacona Obando	Auditoría
13	Universidad Nacional de Colombia	Javier Rubio Delgado Martínez	Fisiatría y rehabilitación
14	Instituto Roosevelt	Sandra Castellar	Fisiatría y rehabilitación
15		Laura Natalya Florez Puentes	Residente medicina física y rehabilitación
16	Universidad El Rosario	Carolina Casas	Pediatra
17	Sociedad Colombiana de Pediatría	Blair Ortiz Giraldo	Neuropediatra
18	Universidad ICESI - CIACER (Centro de investigaciones en anomalías congénitas y enfermedades raras)	Felipe Ruiz Botero	Genética

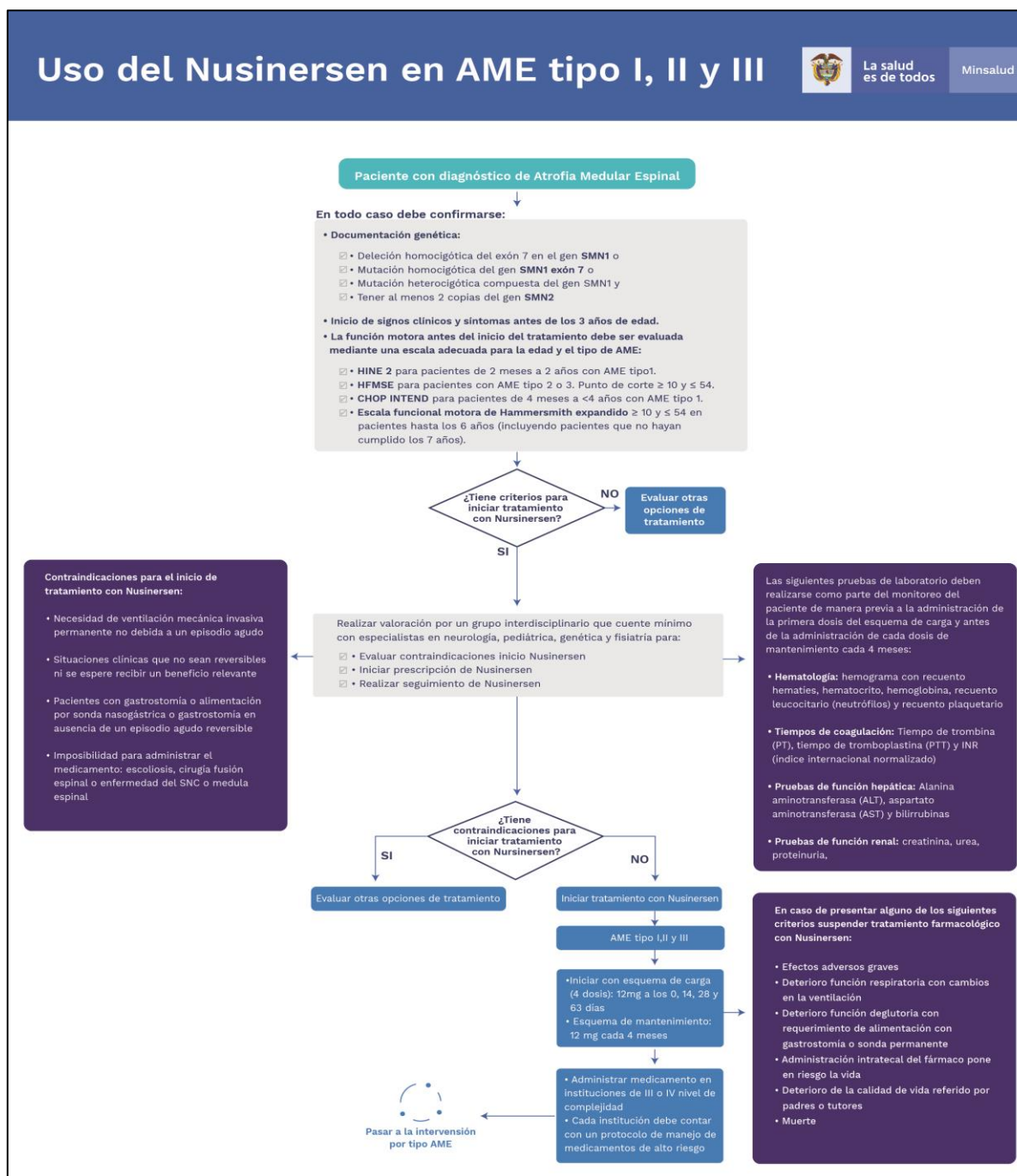
Fuente: IETS, 2020

#### 4. Referencias bibliográficas

1. Ministerio de Salud y Protección Social. Resolución 2063 de 2017, por medio de la cual se adopta la Política de Participación Social en Salud. 2017.
2. Instituto de Evaluación Tecnológica en Salud – IETS. Manual de Participación y Deliberación [Internet]. 2014. Disponible en: <http://www.iets.org.co/Archivos/65/Manual Participacion.pdf>
3. YouTube Ads. La guía para principiantes sobre las métricas y las estadísticas de los anuncios de video. Disponible en: <https://www.youtube.com/intl/es-419/ads/resources/beginners-guide-to-video-insights-metrics/>
4. Creator Academy. Analiza el alcance de tus vídeos en YouTube. 2020. Disponible en: <https://creatoracademy.youtube.com/page/lesson/analytics-impressions?hl=es#strategies-zippy-link-3>

