



Beschluss

des Gemeinsamen Bundesausschusses über die Einleitung eines Stellungnahme- verfahrens zu einem Beschluss über Maßnahmen zur Qualitätssicherung nach § 136a Absatz 5 Sozialgesetzbuch Fünftes Buch (SGB V): Onasemnogene abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie

Vom 11. August 2020

Der Unterausschuss Arzneimittel des Gemeinsamen Bundesausschusses (G-BA) hat in seiner Sitzung am 11. August 2020 die Einleitung eines Stellungnahmeverfahrens zu folgendem Beschluss zur Qualitätssicherung der Anwendung von Onasemnogene abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie gemäß § 136a Absatz 5 SGB V beschlossen:

I. Beschluss über Maßnahmen zur Qualitätssicherung der Anwendung von Onasemnogene abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie

Inhaltsverzeichnis

A. Allgemeines	3
§ 1 Rechtsgrundlage und Gegenstand des Beschlusses	3
§ 2 Allgemeine Bestimmungen	3
B. Anforderung vor der Anwendung von Onasemnogene Abeparvovec.....	4
§ 3 Personelle und fachliche Anforderungen an das ärztliche Personal.....	4
§ 4 Anforderungen an Diagnostik sowie Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen....	5
§ 5 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation.....	7
C. Anforderungen zur Anwendung von Onasemnogene Abeparvovec	7
§ 6 Personelle und fachliche Anforderungen an das ärztliche Personal einschließlich apparativer Ausstattung.....	7
§ 7 Personelle und fachliche Anforderungen an das nicht-ärztliche Personal	8
§ 8 Anforderungen an die Zusammenarbeit des ärztlichen und nicht-ärztlichen Personals .	8
§ 9 Anforderungen an die Erfahrung in der Behandlungseinrichtung.....	9
§ 10 Anforderungen an Therapieentscheidung	10
§ 11 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation.....	10
A. Anforderungen nach der Anwendung von Onasemnogene Abeparvovec	11
§ 12 Anforderungen an die Nachsorge.....	11
§ 13 Personelle und fachliche Anforderungen an das ärztliche Personal und die Behandlungseinrichtung.....	12
§ 14 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation.....	13
B. Weitere Maßnahmen zur Sicherung der Prozess- und Ergebnisqualität.....	13
§ 15 Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten	13
§ 16 wissensgenerierende Versorgung	14
§ 17 Folgen der Nichterfüllung von Qualitätsanforderungen.....	15
§ 19 Übergangsbestimmungen	16
§ 20 Jährliche ICD-10-GM- und OPS-Anpassung	16

A. Allgemeines

§ 1 Rechtsgrundlage und Gegenstand des Beschlusses

- (1) ¹Der Gemeinsame Bundesausschuss trifft diesen Beschluss als eine Maßnahme zur Qualitätssicherung auf der Grundlage von § 136a Absatz 5 Satz 1 SGB V. ²Mit diesem Beschluss werden Mindestanforderungen und sonstige Anforderungen an die Struktur-, Prozess- und Ergebnisqualität bei der Versorgung von Patientinnen und Patienten mit spinaler Muskelatrophie, bei denen Onasemnogene abeparvovec angewendet werden soll, festgelegt.
- (2) Ziele des Beschlusses sind die Gewährleistung einer qualitativ hochwertigen Versorgung sowie die Sicherstellung einer sachgerechten Anwendung des Arzneimittels im Interesse der Patientensicherheit.
- (3) ¹Die Spinale Muskelatrophie (SMA) im Sinne von Absatz 1 ist eine genetisch bedingte neuromuskuläre Erkrankung, bei der die Mutation in beiden Allelen des SMN1-Gens mit einem Verlust der Expression des SMN-Proteins einhergeht (G12.0, G12.1 nach ICD-10-GM-2020). ²Onasemnogene abeparvovec ist eine rekombinante Adeno-assoziierte Virusvektor-basierte Gentherapie, die eine Kopie des Gens liefert, das für das menschliche SMN-Protein kodiert.
- (4) ¹Zolgensma ist indiziert zur Behandlung von:
 - Patienten mit 5q-assoziiertes SMA mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und einer klinisch diagnostizierten Typ-1-SMA, oder
 - Patienten mit 5q-assoziiertes SMA mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und bis zu 3 Kopien des SMN2-Gens.

²Der vorliegende Beschluss orientiert sich mit den nachfolgenden Regelungen an der qualitätsgesicherten Anwendung von Onasemnogene abeparvovec bei Säuglingen, Kleinkindern und Kindern mit SMA. ³Der G-BA geht davon aus, dass die Anwendung von Onasemnogene abeparvovec aufgrund der Angaben in der Fachinformation für Säuglinge, Kleinkinder und Kinder vorgesehen ist und deshalb die Anwendung bei Patienten und Patientinnen im Alter von 2 Jahren und älter oder mit einem Körpergewicht von über 13,5 kg einen seltenen Ausnahmefall darstellt, auch wenn das zugelassene Anwendungsgebiet nicht auf eine bestimmte Altersgruppe eingeschränkt ist. ⁴Die folgenden Regelungen enthalten keine speziellen Regelungen für Jugendliche und Erwachsene, sind jedoch entsprechend anzuwenden mit der Maßgabe, dass die Hinweise aus der Fachinformation zu verbleibenden Unsicherheiten zum Nutzen-Risiko-Profil, insbesondere zu begrenzten Erfahrungen mit Patienten und Patientinnen im Alter von 2 Jahren und älter oder mit einem Körpergewicht von über 13,5 kg gesondert und nachvollziehbar abzuwägen sind.

