

## Empfehlungen zur Verlaufsbeobachtung von pädiatrischen Patienten mit spinaler Muskelatrophie

	Patientenvisiten (Tage) – min. jährliche Dokumentation					
	1	14	28	63	180	Weiter alle 6 Monate (alle 4 Monate unter SMA-spezifischer Therapie)
<b>Baseline-Daten</b>	X					
<b>Medizinische Beurteilung<sup>1</sup></b> inkl. motorische Meilensteine	X	X	X	X	X	X
Dokumentationsbogen Nusinersen	X	X	X	X	X	X
Dokumentationsbögen Zolgensma <sup>2</sup>	X				X	
Dokumentation Risdiplam <sup>3</sup>	X			X	X	X
<b>Physiotherapeutische Evaluation<sup>4</sup>:</b>						
<b>CHOP INTEND</b>						
• alle Kinder < 2 Jahre						
• bei Patienten > 2 Jahren mit fehlender Sitzfähigkeit						
<b>BAYLEY III Skalen (≤ 2 Jahre)</b>						
• <b>motorische Skala:</b> bei Erreichen eines CHOP INTEND Score > 60 Punkte						
<b>HFMSE (&gt; 2 Jahre)</b>						
• alle Patienten mit Sitzfähigkeit	X					
• bei Erreichen eines CHOP INTEND Score >50 Punkte: CHOP INTEND und HFMSE durchführen		X <sup>5</sup>		X		
• bei Erreichen eines CHOP INTEND Score >60 Punkte zum HFMSE wechseln				X		
<b>RULM (&gt; 2 Jahre)</b>						
• alle Patienten mit Sitzfähigkeit im Rollstuhl						X
<b>6-MWT (&gt; 3 Jahre)</b>						
• alle Patienten mit Gehfähigkeit						
<b>Bayley III Skalen (Kognition, Motorik Sprache)<sup>6</sup></b>						einmalig im Alter von 24 Monaten
<b>Lungenfunktion<sup>7</sup></b>	X				X	X
<b>Erfassen unerwünschter Ereignisse</b>						Fortlaufend

schwarz = unbehandelte Patienten; grau = Patienten unter SMA-spezifischer Therapie

1 Durchführung durch Neuropädiater/in

2 An Tag 1 ist der Dokumentationsbogen „Zolgensma“ und an Tag 180 der Dokumentationsbogen „Zolgensma Follow-Up“ auszufüllen.

3 Die Dokumentation der Risdiplam-Therapie ist Teil der Medizinischen Beurteilung.

4 Durchführung durch entsprechend geschulte Physiotherapeuten. Definition von Sitz- und Gehfähigkeit nach WHO Kriterien

5 Nur bei Therapie mit Zolgensma

6 Bei Kindern mit Sitzfähigkeit im Rollstuhl, die die Arme selbstständig gegen die Schwerkraft anheben können

7 Bei ausreichender Kooperationsfähigkeit des Patienten