## Anexo 2. Elementos gráficos y audiovisuales utilizados en la estrategia de socialización

### Algoritmos

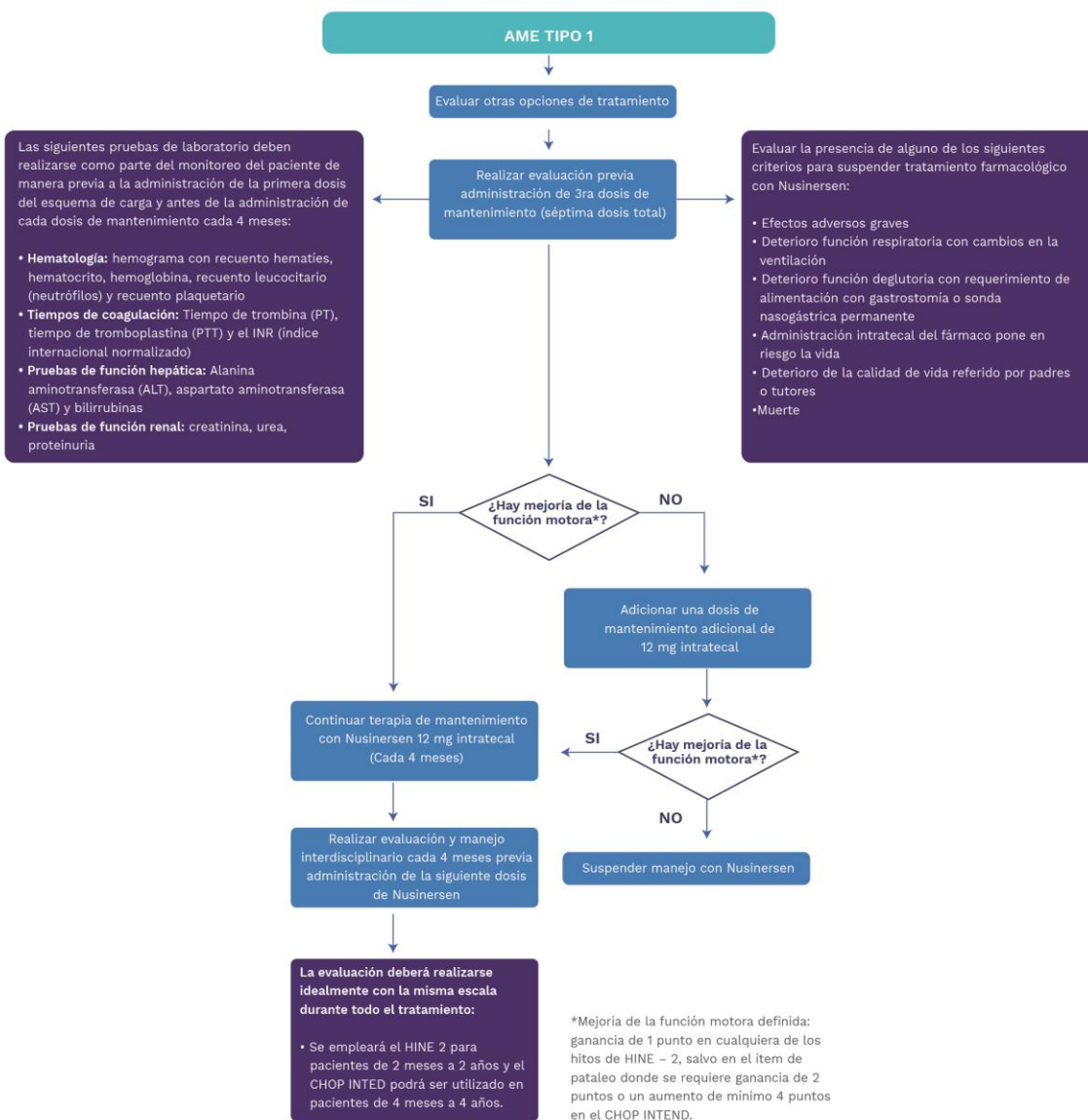


## Seguimiento del manejo con Nusinersen en AME tipo I



La salud  
es de todos

Minsalud

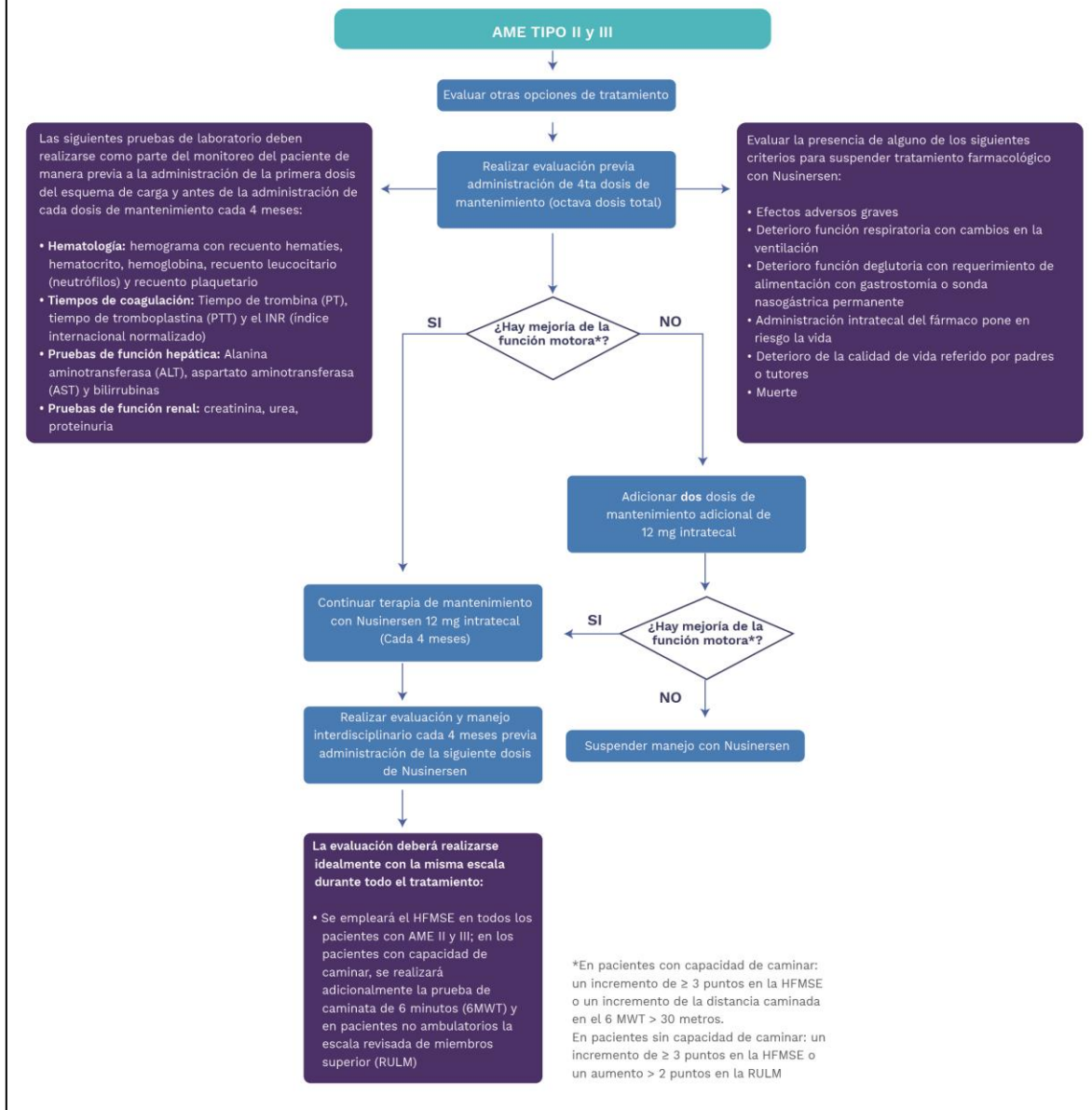


## Seguimiento del manejo con Nusinersen en AME tipo II y III



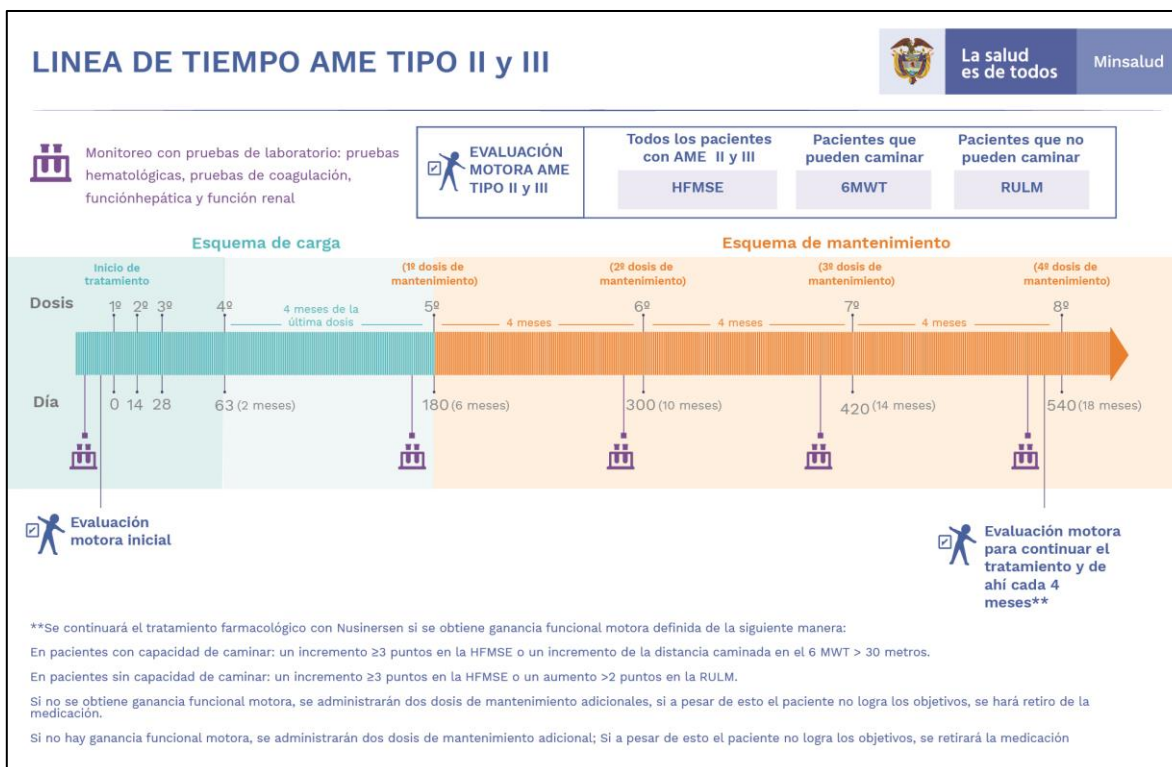
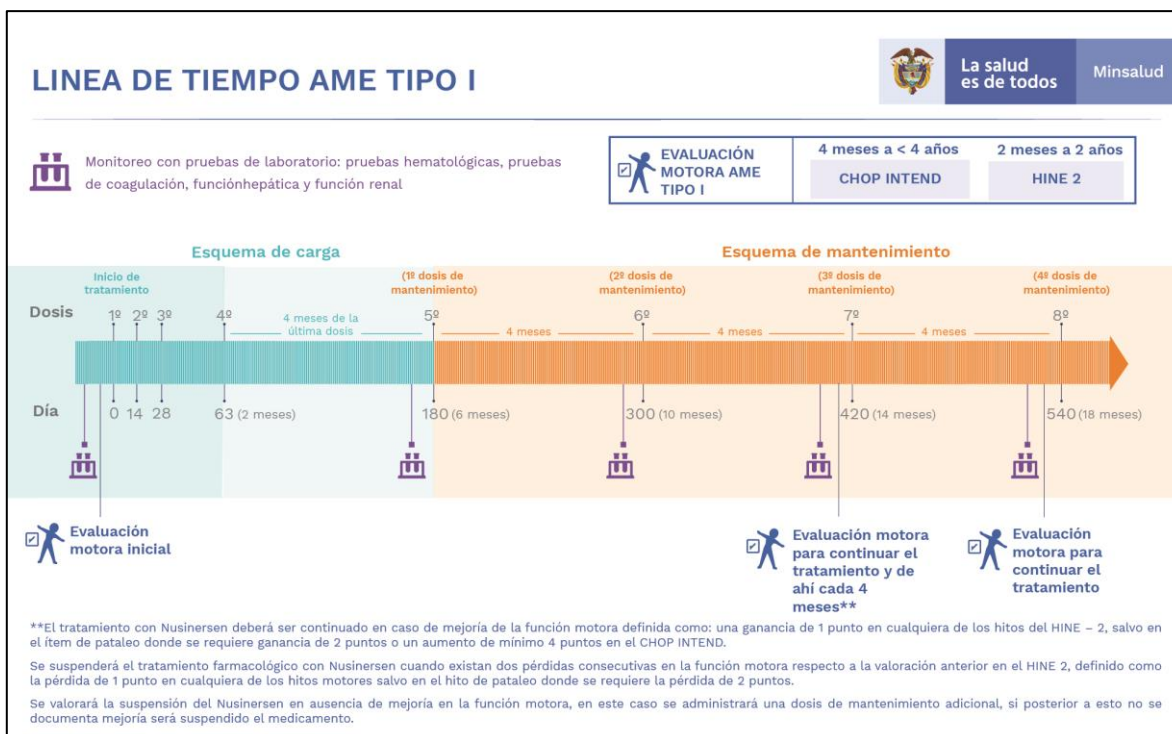
La salud  
es de todos