§ 2 Allgemeine Bestimmungen

- (1) ¹Adressaten der Richtlinie sind nach § 108 SGB V zugelassene Krankenhäuser sowie an der vertragsärztlichen Versorgung teilnehmende Leistungserbringer. ²Krankenhäuser müssen die Anforderungen am Standort erfüllen, soweit nichts Anderes bestimmt wird. ³Es wird die Definition von Krankenhausstandorten gemäß der Vereinbarung nach § 2a Absatz 1 Krankenhausfinanzierungsgesetz (KHG) in Verbindung mit dem Standortverzeichnis gemäß § 293 Absatz 6 SGB V zugrunde gelegt.
- (2) ¹Sofern die Erfüllung von Anforderungen nach den folgenden Regelungen auch durch Kooperation zugelassen ist, sind schriftliche Kooperationsvereinbarungen zu schließen. ²Der Leistungserbringer, der in die qualitätsgesicherte Anwendung von Onasemnogene

abeparvovec nach diesem Beschluss eingebunden ist, ist auch bei Einbindung von Kooperationspartnern für die jeweilige Erfüllung der Anforderungen nach diesem Beschluss verantwortlich. ³Für jede kooperierende Einrichtung ist eine Ansprechpartnerin oder ein Ansprechpartner zu benennen.

- (3) ¹Die Facharztbezeichnungen richten sich nach der (Muster-) Weiterbildungsordnung der Bundesärztekammer und schließen auch diejenigen Ärztinnen und Ärzte ein, welche eine entsprechende Bezeichnung nach altem Recht führen. ²Soweit nachfolgend nichts Spezielleres geregelt ist, sind Pflegefachkräfte alle Personen, denen die Erlaubnis zum Führen einer Berufsbezeichnung nach dem Krankenpflegegesetz, dem Altenpflegegesetz oder dem Pflegeberufegesetz erteilt wurde. ³Bei Anforderungen an die Erfahrung des ärztlichen und nicht-ärztlichen Personals erfolgt bei Tätigkeiten in Teilzeit eine Umrechnung der entsprechenden Zeiten auf Vollzeitäquivalente.
- (4) ¹Sofern nichts Abweichendes bestimmt, bedeutet jederzeitige Verfügbarkeit im Sinne dieses Beschlusses eine Verfügbarkeit von 24 Stunden an 7 Tagen pro Woche. ²Die jederzeitige Verfügbarkeit ist demnach grundsätzlich sichergestellt, wenn sich das vorzuhaltende ärztliche oder nicht-ärztliche Personal während des Dienstes an einem vom Arbeitgeber bestimmten Ort aufhält, um im Bedarfsfall innerhalb kürzester Zeit ihre bzw. seine volle Arbeitstätigkeit aufzunehmen. ³Werktägliche Dienstzeit umfasst die Wochentage von Montag bis Freitag mit Ausnahme der gesetzlichen Feiertage. ⁴Rufbereitschaft im Sinne dieses Beschlusses bedeutet, dass eine Fachärztin oder ein Facharzt der Behandlungseinrichtung mit der entsprechenden Qualifikation nicht zwingend vor Ort anwesend sein muss, aber jeder Zeit erreichbar ist, sodass auf Abruf eine Verfügbarkeit innerhalb

Position 1	Position 2
kurzer Zeit	von maximal 30 Minuten

am Patienten gewährleistet werden kann. ⁵Eine Schicht im Sinne dieses Beschlusses umfasst sowohl die Tagschicht als auch die Nachtschicht.

- (5) ¹Eine Station ist die kleinste bettenführende organisatorische Einheit in der Patientenversorgung am Standort eines Krankenhauses, die auch für Dritte räumlich ausgewiesen und anhand einer ihr zugewiesenen individuellen Bezeichnung identifizierbar ist. ²Auf einer Station werden Patientinnen und Patienten entweder in einem medizinischen Fachgebiet oder interdisziplinär in verschiedenen Fachgebieten behandelt.

B. Anforderung vor der Anwendung von Onasemnogene Abeparvovec

Position 1	Position 2
	<p>§ 3 Personelle und fachliche Anforderungen an das ärztliche Personal</p> <p>¹Die Feststellung, dass bei Patienten und Patientinnen die Anwendungsvoraussetzungen für eine mit Onasemnogene Abeparvovec behandelbare SMA vorliegen, muss durch Fachärztinnen oder Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie erfolgen.</p> <p>²Zur Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen muss die Behandlungseinrichtung im Sinne des Abschnitt B über Erfahrung in der Behandlung von</p>

	<p>Patienten und Patientinnen mit neuromuskulären Erkrankungen im Allgemeinen und in der Behandlung der spinalen Muskelatrophie im Speziellen verfügen:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Erfahrung in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit neuromuskulären Erkrankungen¹ und Expertise in deren Behandlung dokumentiert durch regelmäßige Behandlung innerhalb der letzten 5 Kalenderjahre sowie durch die Behandlung von 50 Patientinnen und Patienten mit neuromuskulären Erkrankungen innerhalb der letzten zwölf Monate • Erfahrungen in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit SMA, dokumentiert durch die Behandlung von mind. 20 Fällen innerhalb von 3 Kalenderjahren mit dieser Diagnose: G12.0, G12.1, davon mindestens 5 Patientinnen und Patienten im Alter von weniger als 1 Lebensjahr.
--	--