Minsalud

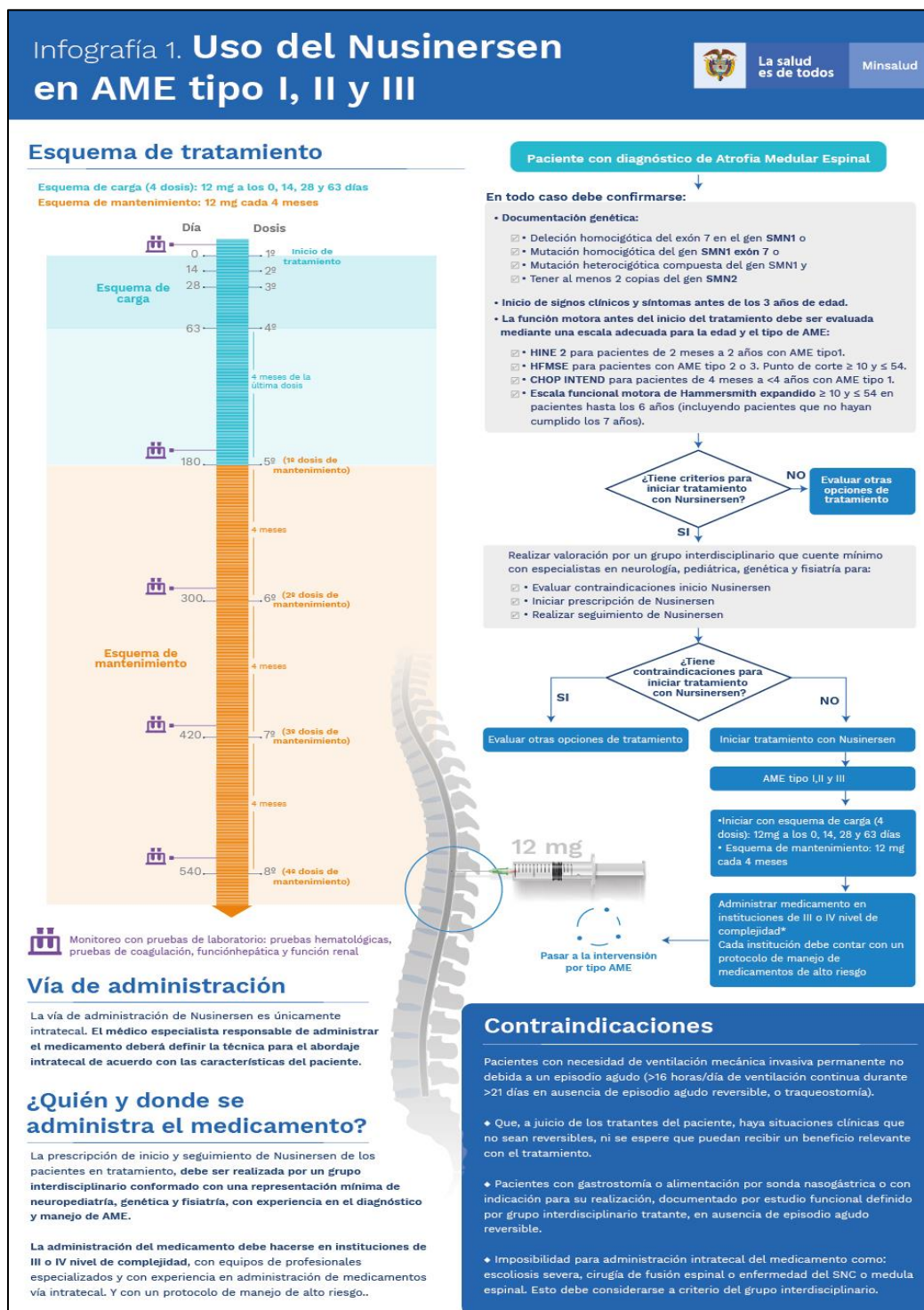




## Líneas de tiempo



## Infografías



## Infografía 2. Seguimiento del manejo con Nusinersen en AME tipo I



La salud  
es de todos

Minsalud

### Continuación del tratamiento

La evaluación para determinar el mantenimiento o retiro del tratamiento, debe realizarse de manera previa a la administración de la tercera dosis de mantenimiento, equivalente a la séptima dosis total desde el inicio del tratamiento, y a partir de este momento en la valoración clínica que se realiza cada 4 meses previa a la administración del Nusinersen:

- La evaluación deberá realizarse idealmente con la misma escala durante todo el tratamiento, en caso de ser necesario su cambio, se registrará el resultado final de la escala inicial de manera simultánea a la primera lectura de la nueva escala.
- El tratamiento con Nusinersen deberá ser continuado en caso de mejoría de la función motora definida como: una ganancia de 1 punto en cualquiera de los hitos del HINE - 2, salvo en el ítem de pataleo donde se requiere ganancia de 2 puntos o un aumento de mínimo 4 puntos en el CHOP INTEND.
- Se suspenderá el tratamiento farmacológico con Nusinersen cuando existan dos pérdidas consecutivas en la función motora respecto a la valoración anterior en el HINE 2, definido como la pérdida de 1 punto en cualquiera de los hitos motores salvo en el hito de pataleo donde se requiere la pérdida de 2 puntos.
- Se valorará la suspensión del Nusinersen en ausencia de mejoría en la función motora, en este caso se administrará una dosis de mantenimiento adicional, si posterior a esto no se documenta mejoría será suspendido el medicamento.

### Monitoreo del tratamiento



**Pruebas hematológicas:** hemograma con recuento hemáticas, hematocrito, hemoglobina, recuento leucocitario (neutrófilos) y recuento plaquetario.



**Tiempos de coagulación:** Tiempo de trombina (PT), tiempo de tromboplastina (PTT) y el INR (índice internacional normalizado).



**Pruebas de función hepática:** Alanino amino transferasa (ALT), aspartato aminotransferasa (AST) y bilirrubinas.



**Pruebas de función renal:** creatinina, nitrógeno ureico, proteinuria.

### Suspensión del tratamiento

- Muerte.
- Efectos adversos graves asociados a la administración del medicamento.
- Si los padres o tutores consideran que la progresión de la discapacidad, o los efectos adversos del procedimiento de administración de Nusinersen, o los efectos secundarios del fármaco, producen un deterioro de la calidad de vida del paciente que sobrepasa a los beneficios obtenidos.
- Si el equipo médico considera que la administración intratecal del fármaco pone en riesgo la vida del paciente.
- Deterioro de la función respiratoria medida como cambios en la ventilación: instauración de ventilación permanente (>16 horas/día de ventilación continua durante >21 días, en ausencia de episodio agudo reversible o traqueostomía).
- Deterioro de la función deglutoria con requerimiento de alimentación por gastrostomía o sonda nasogástrica permanente, determinado por estudio funcional deglutorio a criterio de grupo interdisciplinario, en ausencia de episodio agudo reversible.

### LINEA DE TIEMPO AME TIPO I



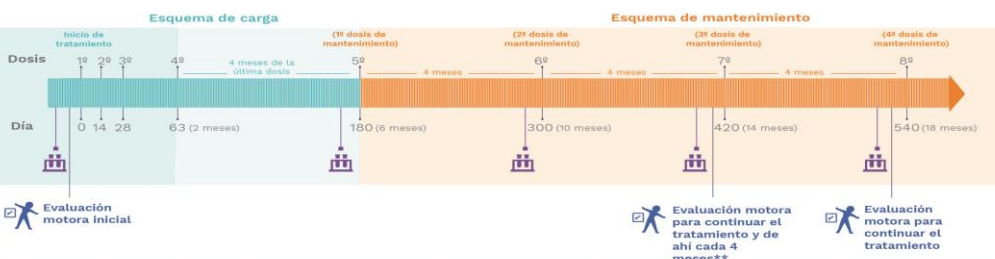
Monitoreo con pruebas de laboratorio: pruebas hematológicas, pruebas de coagulación, función hepática y función renal.



EVALUACIÓN  
MOTORA AME  
TIPO I

4 meses a < 4 años  
CHOP INTEND

2 meses a 2 años  
HINE 2



\*\*El tratamiento con Nusinersen deberá ser continuado en caso de mejoría de la función motora definida como: una ganancia de 1 punto en cualquiera de los hitos del HINE - 2, salvo en el ítem de pataleo donde se requiere ganancia de 2 puntos o un aumento de mínimo 4 puntos en el CHOP INTEND.

Se suspenderá el tratamiento farmacológico con Nusinersen cuando existan dos pérdidas consecutivas en la función motora respecto a la valoración anterior en el HINE 2, definido como la pérdida de 1 punto en cualquiera de los hitos motores salvo en el hito de pataleo donde se requiere la pérdida de 2 puntos.

Se valorará la suspensión del Nusinersen en ausencia de mejoría en la función motora, en este caso se administrará una dosis de mantenimiento adicional, si posterior a esto no se documenta mejoría será suspendido el medicamento.



## Infografía 2. Seguimiento del manejo con Nusinersen en AME tipo II y III



La salud es de todos

Minsalud

### Continuación del tratamiento

La evaluación para determinar el mantenimiento o retiro del tratamiento debe realizarse de manera previa a la administración de la cuarta dosis de mantenimiento, equivalente a la octava dosis total desde el inicio del tratamiento y a partir de este momento en la valoración clínica que se realiza cada 4 meses previa a la administración del Nusinersen, teniendo en cuenta las siguientes consideraciones:

- La evaluación deberá realizarse idealmente con las mismas escalas durante todo el tratamiento, en caso de ser necesario su cambio, se registrará el resultado final de la escala inicial de manera simultánea a la primera lectura de la nueva escala.
- Se continuará el tratamiento farmacológico con Nusinersen si se obtiene ganancia funcional motora definida de la siguiente manera:
  - En pacientes con capacidad de caminar: un incremento  $\geq 3$  puntos en la HFMSE o un incremento de la distancia caminada en el 6 MWT  $> 30$  metros.
  - En pacientes sin capacidad de caminar: un incremento  $\geq 3$  puntos en la HFMSE o un aumento  $> 2$  puntos en la RULM.
  - Si no se obtiene ganancia funcional motora, se administrarán dos dosis de mantenimiento adicionales, si a pesar de esto el paciente no logra los objetivos, se hará retiro de la medicación.
  - Si después de una mejoría motora se produce una pérdida hasta el nivel funcional basal o inferior, se administrarán dos dosis adicionales; en ausencia de mejoría en la función motora, el tratamiento farmacológico será suspendido.

### Monitoreo del tratamiento



**Pruebas hematológicas:** hemograma con recuento hemáticas, hematócrito, hemoglobina, recuento leucocitario (neutrófilos) y recuento plaquetario.



**Tiempos de coagulación:** Tiempo de trombina (PT), tiempo de tromboplastina (PTT) y el INR (índice internacional normalizado).



**Pruebas de función hepática:** Alanino amino transferasa (ALT), aspartato aminotransferasa (AST) y bilirrubinas.

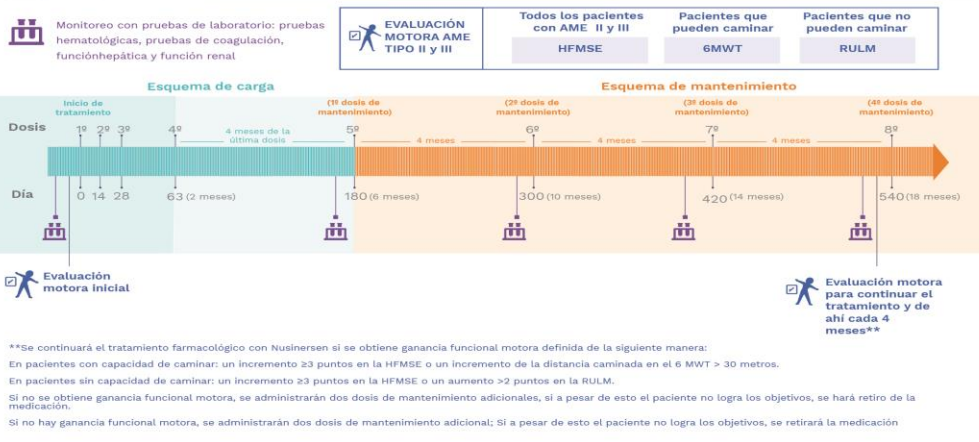


**Pruebas de función renal:** creatinina, nitrógeno ureico, proteinuria.

### Suspensión del tratamiento

- Muerte.
- Efectos adversos graves asociados a la administración del medicamento.
- Si los padres o tutores consideran que la progresión de la discapacidad, o los efectos adversos del procedimiento de administración de Nusinersen, o los efectos secundarios del fármaco, producen un deterioro de la calidad de vida del paciente que sobrepasa a los beneficios obtenidos.
- Si el equipo médico considera que la administración intratecal del fármaco pone en riesgo la vida del paciente.
- Deterioro de la función respiratoria medida como cambios en la ventilación: instauración de ventilación permanente  $> 16$  horas/día de ventilación continua durante  $> 21$  días, en ausencia de episodio agudo reversible o traqueostomía.
- Deterioro de la función deglutoria con requerimiento de alimentación por gastrostomía o sonda nasogástrica permanente, determinado por estudio funcional deglutorio a criterio de grupo interdisciplinario, en ausencia de episodio agudo reversible.