§ 4 Anforderungen an Diagnostik sowie Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen

(1) ¹Zur Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen müssen folgende Bedingungen durch entsprechende strukturelle Vorhaltungen erfüllt sein:

- Vorliegen einer molekulargenetischen Diagnostik bezüglich der Deletion oder Mutation des SMN1-Gens inklusive Bestimmung der SMN2-Gen-Kopienzahl für das Vorliegen einer SMA, die nicht länger als 12 Monate zurückliegen darf
- Vorliegen eines Tests auf AAV9-Antikörpern

Position 1	Position 2
	(Titer nicht über 1: 50)

- Prüfung und ggf. Anpassung des Impfplans
- Beratung über saisonale RSV – Prophylaxe
- Ausschluss von Kontraindikationen
-

Position 1	Position 2
	Vorliegen einer standardisierten motorischen Funktionsdiagnostik gemäß den Empfehlungen zur „Verlaufsbeobachtung und Therapieevaluation bei spinaler Muskelatrophie“ der SMArtCARE Initiative ² .

²Im Übrigen bleiben die einzuhaltenden Anforderungen der amtlichen Fachinformation

¹ Neuromuskuläre Erkrankungen umfassen die Erkrankungen von Motoneuronen, ihrer peripheren Nervenfasern, Störungen der Signalübertragung an der neuromuskulären Synapse sowie Erkrankungen der Muskeln selbst (Sieb JP und Schrank B, 2009).

² Zuletzt abgerufen online 20.07.2020 unter <https://www.smartcare.de/>

unberührt.

- (2) ¹Die molekulargenetische Diagnostik muss in Laboren durchgeführt werden, die die Anforderungen nach § 5 Absatz 1 Satz 2 Nummer 1 bis 4 GenDG erfüllen.

Position 1	Position 2
-	² Die Feststellung der SMN2-Genkopienzahl hat mittels MLPA ³ Analytik in Laboren, die mindestens 50 SMN1/ SMN2 Testungen pro Jahr durchführen, zu erfolgen. ³ Die Aufbereitung des genetischen Materials und die Durchführung der Tests sollen nach standardisierten Vorgaben (Standardprozeduren, SOPs) erfolgen, die die Verwendung von Kontroll-DNA, identischen Extraktionsmethoden von Kontroll- und Test – DNA und die Überprüfung des Ergebnisses in Referenzlaboren vorschreibt. ⁴ Die Anwendung von Standardprozeduren setzt voraus, dass die Testverfahren regelmäßigen externen Qualitätssicherungen in Form von internationalen Ringversuchen unterliegen.

- (3) Die Feststellung des AAV9 – Antiköpertiters hat mittels eines validierten Tests zu erfolgen.

(4)

Position 1	Position 2
-	¹ Die Durchführung der standardisierten motorischen Funktionstests gemäß Absatz 1 ist durch Physiotherapeutinnen/ Physiotherapeuten mit mindestens zweijähriger Erfahrung in der physiotherapeutischen Diagnostik und Behandlung von Patientinnen und Patienten mit neuromuskulären Erkrankungen sicherzustellen. ² Sie müssen in der Durchführung von standardisierten, krankheits-spezifischen Muskelfunktionstests (z.B. CHOP-INTEND, HFMSE, RULM, 6MWT) geschult sein und praktische Expertise in der Anwendung der Testverfahren vorweisen können. ³ Die Qualifikation ist durch entsprechende Nachweise zu dokumentieren (z.B. praktische Erfahrung im Rahmen von klinischen Studien, Dokumentation der Durchführung der Test bei mind. 5 Patientinnen und Patienten und nachgewiesene Teilnahme an Kursen über motorische Funktionstests). ⁴ Die physiotherapeutische Kompetenz kann durch eigenes Personal oder nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 durch Kooperation vorgehalten werden. ⁵ Die physiotherapeutische Kompetenz ist in einem Umfang vorzuhalten, dass werktäglich eine physiotherapeutische Betreuung gewährleistet werden kann. ⁶ Diese ist in der Patientenakte zu dokumentieren.

Position 1	Position 2
------------	------------

³ MLPA: Multiplex ligation-dependent probe amplification

	<p>§ 5 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation</p> <p>¹Die Behandlungseinrichtung im Sinne von Abschnitt B hat organisatorische Vorkehrungen zu treffen, dass Patientinnen und Patienten mit Überweisung aufgrund des Verdachtes auf eine SMA unverzüglich, spätestens innerhalb von drei Werktagen, vorstellig werden können.</p>
--	--

C. Anforderungen zur Anwendung von Onasemnogene Abeparvovec

§ 6 Personelle und fachliche Anforderungen an das ärztliche Personal einschließlich apparativer Ausstattung