### LINEA DE TIEMPO AME TIPO II y III

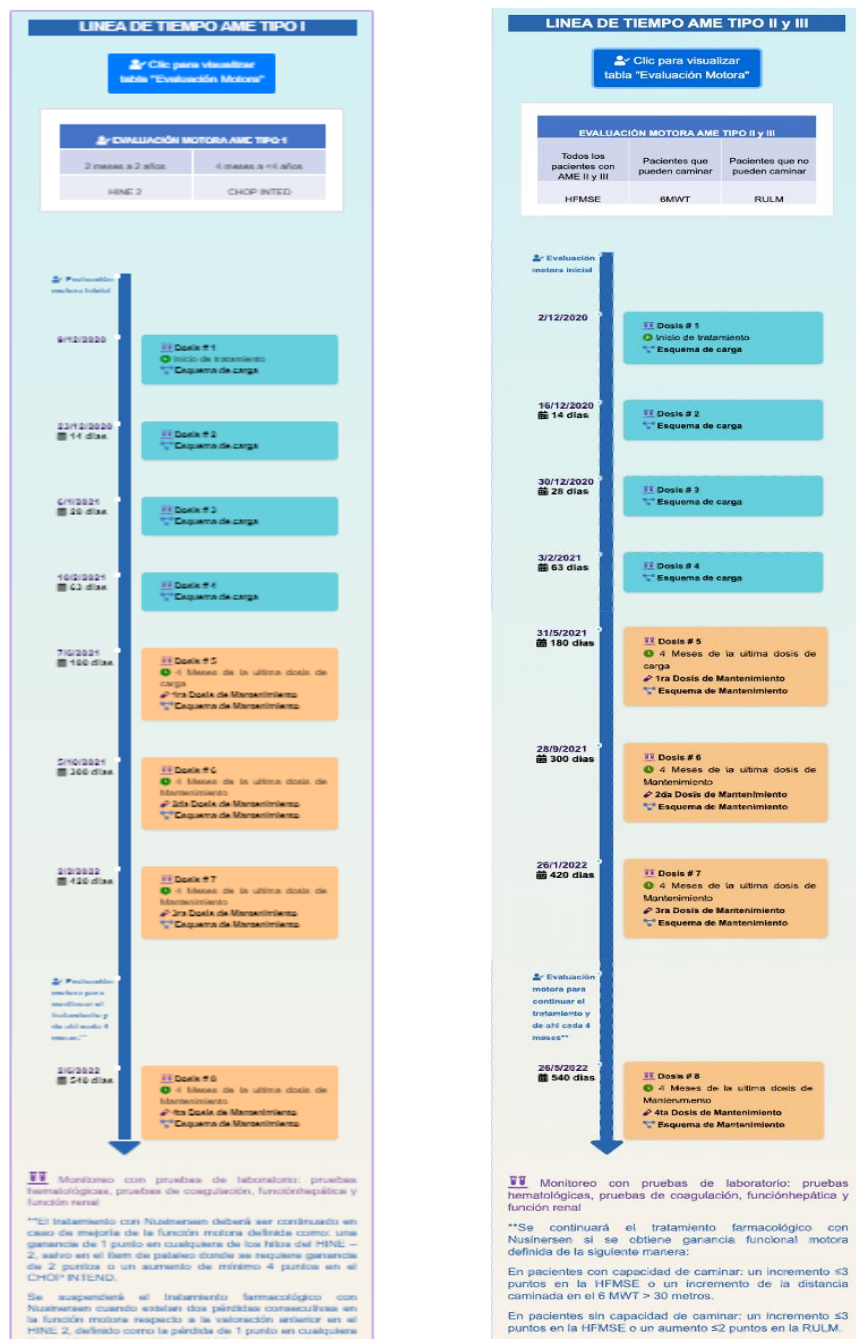




## Línea interactiva

Disponible para uso en dispositivos móviles

Enlace: <https://herramientas.iets.org.co/LTNusinersen/index.aspx>

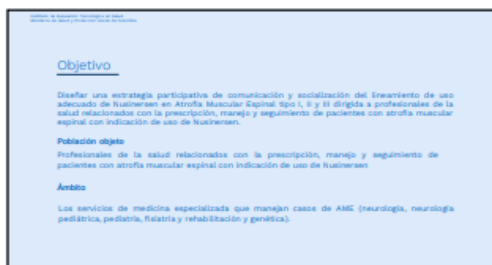
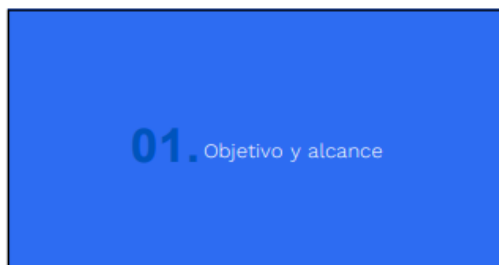
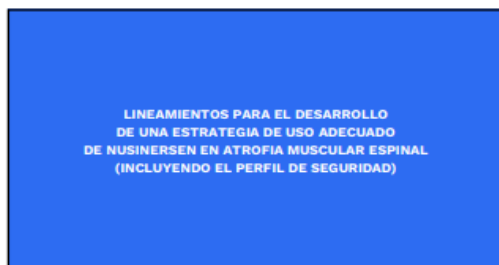


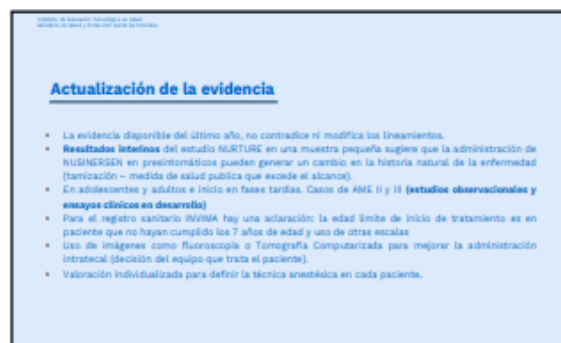
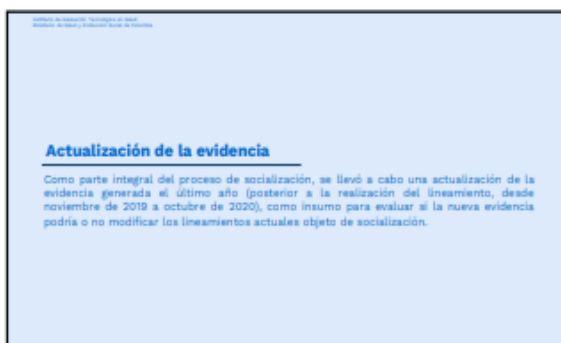
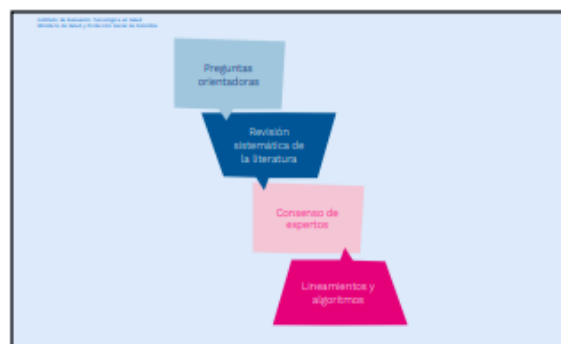
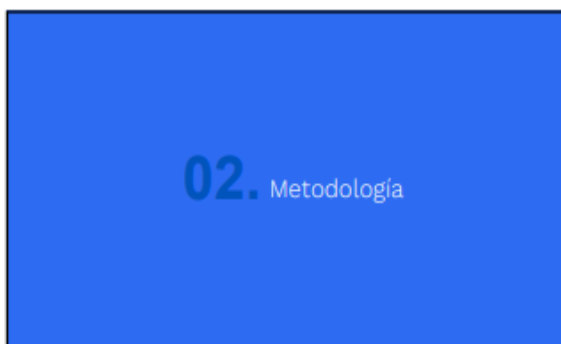
## Webinar

### Enlace Webinar:

[https://www.youtube.com/watch?v=7vY1vVDbowk&feature=youtu.be&ab\\_channel=InstitutoEvaluaci%C3%B3nTecnol%C3%B3gicaenSalud](https://www.youtube.com/watch?v=7vY1vVDbowk&feature=youtu.be&ab_channel=InstitutoEvaluaci%C3%B3nTecnol%C3%B3gicaenSalud)

### Presentación realizada en microsoft power point durante el webinar





### 03. Generalidades y definiciones

## Generalidades y definiciones

Oligonucleótido antisentido (OAS) usado para tratar la AME causada por mutaciones en el cromosoma 5q, que genera deficiencia de la proteína SMN.

El medicamento Nusinersen está indicado para iniciar tratamiento a pacientes con AME 5q confirmada con diagnóstico genético con 2 o más copias del gen SMN2 y con valoración de estado funcional motor con base en escala validada:

- tipo 1 (Werding-Hoffman) en menores de 6 meses
- tipo 2 y 3 en pacientes hasta los 6 años de edad, es decir, que no hayan cumplido los 7 años.



Instituto Nacional de Engenharia de Medicamentos e Alimentos (INEMA), Sistema de Monitorização de Alimentos – Monitorização Preditiva  
compartilhada de dados de qualidade alimentar e de segurança alimentar, gestão da informação e controlo da qualidade alimentar, do sistema alimentar e da saúde pública

## Generalidades y definiciones

### **Atrofia muscular espinal**

**Enfermedad neurodegenerativa autosómica recesiva** producida por degeneración de las motoneuronas de la asta anterior medular que ocasionan debilidad y atrofia muscular progresiva de predominio proximal y de amplio espectro de gravedad. La causa más frecuente es producida por la alteración del gen SMN1 (Survival Motor Neuron 1), localizado en la región cromosómica 5q13, que codifica para la proteína SMN.

- AME es la causa genética de mortalidad más frecuente en lactantes.
- Enfermedad huérfana con incidencia de 4-10 casos por cada 100.000 nacidos.

Adams MA, Hutton WC, Dolan P, Dolan P. Spinal Muscular Atrophy: A Family History. *Neurology*. 1999;53:1015-1016.

## Generalidades y definiciones

El cuadro clínico de un paciente con AME incluye:

- Hipotonía
- Debilidad progresiva proximal y distal de los miembros superiores e inferiores.
- Debilidad de los músculos intercostales

El diagnóstico se realiza a través de pruebas genéticas: el patrón de oro es el análisis cuantitativo de SMN1 y SMN2. La ausencia de dos copias funcionales del gen SMN1 determina el diagnóstico de AME, si se detecta un deleción del exón 7 en un solo alelo, se debe secuenciar el otro alelo de SMN1 para buscar mutaciones.

Tipo	Inicio	Finaliza	Superioridad
0	Prenatal	Falta respiratoria al nacimiento	Embarazo
1	0-6 meses	Muerte durante la lactancia	<7 años
2	<11 meses	De muerte	>20 años
3	>11 meses	De poco de pie o cianosis	Adoles
4	Adoles	Cianosis	Adoles

Amato ME, Kassar R, Bressi M. Spinal muscular atrophy: diagnosis and management in a new therapeutic era. *Muscle Nerve*. 2009;43:103-19. doi:10.1002/mus.21691.

## 04. Lineamientos y flujogramas

### Preguntas orientadoras

1. ¿Cuáles son los criterios para iniciar el tratamiento con Nucleosídeos en pacientes con diagnóstico de AMT?
2. ¿Cuál es el esquema de tratamiento con Nucleosídeos para pacientes con diagnóstico de AMT?
3. ¿Cuál(es) motivo(s) [a] [x] [v] [e] [l] de administración del Nucleosídeo para el tratamiento de pacientes con AMT?
4. ¿Qué especialidades médicas piden prescribir y hacer seguimiento del tratamiento con Nucleosídeo, en qué nivel de complejidad y con qué servicios debe contar la institución en donde se administra el medicamento?
5. ¿Cuáles son los criterios que deben ser evaluados para el establecimiento o seguimiento del tratamiento con Nucleosídeo en pacientes con AMT?
  - ¿Cuál es el perfil de seguridad del medicamento a administrar?





1. ¿Cuáles son los criterios para iniciar el tratamiento con Nusinersen en pacientes con diagnóstico de AME?

#### Indicaciones para el inicio de Nusinersen

- En todo caso de AME debe confirmarse la detección homocigota del exón 7 en el gen SMN1 o mutación homocigota del gen SMN1 exón 7, o mutación heterocigota compuesta del gen SMN1 y tener al menos dos copias del gen SMN2.
- Inicio de signos clínicos y síntomas antes de los 2 años de edad.
- La función motora antes del inicio del tratamiento debe ser evaluada mediante una escala adecuada para la edad y el tipo de AME.
- HINE 2 para pacientes de 2 meses a 2 años con AME tipo I
- HFMSC para pacientes con AME tipo II o III. Punto de corte: n70 y xS4
- CHOP INTEND para pacientes de 4 meses a >4 años con AME tipo I



#### Evaluación funcional con AME tipo I

##### HINE 2



Se puntúan 8 ítems (siguiendo a derecha):  
1. Agarre voluntario, 2. Sentado, 3. Control de la cabeza, 4. Capacidad para ponerse de pie, 5. Habilidad para voltear, 6. Gateo, 7. Capacidad para dar la vuelta, 8. Caminar

Criterios de evaluación



#### Evaluación funcional con AME tipo I

##### CHOP INTEND



Se puntúan 16 funciones motoras dentro de cuatro categorías (siguiendo a derecha):  
1. Cabeza y cuello, 2. Mano, brazo y hombro, 3. Pies y piernas, 4. Cadera, tronco

Criterios de evaluación



#### Evaluación funcional con AME tipo II y III

##### Nusinersen® extendido



Se puntúan 12 funciones en 7 categorías (de derecha a izquierda): 1. Capacidad de estar, 2. Capacidad de dar la vuelta, 3. Transiciones, gateo, 4. Escal de pie, dar pasos, 5. Transiciones, ponerse de rodillas, 6. Hacer ventrillo, saltar, 7. Escaleras

Criterios de evaluación



#### Evaluación funcional con AME tipo II y III

##### Prueba de caminata de 6 minutos



Se realiza caminata por una pista de 30 metros.

Criterios de evaluación



### Evaluación funcional con AME tipo II y III

**ROLI**



Se evalúan 19 actividades usando 7 ítems: (de derecha a izquierda): 1. mover un lápiz de manera continua a lo largo de un papel, 2. Romper una hoja de papel, 3. Recoger una moneda y ponerla en un vaso, 4. Laventar un vaso hasta la boca, 5. Presionar un botón con una mano, 6. Levantar pesos por encima de los hombros, 7. Abrir un contenedor.

**Criterio de evaluación**



### Contraindicaciones para el inicio de Nusinersen



1. Pacientes con intolerancia al medicamento, 2. Pacientes con insuficiencia renal grave, 3. Pacientes con insuficiencia hepática grave, 4. Pacientes con insuficiencia cardíaca grave.

### 2. ¿Cuál es el esquema de tratamiento con Nusinersen para pacientes con diagnóstico de AME?

### Esquema de tratamiento



- \* Esquema de carga (4 dosis): 12 mg a los 0, 14, 28 y 63 días
- \* Esquema de mantenimiento: 12 mg cada 4 meses

El esquema de tratamiento de Nusinersen no requiere ser ajustado por peso, por edad, tipo de AME u otra característica.

### 3. ¿Cuál(es) es/son la(s) vía(s) de administración del Nusinersen para el tratamiento de pacientes con AME?

### Vía de administración



La vía de administración de Nusinersen es únicamente intratecal. El médico especialista responsable de administrar el medicamento deberá definir la técnica para el abordaje intratecal de acuerdo con las características del paciente.

**Intratecal:** Administración en el líquido cefalorraquídeo en cualquier nivel de medular, incluyendo inyección en los ventrículos cerebrales.



4. ¿Qué especialistas médicos pueden prescribir y hacer seguimiento del tratamiento con Nusinersen, en qué nivel de complejidad y con qué servicios debe contar la institución en donde se administra el medicamento?

#### Crterios para la prescripción y seguimiento de pacientes con AME tipo I, II y III

- La prescripción de inicio y seguimiento de Nusinersen de los pacientes en tratamiento, debe ser realizada por un grupo interdisciplinario conformado con una representación mínima de neuropediatría, genética y fisiatría, con experiencia en el diagnóstico y manejo de AME.
- La administración del medicamento debe hacerse en instituciones de III o IV nivel de complejidad, con equipos de profesionales especializados y con experiencia en administración de medicamentos vía intratecal.
- La institución que realice el manejo de pacientes con AME y que vaya a administrar el medicamento, debe contar con un protocolo de manejo de medicamentos de alto riesgo.



5. ¿Cuáles son los criterios que deben ser evaluados para el mantenimiento o suspensión del tratamiento con Nusinersen en pacientes con AME? y ¿Cuál es el perfil de seguridad del medicamento actualmente?

#### Crterios para la suspensión de la terapia con Nusinersen en pacientes con AME tipo I, II y III

Los siguientes criterios se consideran causal de retiro del tratamiento farmacológico en cualquier momento durante su administración:

- Efectos adversos graves asociados a la administración del medicamento.
- Si los padres o tutores consideran que los riesgos son mayores que los beneficios obtenidos.
- Si el equipo médico considera que la administración intratecal del fármaco pone en riesgo la vida del paciente.
- Deterioro de la función respiratoria medida como cambios en la ventilación: instauración de ventilación permanente (>16 horas/día de ventilación continua durante >21 días, en ausencia de episodio agudo reversible o traqueostomía).
- Deterioro de la función deglutoria con requerimiento de alimentación por gastrostomía o sonda nasogástrica permanente, determinado por estudio funcional deglutorio a criterio de grupo interdisciplinario, en ausencia de episodio agudo reversible.



#### Crterios para el mantenimiento o retiro del tratamiento farmacológico con Nusinersen AME tipo I

Debe realizarse de manera previa a la administración de la **tercera dosis de mantenimiento**, equivalente a la **séptima dosis total desde el inicio del tratamiento**, y a partir de este momento en la valoración clínica que se realiza cada 4 meses previa a la administración del Nusinersen.

- La institución deberá realizar el monitoreo con la misma escala durante todo el tratamiento, en caso de ser necesario las medidas de seguridad en cualquier punto de la escala deben de tenerse en cuenta a la primera medida de la misma escala. Se asignará el puntaje de 1 punto a los pacientes de 2 meses a 2 años y el puntaje de 2 puntos a los pacientes de 3 meses a 4 años.
- El tratamiento con Nusinersen deberá ser suspendido en caso de riesgo de la función respiratoria definida como una pérdida de 1 punto en cualquiera de los ítems de la escala de 1 punto a 2 puntos, o una pérdida de 2 puntos en cualquiera de los ítems de la escala de 1 punto a 2 puntos.
- Se suspenderá el tratamiento farmacológico con Nusinersen cuando existan dos períodos consecutivos en la función motora respecto a la valoración anterior en el ítem 2, definido como la pérdida de 1 punto en cualquiera de los ítems de la escala de 1 punto a 2 puntos.
- Se suspenderá la suspensión del Nusinersen en ausencia de mejora en la función motora, en otro caso se suspenderá a una dosis de mantenimiento actual, o puntaje a todo no de documento médico será suspendido el medicamento.