- (1) ¹Die für die Behandlung mit Onasemnogene Abeparvovec ärztlich verantwortliche Leitung und ihre Stellvertretung müssen Fachärztinnen oder Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie sein.²Die ärztlich verantwortliche Leitung und ihre Stellvertretung muss bezogen auf Vollzeitäquivalente über eine mindestens zweijährige einschlägige Berufserfahrung in einer Behandlungseinrichtung verfügen, welche die unter § 9 aufgeführten Anforderungen erfüllt.
- (2) ¹Während werktäglicher Dienstzeit muss die ärztliche Betreuung gemäß Facharztstandard in der Fachdisziplin für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie jederzeit verfügbar sein. ²Außerhalb der werktäglichen Dienstzeiten ist jeweils mindestens eine Rufbereitschaft vorzuhalten.
- (3) ¹Für das ärztliche Personal nach Absatz 1 und 2 muss die Teilnahme an einer einrichtungsinternen Schulung für die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Onasemnogene Abeparvovec erfolgen und in diesem Zusammenhang ein Training im Umgang mit Gentherapien nachgewiesen sein. ²Die Teilnahme an der einrichtungsinternen Schulung nach Satz 1 ist nachweislich zu dokumentieren.
- (4) ¹Ergänzend zu den Anforderungen nach Absatz 1 und 2 sind folgende Fachdisziplinen vorzuhalten:
 - pädiatrische Kardiologie
 - Laboratoriumsmedizin
 - pädiatrische Pneumologie

²Die Verfügbarkeit der Fachdisziplinen ist durch eigene Fachabteilungen des Krankenhauses oder nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 durch Kooperationen zu gewährleisten. ³Sofern im Feststellungsbescheid keine entsprechenden Teilgebiete ausgewiesen werden, gelten solche Abteilungen als Fachabteilungen im Sinne des Beschlusses, die organisatorisch abgegrenzt sind, von Ärztinnen oder Ärzten eigenständig verantwortlich geleitet werden und über die apparativen und räumlichen Ausstattungen des jeweiligen Fachbereichs verfügen. ⁴Soweit die Verfügbarkeit durch Kooperationen nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 sichergestellt wird, müssen die Leistungen am Ort der Behandlung mit Onasemnogene Abeparvovec erbringbar sein.

- (5) ¹Bei der Verlegung auf die Intensivstation muss durch organisatorische Vorkehrungen sichergestellt sein, dass täglich eine Visite durch eine Fachärztin oder einen Facharzt für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie auf der Intensivstation durchgeführt wird, der oder die in die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Onasemnogene Abeparvovec eingebunden ist und die Anforderungen nach Absatz 2 erfüllt. ²Mit dieser Ärztin bzw. diesem Arzt ist das Behandlungskonzept auf der Intensivstation abzusprechen. ³Die Durchführung der Visite nach Satz 1 sowie die Ergebnisse der Absprache nach Satz 2 sind in der Patientenakte nachweislich zu

dokumentieren.

§ 7 Personelle und fachliche Anforderungen an das nicht-ärztliche Personal

- (1) Die für die Behandlung von Patienten und Patientinnen mit Onasemnogene Abeparvovec pflegerisch verantwortliche Leitung und ihre Stellvertretung müssen Pflegefachkräfte mit der Berufsbezeichnung Gesundheits- und Kinderkrankenpfleger/in⁴ sein.
- (2) Jede Schicht auf der Station, auf der die Behandlung von Patienten und Patientinnen mit Onasemnogene Abeparvovec erfolgt, wird durch eine/n Gesundheits- und Kinderkrankenpfleger/in⁴ geleitet.
- (3) Das einer Station zugeordnete Personal sowie seine Leitungsstruktur müssen sich den Organisations- und Dienstplänen der Behandlungseinrichtung entnehmen lassen.

(4)

Position 1	Position 2
Die an der Behandlung beteiligten Physiotherapeutinnen oder Physiotherapeuten sollen über mindestens zweijährige Erfahrungen in der physiotherapeutischen Diagnostik und Behandlung von Patienten und Patientinnen mit neuromuskulären Erkrankungen verfügen.	¹ Für die Behandlung mit Onasemnogene Abeparvovec ist eine physiotherapeutische Betreuung durch besonders qualifiziertes Personal sicherzustellen. ² § 4 Absatz 4 findet entsprechende Anwendung.

⁴Die physiotherapeutische Kompetenz kann durch eigenes Personal oder nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 durch Kooperation vorgehalten werden. ³Die physiotherapeutische Kompetenz ist in einem Umfang vorzuhalten, dass werktäglich eine physiotherapeutische Behandlung gewährleistet ist: ⁴Diese ist in der Patientenakte zu dokumentieren.

(5) ¹Folgende weitere Leistungsbereiche bzw. folgendes Personal sollen verfügbar sein:

- Psychosoziale Betreuung
- Sozialdienst

²Die Verfügbarkeit der genannten Leistungsbereiche bzw. des Personals kann auch nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 durch Kooperationen gewährleistet werden. ³Die Leistungen sollen in der Behandlungseinrichtung zusätzlich zu den Verfügbarkeiten im Bedarfsfall mindestens an einem Tag in der Woche angeboten werden.

§ 8 Anforderungen an die Zusammenarbeit des ärztlichen und nicht-ärztlichen Personals

(1)

Position 1	Position 2

⁴ Berufsbezeichnung nach KrPflG.