### Crterios para el mantenimiento o retiro del tratamiento farmacológico con Nusinersen AME tipo II y III

La evaluación para determinar el mantenimiento o retiro del tratamiento debe realizarse de manera previa a la administración de la **cuarta dosis de mantenimiento**, equivalente a la octava dosis total desde el inicio del tratamiento y a partir de este momento en la valoración clínica que se realiza cada 4 meses previa a la administración del Nusinersen, teniendo en cuenta las siguientes consideraciones:



La evaluación debe realizarse de acuerdo con las normas de práctica clínica de la institución y de acuerdo con la evidencia científica disponible. Se debe tener en cuenta el perfil de seguridad de Nusinersen y el perfil de eficacia de Nusinersen en pacientes con AME tipo II y III.



Se debe tener en cuenta el perfil de seguridad de Nusinersen y el perfil de eficacia de Nusinersen en pacientes con AME tipo II y III. Se debe tener en cuenta el perfil de seguridad de Nusinersen y el perfil de eficacia de Nusinersen en pacientes con AME tipo II y III.



Se debe tener en cuenta el perfil de seguridad de Nusinersen y el perfil de eficacia de Nusinersen en pacientes con AME tipo II y III. Se debe tener en cuenta el perfil de seguridad de Nusinersen y el perfil de eficacia de Nusinersen en pacientes con AME tipo II y III.

### Perfil de seguridad de Nusinersen en pacientes con AME tipo I, II y III

Es importante que el grupo interdisciplinario tratante del paciente con Nusinersen tenga en cuenta que el perfil de seguridad incluye:

- Los eventos adversos derivados de la administración intratecal, principalmente cefaleas post punción.
- Los eventos adversos relacionados con el medicamento en sí mismo (vigilancia de posibles eventos adversos), que se han reportado son trastornos de la coagulación, hemorragias y equimosis, afectación de la función renal, neurotoxicidad, todos descritos en baja frecuencia, considerándose un medicamento seguro.

### Pruebas de monitoreo



- ✓ Pruebas hematológicas: hemograma con recuento de hemátiles, hematocrito, hemoglobina, recuento de leucocitos (neutrófilos) y recuento plaquetario.
- ✓ Tiempos de coagulación: Tiempo de trombina (PT), tiempo de tromboplastina (PTT) y el INR (índice internacional normalizado).
- ✓ Pruebas de función hepática: Ránfaga aminotransferasa (ALT), aspartato aminotransferasa (AST) y bilirrubinas.
- ✓ Pruebas de función renal: creatinina, nitrógeno ureico, proteinuria.

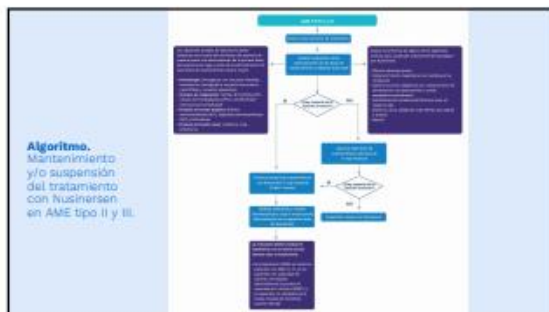
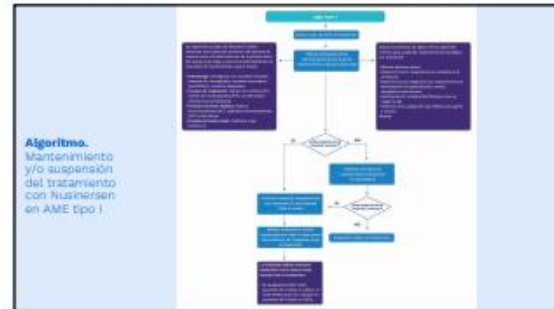
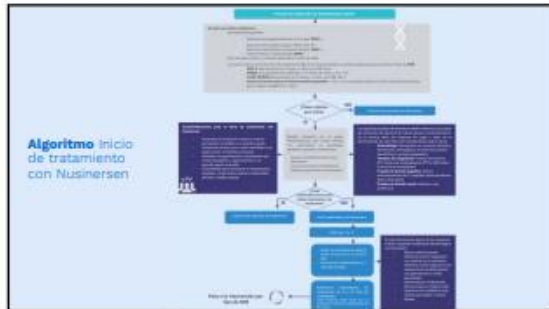
### Tratamiento con Nusinersen- línea de tiempo AME I




### Tratamiento con Nusinersen- línea de tiempo AME II y III







**Aspectos claves a resaltar**



- El Nusinersen es un medicamento que modifica el curso natural del AME, sin embargo no es curativo y no hay suficiente evidencia para determinar su efectividad a largo plazo.
- Según el registro del INVIMA, el Nusinersen está indicado en niños menores de 7 años.
- El no tratamiento oportuno puede significar un riesgo vital para los pacientes, por lo que se recomienda que la atención de estos pacientes sea prioritaria.
- El seguimiento se realiza utilizando escalas funcionales específicas según edad y tipo de AME.

**Post-test**



#### Calculo de fecha para cada dosis



<https://herramienta.iets.org.co/Trasmanen/index.asp>

## 06. Casos clínicos

### Caso 1

- Masculino
- 20 meses
- Precadencia Manizales
- Detección Homocigota exón 7 gen SMN1
- 4 copias SMN2
- AME 2
- HFMSE Basal 20/66. Escala aplicada por profesional en terapia física con grabación de video
- Ninguna contraindicación



- ✓ **Formulación:** Junta de enfermedades neuromusculares Instituto Roosevelt, Participantes **Pediatría, Genética Neuropediatría, Pediatría, Neurología pediátrica**
- ✓ **Dosis de Carga:** Aplicaciones Nusinersen 12 mg intratecal 20/12, 03/01, 17/01, 21/02 (Días 0, 14, 28, 63)
- ✓ **Dosis de mantenimiento:** cuatrimestral 19/06/2020, 16/10/2020
- ✓ **Vía de administración:** Intratecal
- ✓ Todas las dosis administradas por anestesiólogo de la institución

- ✓ No efectos secundarios en ninguna de las administraciones
- ✓ Hematología, tiempos de coagulación, pruebas de función hepática y renal normales

Fecha	HFMSE
21/11/2019	20/66
27/04/2020	25/66
17/07/2020	28/66



Pendiente 7ma dosis y evaluación para definir continuidad previa a 8va dosis total 4ta dosis de mantenimiento

## Caso 2

### Datos generales

- Sexo: Masculino
- Edad: 4 años
- Fecha de nacimiento: 09/06/2018
- Motivo de consulta "Temblor"
- Enfermedad actual: Desde los 2 meses temblor, a los 8 meses dificultades para sentarse.



### Antecedentes perinatales

- 3da gestación, madre: 34 años
- No consanguinidad parental
- ASA
- Percepción movimientos fetales
- Parto vaginal sin complicaciones a término, peso al nacer: 3900 gr; Talla al nacer: 52 cm
- Alta con su madre



### Antecedentes familiares



Primera gestación (hermana mayor): madre 30 años no complicaciones pre ni perinatales.

- 3 meses:
  - No sostén cefálico
  - Movilización miembros inferiores - Regresión motora
- A los 6 meses:
  - Neuromía complicada
  - Hipotonía - debilidad muscular
  - Parada cardiorrespiratoria reventada 20 minutos
  - Traqueostomía - gastrostomía - cirugía antiefléjica
- Segundo paro cardiorrespiratorio con muerte cerebral
- Fallecimiento a los 10 meses

**NO CONFIRMACIÓN  
GENÉTICA**

### Neurodesarrollo



### Pruebas funcionales

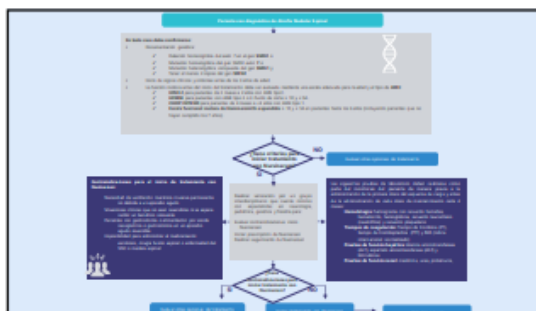


### Puntos Claves



### Indicaciones para Nusinersen

- ✓ Inicio de síntomas antes de los 3 años
- ✓ MLPA diagnóstico Molecular: 0 COPIAS DE SMN1 Y 3 COPIAS DE SMN2.
- ✓ Valoración Funcional: HAMMERSMITH REVISADO 13/09, HAMMERSMITH EXPANDIDO 18/06
- ✓ No requerimiento permanente de sonda nasogástrica ni gastrostomía. Videodeglución: trastorno deglutorio leve sin riesgo de aspiración.
- ✓ No requerimiento de ventilación mecánica permanente.



### Caso 3

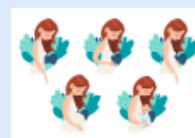
### Datos generales



- Sexo: Masculino
- Edad: 2 años
- Fecha de Nacimiento: 02/12/2017
- Motivo de consulta: Retraso del desarrollo (remitido por pediatría)
- Enfermedad actual: Refiere que desde los 14 meses presenta caídas frecuentes, a los 2 años no logra subir o bajar escaleras, correr o saltar y tiene patrón de marcha extraño, y va empeorando con el paso del tiempo

### Antecedentes perinatales

- 2da gestación, madre 26 años
- No consanguinidad parental
- Sin complicaciones durante la gestación
- Nacimiento por cesárea por sufrimiento fetal. Peso al nacer 3175 gr.
- Adaptación neonatal conducida
- Alta con su madre



## Neurodesarrollo



## Pruebas diagnósticas

- Genética: Deleción homológica del gen SMN1, 4 copias del gen SMN2
- Trastorno deglutorio leve, sin riesgo de aspiración
- Polisomnografía: SAHOS leve
- Electromiografía: Patrón neurogénico en músculos cervicales y torácicos
- Radiografía de cadera normal
- NCV y electromiografía de las 4 extremidades: normal
- Resonancia de cerebro normal
- Pendiente radiografía panorámica de columna
- Hammersmith expandido: 34/66
- CHOP INTEND 47/64



## Pruebas funcionales



## Indicaciones para Nusinersen

- ✓ Inicio de síntomas antes de los 3 años
- ✓ MLPA diagnóstico Molecular: 0 copias de SMN1 y 4 copias de SMN2
- ✓ Valoración Funcional: HAMMERSMITH EXPANDIDO 34/66, CHOP INTEND 47/64
- ✓ No requerimiento permanente de sonda nasogástrica ni gastrostomía.
- ✓ Videodeglución: trastorno deglutorio leve sin riesgo de aspiración.
- ✓ No requerimiento de ventilación mecánica permanente.



Muchas gracias por su  
asistencia



**Video-clip**

[https://youtu.be/8ijTwxmR\\_0s](https://youtu.be/8ijTwxmR_0s)

### Anexo 3. Instrumentos usados para evaluación pre- test y post-test

## Evaluación Socialización Lineamientos Nusinersen

Agradecemos su tiempo en asistir a la actividad programada el día de hoy, así como el diligenciar este formulario

**\*Obligatorio**

1. Dirección de correo electrónico \*

---

2. Nombres y Apellidos \*

---

3. Institución que representa \*

---

4. ¿Cuál es su campo de desempeño profesional? \*

*Selecciona todos los que correspondan.*

- ☐ Neurología
- ☐ Pediatría
- ☐ Neuropediatría
- ☐ Fisiatría y rehabilitación
- ☐ Genética
- ☐ Otros

5. ¿Cuál otro?

---



Por favor, conteste las siguientes preguntas:

6. 1. En Colombia, la institución que realice el manejo de pacientes con AME y que vaya a administrar el medicamento Nusinersen, debe contar con un protocolo de manejo de medicamentos de alto riesgo. \*

*Marca solo un óvalo.*

- ☐ Verdadero  
☐ Falso

7. 2. Para evaluación funcional motora de un niño de 18 meses con AME tipo I, es posible utilizar la escala HINE 2 o el CHOP INTEND. \*

*Marca solo un óvalo.*

- ☐ Verdadero  
☐ Falso

8. 3. Cual de las siguientes escalas ¿Cual puede ser usada para evaluar la capacidad funcional de una paciente con AME que aun preserve la capacidad de marcha? \*

*Marca solo un óvalo.*

- ☐ a. HINE-2  
☐ b. CHOP INTEND  
☐ c. 6MWT

12. 7. En pacientes con AME tipo II y III, la valoración para decir el mantenimiento o suspensión del tratamiento se hace en la cuarta dosis de mantenimiento, que equivale a la octava dosis desde el inicio del tratamiento. \*

*Marca solo un óvalo.*

- ☐ Verdadero  
☐ Falso

13. 8. El esquema de dosis de carga del Nusinersen, se realiza en los días \*

*Marca solo un óvalo.*

- ☐ a. 0, 14, 28 y 63  
☐ b. 0, 18, 36 y 68  
☐ c. 0, 12, 24 y 65

14. 9. De acuerdo al registro sanitario de Nusinersen, vigente en Colombia, es cierto que: \*

*Marca solo un óvalo.*

- ☐ a. El medicamento está indicado en pacientes con AME que no hayan cumplido los 7 años.  
☐ b. El medicamento está indicado siempre y cuando haya confirmación genética de la enfermedad  
☐ c. El medicamento está indicado cuando tenga una escala funcional motora de hammersmith >10 y <54

9. 4. La primera evaluación para decidir si continuar el manejo con Nusinersen en un paciente con AME tipo I se realiza: \*

*Marca solo un óvalo.*

- ☐ a. Luego de terminar las dosis de carga
- ☐ b. Al año del inicio del tratamiento
- ☐ c. Previo a la administración de la tercera dosis de mantenimiento

10. 5. ¿Cuál de las siguientes es una prueba de monitoreo y seguimiento para el paciente en manejo con nusinersen? \*

*Marca solo un óvalo.*

- ☐ a. Cuadro hemático completo y tiempos de coagulación
- ☐ b. Pruebas de función renal y función hepática
- ☐ c. Todas las anteriores

11. 6. ¿Cuál es el rango de edad de los pacientes para realizar una valoración con la escala CHOP INTEND? \*

*Marca solo un óvalo.*

- ☐ a. Primeros meses de edad.
- ☐ b. De 4 meses a 4 años.
- ☐ c. De 2 meses a 2 años.

15. El Nusinersen esta contraindicado en pacientes con AME tipo I,II o III con escoliosis severa, cirugía de fusión espinal o enfermedad del SNC o medula espinal. \*

*Marca solo un óvalo.*

☐ Verdadero

☐ Falso

#### Anexo 4. Formato de encuesta de satisfacción usado en el proceso

### Encuesta de satisfacción\_socialización lineamientos Nusinersen a profesionales

Agradecemos su tiempo en asistir a la actividad programada el día de hoy, así como el diligenciar este formulario.

**\*Obligatorio**

1. Dirección de correo electrónico \*

\_\_\_\_\_

2. Nombres y apellidos \*

\_\_\_\_\_

3. Institución que representa \*

\_\_\_\_\_

4. ¿Cuál es su campo de desempeño profesional?

*Selecciona todos los que correspondan.*

☐ Neurología

☐ Pediatría

☐ Neuropediatría

☐ Fisiatría y rehabilitación

☐ Genética

☐ Otros

5. Cual? \*

\_\_\_\_\_

6. ¿Cuál fue su principal interés o motivación en su participación el día de hoy? \*

\_\_\_\_\_

Por favor, califique las afirmaciones siguientes de acuerdo con su percepción de la socialización de lineamientos

7. Los objetivos de la socialización del lineamiento para uso de Nusinersen fueron claros desde el principio \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

8. Los temas del lineamiento de uso de Nusinersen fueron abordados con conocimiento \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

9. Hubo claridad en cada uno de los temas abordados en la socialización \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

10. La información socializada es de utilidad para mi práctica clínica en el manejo de pacientes con AME \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

11. El presentador despertó el interés del auditorio \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

12. La metodología de presentación fue adecuada \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

13. Las ayudas audiovisuales fueron adecuadas \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo



14. El tema de presentación lleva una secuencia lógica y agradable \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

15. El tiempo de la presentación fue adecuado \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

16. El presentador creó empatía con el auditorio \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

17. Las preguntas fueron resueltas con claridad \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

18. El lenguaje utilizado fue científico y claro \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

19. Se cumplieron los horarios planeados para la socialización \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

20. El canal de comunicación para la presentación fue adecuado \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

21. La hora de presentación se facilita al auditorio \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

22. Se tuvo en cuenta los aspectos señalados y sugeridos en el grupo focal para la socialización de los lineamientos para pacientes y cuidadores \*

Marca solo un óvalo.

	1	2	3	4	5	
Muy en desacuerdo	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	Completamente de acuerdo

Este contenido no ha sido creado ni aprobado por Google.

Google Formularios