An jedem Werktag soll eine Teambesprechung stattfinden, an der Fachärztinnen oder Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie immer teilzunehmen haben.	An jedem Werktag soll eine Teambesprechung stattfinden, an der Fachärztinnen oder Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie sowie Gesundheits- und Kinderkrankenpfleger/innen ⁵ und Physiotherapeutinnen oder Physiotherapeuten immer teilzunehmen haben.
--	---

(2)

Position 1	Position 2
¹ Die anderen in § 6 Absatz 4 genannten Bereiche sowie Physiotherapeutinnen oder Physiotherapeuten sollen bei Bedarf hinzugezogen werden. ² Bei jeder Teambesprechung sollte die Anwesenheit der Teilnehmenden protokolliert und in der jeweiligen Patientenakte der klinische Zustand und das abgesprochene Behandlungskonzept dokumentiert werden.	¹ Die anderen in § 6 Absatz 4 genannten Bereiche sollen bei Bedarf hinzugezogen werden. ² Bei jeder Teambesprechung sollte die Anwesenheit der Teilnehmenden protokolliert und in der jeweiligen Patientenakte der klinische Zustand und das abgesprochene Behandlungskonzept dokumentiert werden.

§ 9 Anforderungen an die Erfahrung in der Behandlungseinrichtung

¹Die Behandlungseinrichtung im Sinne des Abschnittes C, in der die Behandlung mit Onasemnogene Apeparvovec erfolgt, muss über folgende Erfahrung in der Behandlung von neuromuskulären Erkrankungen im Allgemeinen und in der Behandlung der spinalen Muskelatrophie im Speziellen verfügen:

- Erfahrung in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit neuromuskulären Erkrankungen und Expertise in deren Behandlung dokumentiert durch regelmäßige Behandlungen innerhalb der letzten 5 Jahre und durch die Behandlung von 50 Patientinnen und Patienten mit neuromuskulären Erkrankungen innerhalb der letzten zwölf Monate
- Erfahrungen in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit SMA, dokumentiert durch die Behandlung von mind. 20 Fällen mit dieser Diagnose (G12.0, G12.1) innerhalb von 3 Jahren.
- Erfahrung mit der medikamentösen Therapie der SMA, dokumentiert durch den Einsatz zur Behandlung der Spinalen Muskelatrophie zugelassener Medikamente bei ≥ 15 Fällen innerhalb von 3 Jahren, davon müssen mindestens 5 Patientinnen und Patienten im ersten Lebensjahr mit der Therapie begonnen haben.

⁵ Berufsbezeichnung nach KrPflG.

²Abweichend von Satz 1 können Erfahrungswerte auch über die Meldung der Behandlung von Patientinnen und Patienten an das SMARtCARE-Register dokumentiert werden.

§ 10 Anforderungen an Therapieentscheidung

- (1) ¹Zur Therapieentscheidung für eine Behandlung mit Onasemnogene Apeparvovec müssen die Anwendungsvoraussetzungen nach § 4 erfüllt sein.
- (2) ¹Die Entscheidung für die Therapie mit Onasemnogene Apeparvovec muss durch Fachärztinnen oder Fachärzten für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie, die die Anforderungen nach § 6 Abs. 1 Satz 2 erfüllen, und unter Einbindung der Befunde mindestens der folgenden Fachdisziplinen festgestellt werden:
 - pädiatrische Kardiologie
 - pädiatrische Pneumologie

²Datum, eingebundene Fachärzte oder Fachärztinnen und Beratungsergebnis sind schriftlich in der Patientenakte zu dokumentieren. ³Die Abwägungsentscheidung zur Therapieempfehlung für eine Behandlung mit Onasemnogene Apeparvovec ist unter Berücksichtigung der Anwendungsvoraussetzungen laut Zulassung, dem anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse und der Einschätzung zum patientenindividuellen Nutzen der Therapie mit Onasemnogene Apeparvovec zu begründen und zu dokumentieren. ⁴Dabei sind die Hinweise aus der Fachinformation insbesondere zu verbleibenden Unsicherheiten zum Nutzen bei Patienten mit intensiver Muskelschwäche und respiratorischer Insuffizienz, bei Patienten unter Dauerbeatmung und bei Patienten und Patientinnen, die nicht schlucken können sowie bei der Anwendung von Onasemnogen-Apeparvovec bei Frühgeborenen vor Erreichen des vollen Gestationsalters nachvollziehbar abzuwägen.

§ 11 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation

- (1) ¹Es müssen spezifische Standard Operating Procedures (SOP) für die klinische, apparative und laborchemische Überwachung zur Früherkennung von Komplikationen, den Umgang mit Komplikationen sowie für den Ablauf zur raschen und ungehinderten Verlegung des Patienten bzw. der Patientin auf die pädiatrische Intensivstation (Entscheidungsbefugnis, beteiligte Personen u.a.) vorhanden sein, eingehalten und vorgelegt werden.
- (2)

Position 1	Position 2
¹ Am Standort, an dem die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Onasemnogene Apeparvovec stattfindet, befindet sich eine Station für die pädiatrische Intensivmedizin, die altersgerechte Beatmungsmöglichkeiten vorhält.	¹ Bei Behandlung von Patienten und Patientinnen befindet sich in demselben räumlichen Gebäudekomplex zu den Räumlichkeiten der Behandlung mit Onasemnogene Apeparvovec eine Station für die pädiatrische Intensivmedizin, die altersgerechte Beatmungsmöglichkeiten vorhält.

- (3) ¹Die Empfehlung der Kommission für Krankenhaushygiene und Infektionsprävention beim Robert Koch-Institut (KRINKO) „Anforderungen an die Hygiene bei der medizinischen Versorgung von immunsupprimierten Patienten“ in der Fassung vom 20. März 2010 ist einzuhalten. ²Insoweit sind die auf dieser Basis erstellten innerbetrieblichen Verfahrensweisen für die organisatorischen und personellen Voraussetzungen einer effektiven Infektionsprävention nach § 23 Absätze 3 und 5 Infektionsschutzgesetz (IfSG) nachzuweisen.
- (4) Die Anforderungen an die Abwasser- und Abfallbehandlung von gentechnisch veränderten Organismen nach § 13 Gentechnik-Sicherheitsverordnung (GenTSV) sind einzuhalten-
- (5) ¹Die Behandlungseinrichtung im Sinne des Abschnitt C hält entsprechende Ressourcen vor, damit sich neu diagnostizierte Patienten mit Spinaler Muskelatrophie Typ 1 innerhalb von drei Werktagen nach Kontaktaufnahme vorstellen können. ²Hierzu kann die Behandlungseinrichtung im Sinne des Abschnitt C mit weiteren Behandlungseinrichtungen kooperieren, die die Anforderungen nach den §§ 6 bis 11 sowie des Abschnitt E erfüllen, um eine Verweisung vornehmen zu können.
- (6) ¹Es müssen spezifische SOP für die Übergänge zwischen Vorbereitung der Behandlung und Nachsorge zu der Onasemnogene Abeparvovec - Therapie vorhanden sein, eingehalten und vorgelegt werden. ²Die SOP beinhalten insbesondere:
- Vorgaben zur engen Kooperation in der Vorbereitung der Behandlung und in der Nachsorge mit den vor- und nachbehandelnden Krankenhäusern sowie ambulant tätigen Ärztinnen und Ärzten,
 - Regelungen zu regelmäßigen Informationspflichten der nach Abschluss der Onasemnogene Abeparvovec - Therapie in die weitere Behandlung einbezogenen Krankenhäuser sowie ambulant tätigen Ärztinnen und Ärzte,
 - sowie die Verpflichtung zur Erstellung eines patientenbezogenen Nachsorgeplans, der alle notwendigen Aspekte der Betreuung der Patientin oder des Patienten im Anschluss an die Onasemnogene Abeparvovec - Therapie berücksichtigt, und zur Übermittlung des Nachsorgeplans an die nachbehandelnden Krankenhäuser sowie ambulant tätigen Ärztinnen und Ärzte oder Einrichtungen.

⁴Die Vorgaben nach § 39 Absatz 1a SGB V zum Entlassmanagement zur Unterstützung einer sektorenübergreifenden Versorgung der Versicherten beim Übergang in die Versorgung nach der Krankenhausbehandlung bleiben davon unberührt.

D. Anforderungen nach der Anwendung von Onasemnogene Abeparvovec

§ 12 Anforderungen an die Nachsorge

- (1) Nach der Entlassung aus der Behandlungseinrichtung im Sinne von Abschnitt C, die die Onasemnogene Abeparvovec-Therapie erbracht hat, findet eine ambulante Nachsorge der Therapie mit Onasemnogene Abeparvovec nach Maßgabe der folgenden Regelungen unter Berücksichtigung des Nachsorgeplans nach § 11 Absatz 6 statt.
- (2) Ärztinnen und Ärzte sollen bei der Versorgung von Patientinnen und Patienten mit SMA, welche mit Onasemnogene Abeparvovec behandelt wurden, die Angaben zum Datum der Behandlung sowie die Kontaktdaten der Behandlungseinrichtung im Sinne von Abschnitt C, an dem die Therapie mit Onasemnogene Abeparvovec stattgefunden hat, in der Patientenakte dokumentieren.

(3) ¹Die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogene Apeparvovec ist bis mindestens fünf Jahre nach Maßgabe der personellen, fachlichen und strukturellen Anforderungen gemäß § 13 und § 14 zu gewährleisten. ²Die Nachsorge hat durch regelmäßige Einbestellung des Patienten oder der Patientin innerhalb der folgenden Intervalle nach der Entlassung aus der Behandlungseinrichtung im Sinne von Abschnitt C zu erfolgen:

- innerhalb der ersten vier Wochen: wöchentlich
- ab vier Wochen bis zwölf Wochen: alle zwei Wochen,
- ab dem vierten bis zum sechsten Monat: monatlich,
- ab dem siebten Monat bis ein Jahr: quartalsweise (alle drei Monate) sowie
- ab dem 1. Jahr: alle vier Monate.
-

Position 1	Position 2
	ab dem 5. Jahr: zweimal pro Jahr

³Diese sind in der Patientenakte zu dokumentieren.

§ 13 Personelle und fachliche Anforderungen an das ärztliche Personal und die Behandlungseinrichtung

(1) Die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogene Apeparvovec gemäß § 12 darf

Position 1	Position 2
bis zu einem Jahr	bis 4 Wochen

nach der Therapie mit Onasemnogene Apeparvovec nur in bzw. an einer Behandlungseinrichtung im Sinne des Abschnitt C angeschlossenen oder mit dieser kooperierenden ambulanten Einrichtung oder Hochschulambulanz erfolgen

Position 1	Position 2
<p>²Diese muss Erfahrung in der Behandlung von Patienten und Patientinnen mit neuromuskulären Erkrankungen im Allgemeinen und in der Behandlung der spinalen Muskelatrophie im Speziellen verfügt:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Erfahrung in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit neuromuskulären Erkrankungen und Expertise in deren Behandlung dokumentiert durch regelmäßige Behandlung innerhalb der letzten 5 Kalenderjahre sowie durch die Behandlung von 50 Patientinnen und Patienten mit neuromuskulären Erkrankungen innerhalb der letzten zwölf Monate • Erfahrungen in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit SMA, dokumentiert durch die Behandlung von mind. 20 Fällen innerhalb von 3 Kalenderjahren mit dieser Diagnose: 	,welche die Anforderung nach § 3 erfüllt.

G12.0, G12.1, davon mindestens 5 Patientinnen und Patienten im Alter von weniger als 1 Lebensjahr	
---	--

(2)

Position 1	Position 2
¹ Die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogene Abeparvovec gemäß § 12 darf ab einem Jahr nach der Entlassung aus der Behandlungseinrichtung im Sinne von Abschnitt C nur durch Fachärztinnen oder Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie erfolgen.	¹ Für die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogene Abeparvovec ab 4 Wochen in einer Behandlungseinrichtung im Sinne des Abschnitt D gelten die Anforderungen gemäß § 3 entsprechend.

§ 14 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation

- (1) ¹Der nachsorgende Leistungserbringer soll durch organisatorische Vorkehrungen die interdisziplinäre Betreuung der Patientin oder des Patienten durch Zusammenarbeit mit beispielsweise Sozialdiensten, Hilfsmittelberater/innen, Ernährungsberater/innen, Orthopäden unterstützen.

Position 1	Position 2
	² Insbesondere ist bei Patienten und Patientinnen bis zum vollendeten 18. Lebensjahr eine unterbrechungslose Weiterführung der Betreuung der Patienten und Patientinnen im Erwachsenenalter bei einer Fachärztin oder einem Facharzt für Neurologie zu koordinieren.

- (2) ¹Das ärztliche Personal für die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogene Abeparvovec muss sich über das fachliche Informationsmaterial für die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Onasemnogene Abeparvovec informiert und dieses zur Kenntnis genommen haben.

Position 1	Position 2
	² Die Erfüllung der Anforderung nach Satz 1 ist nachweislich zu dokumentieren.

E. Weitere Maßnahmen zur Sicherung der Prozess- und Ergebnisqualität

§ 15 Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten

- (1) Die Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten muss vor Anwendung von Onasemnogene Abeparvovec erfolgen.
- (2) ¹Die Aufklärung soll insbesondere folgende Aspekte umfassen:
- das Krankheitsbild SMA,
 - mögliche verfügbare therapeutische Alternativen, im Hinblick auf die Auswahl der Behandlungsoptionen, deren möglichen Nutzen und Risiken und den zeitlichen Ablauf der geplanten Untersuchungen,
 - die Überprüfung des Impfstatus,

- über die Möglichkeiten eines Einschlusses in das SMARtCARE-Register,
- sowie ggf. über den weiteren Ablauf der Behandlung und den Nachsorgeprozess mit der Notwendigkeit, dass eine engmaschige, wöchentliche bzw. zweiwöchentliche Kontrolle für mindestens 12 Wochen nach der Infusion von Onasemnogene Apeparvovec erforderlich ist, aufgeklärt werden.

²Die Aufklärung ist jeweils in der Patientenakte zu dokumentieren.

§ 16 wissensgenerierende Versorgung

Position 1	Position 2
-	<p>(1) ¹Die Leistungserbringung in allen Phasen der Behandlung (siehe Abschnitte B bis D) soll Ärztinnen und Ärzten sowie dem nicht-ärztlichen Personal die Teilnahme an einrichtungsübergreifenden Maßnahmen zur Qualitätssicherung und wissensgenerierenden Versorgung (insbesondere Registern, Qualitätszirkel und Analyse von Qualitätsindikatoren) national und international ermöglichen. ²Die Teilnahmen sind nachweisbar zu dokumentieren.</p>
<p>(2) ¹Alle an der Betreuung von mit Onasemnogene Apeparvovec behandelten SMA-Patientinnen und Patienten beteiligten Behandlungseinrichtungen nach den Abschnitten B /C bis D müssen die personellen und strukturellen Voraussetzungen für den Anschluss an das SMARtCARE-Register und ggf. andere erforderliche Dokumentationssysteme für die zeitnahe Dokumentation vorhalten.</p>	
<p>²Insbesondere ist bis mindestens fünf Jahre nach der Onasemnogene Apeparvovec-Therapie in regelmäßigen Abständen gemäß den SMARtCare-Empfehlungen zu dokumentieren. ³Sofern der Leistungserbringer selbst nicht die Voraussetzungen für einen Anschluss an die Registermodule nach Absatz 2 erfüllt, ist für die Dokumentation in eine geeignete Behandlungseinrichtung zur Dokumentation zu überweisen.</p>	<p>²Insbesondere ist bis mindestens fünf Jahre nach der Onasemnogene Apeparvovec-Therapie in regelmäßigen Abständen gemäß den SMARtCare-Empfehlungen folgendes zu dokumentieren:</p> <ul style="list-style-type: none"> • Vortherapien • Nebenwirkungen • motorische Funktion (durch standardisierte Tests z.B. CHOP-INTEND, HFMSE, RULM, 6MWT) • respiratorische Funktion, Schluckfunktion, Sprachentwicklung • Folgetherapien • Gesamtüberleben <p>³Ist abweichend von den Sätzen 1 und 2 ein Anschluss an das SMARtCARE-Register unmöglich, ist für die Dokumentation in eine geeignete Behandlungseinrichtung, die die Anforderungen dieses Beschlusses erfüllt, zu überweisen.</p>
	<p>(3) ¹Für die Durchführung der standardisierten motorischen Funktionstests nach Absatz 2 gilt §4 Absatz 4 entsprechend.</p>

- (4) ¹Sofern in Studienregistern gelistete klinische Studien mit versorgungsrelevanten Fragestellungen, welche insbesondere geeignet sind, die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit SMA klinisch weiterzuentwickeln und unter Beteiligung von deutschen Behandlungseinrichtungen durchgeführt werden, sollte den Patientinnen und Patienten die Teilnahme an diesen Studien empfohlen werden. ²Falls die Behandlungseinrichtung selbst nicht, wohl aber andere Behandlungseinrichtungen in Deutschland an einer entsprechenden Studie teilnehmen, sollte die Patientin oder der Patient über die Möglichkeit der Studienteilnahme an einer anderen Behandlungseinrichtung aufgeklärt werden. ³Die Information der Patientinnen und Patienten ist in der Patientenakte zu dokumentieren.

§ 17 Folgen der Nichterfüllung von Qualitätsanforderungen

- (1) Onasemnogene Abeparvovec darf nicht von Leistungserbringern angewendet werden, die die Mindestanforderungen nach den §§ 4, 6 - 11 sowie §§ 15 - 16 nicht erfüllen.
- (2)

Position 1	Position 2
¹ Die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogene Abeparvovec von Patientinnen und Patienten im Zusammenhang mit der Anwendung von Onasemnogene Abeparvovec darf nicht durch Leistungserbringer erfolgen, die die Mindestanforderungen nach den §§ 12 - 14 sowie §§ 16 nicht erfüllen.	¹ Die Vor- und Nachsorge der Therapie mit Onasemnogene Abeparvovec von Patientinnen und Patienten im Zusammenhang mit der Anwendung von Onasemnogene Abeparvovec darf nicht durch Leistungserbringer erfolgen, die die Mindestanforderungen nach den §§ 3 - 5 oder §§ 12 - 14 sowie §§ 15 - 16 nicht erfüllen.
-	(3) Die Kontrolle der Einhaltung der die zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassenen oder ermächtigten Leistungserbringer im Rahmen der die Vor- und Nachsorge betreffenden Mindestanforderungen nach §§ 3 – 5, 12 – 14 sowie §§ 15 – 16 erfolgt durch die zuständige Kassenärztliche Vereinigung.
-	(4) Der Medizinischen Dienst (MD) führt auf der Grundlage der MD-Qualitätskontroll-Richtlinie (MD-QK-RL) Kontrollen zur Einhaltung der Mindestanforderungen nach § 4, §§ 6- 11 sowie §§ 15 - 16 in den nach § 108 SGB V zugelassenen Krankenhäusern durch. Stellen zur Feststellung der Nichteinhaltung von Qualitätsanforderungen sowie zur Festlegung und Durchsetzung der Folgen der Nichteinhaltung nach der Qualitätsförderungs- und Durchsetzungsrichtlinie (QFD-RL) sind die Krankenkassen.

§ 18 Übergangsbestimmungen

- (1) Leistungserbringer bzw. Behandlungseinrichtungen, die bereits vor dem [Tag des Inkrafttretens] Onasemnogene Apeparvovec bei SMA angewandt oder die Versorgung in Form der Vor- und Nachsorge der Therapie mit Onasemnogene Apeparvovec von Patientinnen und Patienten im Zusammenhang mit der Therapie mit Onasemnogene Apeparvovec übernommen haben, müssen die geforderten Nachweise nach den Abschnitten B/C - E bis zu

Position 1	Position 2
6 Monate	6 Wochen

nach Inkrafttreten des Beschlusses erbringen.

- (2) Kann die Behandlungseinrichtung gegenüber dem Medizinischen Dienst bzw. den nach § 18 zuständigen Stellen nachweisen, dass die Fallzahlen der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit neuromuskulären Erkrankungen oder mit SMA erst zu einem späteren Zeitpunkt dokumentiert werden konnten und damit ein Zeitraum zur Grundlage der Beurteilung der Erfahrung gemacht werden würde, der weniger als drei bzw. fünf volle Kalenderjahre umfasst, kann auch das laufende Kalenderjahr anteilig einbezogen werden, um auf einen Gesamtzeitraum zu kommen, der drei bzw. fünf volle Jahre im Sinne der §§ 3] und 9 umfasst.

§ 19 Jährliche ICD-10-GM- und OPS-Anpassung

Der Unterausschuss Arzneimittel nimmt die durch die jährliche Aktualisierung der Internationalen statistischen Klassifikation der Krankheiten und verwandter Gesundheitsprobleme (ICD-10-GM) und des Operationen- und Prozedurenschlüssels (OPS) des Bundesinstituts für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) erforderlichen ICD-10-GM- und OPS-Anpassungen in § 1, § 6 und § 13 vor, soweit gemäß 1. Kapitel § 4 Absatz 2 Satz 2 der Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses der Kerngehalt der Richtlinie nicht berührt wird.

II. Der Beschluss tritt mit Wirkung vom [Tag des Beschlusses] in Kraft.

Die Tragenden Gründe zu diesem Beschluss werden auf der Internetseite des G-BA unter www.g-ba.de veröffentlicht.

Berlin, den 11. August 2020

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken