



Beschluss

des Gemeinsamen Bundesausschusses über Maßnahmen zur Qualitätssicherung nach § 136a Absatz 5 Sozialgesetzbuch Fünftes Buch (SGB V): Onasemnogen- Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie

Vom 20. November 2020

Der Gemeinsamen Bundesausschuss (G-BA) hat in seiner Sitzung am 20. November 2020 folgenden Beschluss zur Qualitätssicherung der Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie gemäß § 136a Absatz 5 SGB V beschlossen:

Beschluss wurde aufgehoben

I. „Beschluss über Maßnahmen zur Qualitätssicherung der Anwendung von Onasemnogen-Abeprarvovec bei spinaler Muskelatrophie

Inhaltsverzeichnis

A. Allgemeines	3
§ 1 Rechtsgrundlage und Gegenstand des Beschlusses	3
§ 2 Allgemeine Bestimmungen	3
B. Anforderungen im Zusammenhang mit der Anwendung von Onasemnogen-Abeprarvovec.....	4
§ 3 Anforderungen an die Erfahrung in den Behandlungseinrichtungen	4
§ 4 Anforderungen an Diagnostik sowie Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen.....	5
§ 5 Personelle und fachliche Anforderungen an das ärztliche Personal einschließlich apparativer Ausstattung.....	6
§ 6 Personelle und fachliche Anforderungen an das nicht-ärztliche Personal	7
§ 7 Anforderungen an Therapieentscheidung	8
§ 8 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation	9
§ 9 Anforderungen an die Nachsorge	9
§ 10 Personelle und fachliche Anforderungen an das ärztliche Personal in der Nachsorge.....	10
§ 11 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation in der Nachsorge	10
C. Weitere Maßnahmen zur Sicherung der Prozess- und Ergebnisqualität	11
§ 12 Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten	11
§ 13 wissensgenerierende Versorgung.....	11
§ 14 Folgen der Nichterfüllung von Qualitätsanforderungen.....	11
§ 15 Übergangsbestimmungen	12
§ 16 Jährliche ICD-10-GM- und OPS-Anpassung	12
Anlage I zum Beschluss über Maßnahmen zur Qualitätssicherung der Anwendung von Onasemnogen-Abeprarvovec bei spinaler Muskelatrophie (ICD10).....	13
Anlage II zum Beschluss über Maßnahmen zur Qualitätssicherung der Anwendung Onasemnogen-Abeprarvovec bei spinaler Muskelatrophie (Konformitätserklärung)	14

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 Qualitätsanforderungen an die Struktur-, Prozess- und Ergebnisqualität bei der Versorgung von Patientinnen und Patienten mit spinaler Muskelatrophie, bei denen Onasemnogen-Abeparvovec, ein Arzneimittel für neuartige Therapien (ATMP), 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; Anlage 1 Nr.1). ²Onasemnogen-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:
 - Patientinnen oder Patienten mit 5q-assoziiertes SMA mit einer biallelischen Mutation im *SMN1*-Gen und einer klinisch diagnostizierten Typ-1-SMA, oder
 - Patientinnen 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 Onasemnogen-Abeparvovec bei Säuglingen, Kleinkindern und Kindern mit SMA. ³Der G-BA geht davon aus, dass die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec aufgrund der Angaben in der Fachinformation für Säuglinge, Kleinkinder und Kinder vorgesehen ist und deshalb die Anwendung bei Patientinnen und Patienten 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 Patientinnen und Patienten 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 dieses Beschlusses sind nach § 108 SGB V zugelassene Krankenhäuser sowie an der vertragsärztlichen Versorgung teilnehmende Leistungserbringer (Behandlungseinrichtungen). ²Die Anforderungen an die Behandlungseinrichtungen im Sinne dieses Beschlusses werden in den §§ 3 ff. festgelegt. ³Krankenhäuser müssen die Anforderungen am Standort erfüllen, soweit nichts Anderes bestimmt wird. ⁴Es 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 Onasemnogen-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, dass 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. ²Werktägliche Dienstzeit umfasst die Wochentage von Montag bis Freitag mit Ausnahme der gesetzlichen Feiertage (Werktage). ³Rufbereitschaft im Sinne dieses Beschlusses bedeutet, dass das Personal mit der entsprechenden Qualifikation nicht zwingend vor Ort anwesend sein muss, aber jederzeit erreichbar ist, sodass auf Abruf eine unverzügliche Verfügbarkeit an Patientinnen und am Patienten gewährleistet werden kann. ⁴Eine Schicht im Sinne dieses Beschlusses umfasst sowohl die Tagschicht als auch die Nachtschicht.
- (5) ¹Eine Behandlungseinheit 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 Behandlungseinheit werden Patientinnen und Patienten entweder in einem medizinischen Fachgebiet oder interdisziplinär in verschiedenen Fachgebieten behandelt. ³Ausgenommen hiervon ist die Intensivstation, welche im Beschluss gesonderten Qualitätsanforderungen unterstellt ist.

B. Anforderungen im Zusammenhang mit der Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec

§ 3 Anforderungen an die Erfahrung in den Behandlungseinrichtungen

- (1) Eine Behandlungseinrichtung im Sinne dieses Beschlusses 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 Erkrankungen¹ innerhalb der letzten zwölf Monate.
 - Erfahrungen in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit SMA, dokumentiert durch die Behandlung von mindestens 20 Fällen mit dieser Diagnose (G12.0, G12.1) innerhalb von 3 Jahren, davon mindestens 5 Patientinnen und Patienten im Alter von weniger als 1 Lebensjahr.
- (2) Die Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abepravovec erfolgt, muss neben den Anforderungen nach Absatz 1 über Erfahrung mit der medikamentösen Therapie der SMA verfügen, dokumentiert durch den Einsatz zur Behandlung der Spinalen Muskelatrophie zugelassener Medikamente bei ≥ 15 Fällen innerhalb von 3 Jahren, davon mindestens 5 Patientinnen und Patienten im Alter von weniger als 1 Lebensjahr.
- (3) Abweichend von Absatz 1 und 2 können Erfahrungswerte auch über die Meldung der Behandlung von Patientinnen und Patienten an das SMARtCARE-Register dokumentiert werden.

§ 4 Anforderungen an Diagnostik sowie Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen

- (1) ¹Zur Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen müssen Behandlungseinrichtungen im Sinne dieses Beschlusses folgende Anforderungen durch entsprechende strukturelle Vorhaltungen erfüllen:
- 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 aller gemäß Fachinformation vorgeschriebenen Voraussetzungen, wie z.B.:
 - eines Tests auf AAV9-Antikörpern (Titer nicht über 1:50)
 - Prüfung und ggf. Anpassung des Impfplans
 - Beratung über saisonale RSV – Prophylaxe
 - Ausschluss von Kontraindikationen
 - einer standardisierten motorischen Funktionsdiagnostik gemäß den Empfehlungen zur „Verlaufsbeobachtung und Therapieevaluation bei spinaler Muskelatrophie“ der SMARtCARE Initiative².

²Im Übrigen bleiben die einzuhaltenden Anforderungen der amtlichen Fachinformation unberührt.

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/>

- (2) ¹Die Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, hat entsprechende Ressourcen vorzuhalten, damit Patientinnen und Patienten mit Spinaler Muskelatrophie mit Überweisung aufgrund des Nachweises einer Mutation des *SMN1*-Gens innerhalb von drei Werktagen nach Kontaktaufnahme vorstellig werden können. ²Hierzu kann die Behandlungseinrichtung mit weiteren Behandlungseinrichtungen kooperieren, die die Anforderungen nach den §§ 3 ff. erfüllen, um eine Verweisung vornehmen zu können.
- (3) ¹Die molekulargenetische Diagnostik gemäß Absatz 1 muss in Laboren durchgeführt werden, die die Anforderungen nach § 5 Absatz 1 Satz 2 Nummer 1 bis 4 des Gendiagnostikgesetzes (GenDG) erfüllen. ²Das Labor hat ein validiertes Verfahren zur Bestimmung der *SMN2*-Genkopienzahl mittels MLPA-Analytik³ zu verwenden und muss über Erfahrungen in der Durchführung dieses Verfahrens verfügen, die über eine Gelegenheitsversorgung hinausgeht. ³Hierfür wird eine Mindestanzahl von 20 Genuntersuchungen pro Jahr als ausreichend angesehen. ⁴Die Behandlungseinrichtung darf die molekulargenetische Analytik nur in Laboren durchführen lassen, die die Qualitätsanforderungen erfüllen. ⁵Die Behandlungseinrichtung kann die Labordiagnostik selbst durchführen oder nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 durch Kooperationen gewährleisten. ⁶Eine Kooperationsvereinbarung ist nur zulässig mit Laboren, die zur Erfüllung der Qualitätsanforderungen eine Konformitätserklärung gemäß Anlage II abgegeben haben.
- (4) Die Feststellung des AAV9-Antiköpertiters hat mittels eines validierten Tests zu erfolgen.

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

- (1) Die Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen für eine mit Onasemnogen-Abeparvovec behandelbare SMA gemäß § 4 muss durch Fachärztinnen oder Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie erfolgen.
- (2) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, muss abweichend von der Anforderung nach Absatz 1 die für die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec verantwortliche Ärztin oder der verantwortliche Arzt und mindestens eine weitere klinisch tätige Ärztin oder ein weiterer klinisch tätiger Arzt Fachärztinnen oder Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie sein. ²Die Ärztinnen oder Ärzte nach Satz 1 müssen bezogen auf Vollzeitäquivalente über eine mindestens zweijährige einschlägige Berufserfahrung in einer Behandlungseinrichtung verfügen, welche die unter § 3 Absätze 1 und 2 aufgeführten Anforderungen erfüllt. ³Während werktäglicher Dienstzeit muss die ärztliche Betreuung in der Behandlungseinrichtung, in der Onasemnogen-Abeparvovec zur Anwendung kommt, gemäß Facharztstandard in der Fachdisziplin für Kinder- und Jugendmedizin mit Kenntnissen im Bereich der Neuropädiatrie jederzeit verfügbar sein. ⁴Außerhalb der werktäglichen Dienstzeiten ist jeweils mindestens eine Rufbereitschaft vorzuhalten. ⁵Für das ärztliche Personal nach Satz 1 und 3 muss die Teilnahme an einer einrichtungsinternen Schulung für die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Onasemnogen-Abeparvovec erfolgen.

³ MLPA: Multiplex ligation-dependent probe amplification

⁶Die Teilnahme an der einrichtungsinternen Schulung nach Satz 5 ist nachweislich zu dokumentieren.

- (3) ¹Ergänzend zu den Anforderungen nach Absatz 2 sind in der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, 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 Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erbringbar sein.

- (4) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, muss bei der Verlegung auf die Intensivstation 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 Onasemnogen-Abeparvovec eingebunden ist. ²Die Durchführung der Visite nach Satz 1 ist in der Patientenakte zu dokumentieren.

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

- (1) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, müssen die pflegerisch verantwortliche Leitung und ihre Stellvertretung Pflegefachkräfte mit der Berufsbezeichnung Gesundheits- und Kinderkrankenpfleger/in⁴ sein. ²In jeder Schicht auf der Behandlungseinheit, auf der die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, ist sicherzustellen, dass ein/e Gesundheits- und Kinderkrankenpfleger/in⁴ anwesend ist. ³Das einer Behandlungseinheit zugeordnete Personal sowie seine Leitungsstruktur müssen sich den Organisations- und Dienstplänen der Behandlungseinrichtung entnehmen lassen.
- (2) ¹In den Behandlungseinrichtungen im Sinne dieses Beschlusses ist sicherzustellen, dass die Durchführung der standardisierten motorischen Funktionstests zur Diagnostik durch Physiotherapeutinnen und Physiotherapeuten mit mindestens zweijähriger Erfahrung in der physiotherapeutischen Diagnostik und Behandlung von Kindern mit neuromuskulären Erkrankungen erfolgt. ²Sie müssen in der Durchführung von standardisierten, krankheitsspezifischen Muskelfunktionstests (z.B. CHOP-INTEND,

⁴ Berufsbezeichnung nach Krankenpflegegesetz (KrPflG).

HFMSE, RULM, 6MWT) geschult sein. ³Die Qualifikation ist durch entsprechende Nachweise zu dokumentieren (z.B. nachgewiesene Teilnahme an Kursen über motorische Funktionstests). ⁴Die an der physiotherapeutischen Behandlung beteiligten Physiotherapeutinnen oder Physiotherapeuten sollen über mindestens zweijährige Erfahrungen in der physiotherapeutischen Behandlung von Kindern im Sinne dieses Beschlusses mit neuromuskulären Erkrankungen verfügen. ⁵Die physiotherapeutische Kompetenz nach Satz 1- 4 kann durch eigenes Personal oder nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 durch Kooperation vorgehalten werden. ⁶Die physiotherapeutische Kompetenz nach Satz 4 ist in einem Umfang vorzuhalten, dass werktäglich eine physiotherapeutische Behandlung gewährleistet ist.

- (3) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, sollen folgende weitere Leistungsbereiche bzw. folgendes Personal 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.

§ 7 Anforderungen an die Therapieentscheidung

- (1) Zur Therapieentscheidung für eine Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec müssen die Anwendungsvoraussetzungen nach § 4 erfüllt sein.

- (2) ¹Die Entscheidung für die Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec muss durch Fachärztinnen oder Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie, die die Anforderungen nach § 5 Absatz 2 Satz 1 und 2 erfüllen, und unter Berücksichtigung der Laborbefunde sowie der kinder-kardiologischen und -pneumologischen Befunde erfolgen. ²Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen. ³Datum, eingebundene Fachärztinnen oder Fachärzte und Beratungsergebnis sind schriftlich in der Patientenakte zu dokumentieren. ⁴Die Abwägungsentscheidung zur Therapieempfehlung für eine Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec ist unter Berücksichtigung der Anwendungsvoraussetzungen laut Zulassung, dem anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse und der Einschätzung zum patientenindividuellen Nutzen der Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec zu begründen und zu dokumentieren. ⁵Dabei sind die Hinweise aus der Fachinformation insbesondere zu verbleibenden Unsicherheiten zum Nutzen bei Patientinnen und Patienten mit intensiver Muskelschwäche und respiratorischer Insuffizienz, bei Patientinnen und Patienten unter Dauerbeatmung und bei Patientinnen und Patienten, die nicht schlucken können sowie bei der Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec bei Frühgeborenen vor Erreichen des vollen Gestationsalters nachvollziehbar abzuwägen.

§ 8 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation

- (1) In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, 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 der Patientin bzw. des Patienten auf die pädiatrische Intensivstation (Entscheidungsbefugnis, beteiligte Personen u.a.) vorhanden sein, eingehalten und vorgelegt werden.
- (2) Am Standort, an dem die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Onasemnogen-Abeparvovec stattfindet, befindet sich eine Behandlungseinheit für die pädiatrische Intensivmedizin, die altersgerechte Beatmungsmöglichkeiten vorhält.
- (3) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, müssen spezifische SOP für die Übergänge zwischen Vorbereitung der Behandlung und Nachsorge zu der Onasemnogen-Abeparvovec - Therapie vorhanden sein, eingehalten und vorgelegt werden. ²Die SOP beinhalten insbesondere:
 - Vorgaben zur Zusammenarbeit und zu regelmäßigen Informationspflichten in der Vorbereitung der Behandlung und in der Nachsorge mit den vor- und nachbehandelnden Behandlungseinrichtungen
 - Verpflichtung zur Erstellung eines patientenbezogenen Nachsorgeplans
 - sowie Angaben, in welchen Zeiträumen eine Wiedervorstellung der Patientinnen oder der Patienten in der Behandlungseinrichtung erfolgen soll, und Angaben, welche Untersuchungen und Maßnahmen durch die Behandlungseinrichtung vorgenommen werden sollen.
- (4) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, müssen spezifische SOP mit Vorgaben zur Durchführung einer täglichen Visite, an welcher sowohl ärztliches Personal zur Gewährleistung des Facharztstandards gemäß § 5 Absatz 2 Satz 3 als auch nicht-ärztliches Personal im Sinne des § 6 Absatz 1 teilnimmt, vorhanden sein, eingehalten und vorgelegt werden. ²Die in § 5 Absatz 3 genannten Bereiche sowie Physiotherapeutinnen oder Physiotherapeuten sollen bei Bedarf hinzugezogen werden. ³Bei jeder Visite sollte in der jeweiligen Patientenakte der klinische Zustand und das abgesprochene Behandlungskonzept dokumentiert werden.

§ 9 Anforderungen an die Nachsorge

- (1) Nach der Entlassung aus der Behandlungseinrichtung in der die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt ist, findet eine ambulante Nachsorge der Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec nach Maßgabe der folgenden Regelungen unter Berücksichtigung des Nachsorgeplans nach § 8 Absatz 3 statt.
- (2) Ärztinnen und Ärzte sollen bei der Versorgung von Patientinnen und Patienten mit SMA, welche mit Onasemnogen-Abeparvovec behandelt wurden, die Angaben zum Datum der Behandlung sowie die Kontaktdaten der Behandlungseinrichtung in der die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt ist, in der Patientenakte dokumentieren.

- (3) ¹Die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec ist bis mindestens fünfzehn Jahre nach Maßgabe der personellen, fachlichen und strukturellen Anforderungen gemäß § 10 und § 11 zu gewährleisten. ²Die Nachsorge hat durch regelmäßige Einbestellung der Patientin oder des Patienten innerhalb der folgenden Intervalle nach der Entlassung aus der Behandlungseinrichtung, in der die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt ist, 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: alle vier Monate,
- sowie ab dem 5. Jahr: einmal pro Jahr.

³Diese sind in der Patientenakte zu dokumentieren.

§ 10 Personelle und fachliche Anforderungen an das ärztliche Personal in der Nachsorge

- (1) Die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec gemäß § 9 darf bis zu einem Jahr nach der Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec nur in bzw. an eine Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, angeschlossenen oder mit dieser kooperierenden ambulanten Einrichtung oder Hochschulambulanz erfolgen.
- (2) In einer Behandlungseinrichtung für die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec gemäß § 9 gelten ab einem Jahr nach der Entlassung aus der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgte, die Anforderungen gemäß § 3 Absatz 1 mit der Maßgabe entsprechend, dass die Anforderung an die Erfahrungen in der Behandlung von 5 Patientinnen und Patienten im Alter von weniger als 1 Lebensjahr innerhalb von 3 Jahren keine Anwendung findet.

§ 11 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation in der Nachsorge

- (1) ¹Der nachsorgende Leistungserbringer soll durch organisatorische Vorkehrungen die interdisziplinäre Betreuung der Patientin oder des Patienten durch Zusammenarbeit mit beispielsweise Physiotherapeuten/innen, Sozialdiensten, Hilfsmittelberater/innen, Ernährungsberater/innen, Orthopäden/innen unterstützen. ²Insbesondere ist bei Patientinnen und Patienten bis zum vollendeten 18. Lebensjahr eine unterbrechungslose Weiterführung der Betreuung der Patientinnen und Patienten im Erwachsenenalter bei einer Fachärztin oder einem Facharzt für Neurologie zu koordinieren.
- (2) Das ärztliche Personal für die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec muss sich über das fachliche Informationsmaterial für die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Onasemnogen-Abeparvovec informiert und dieses zur Kenntnis genommen haben.

C. Weitere Maßnahmen zur Sicherung der Prozess- und Ergebnisqualität

§ 12 Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten

- (1) Die Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten muss vor Anwendung von Onasemnogen-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,
 - die Möglichkeiten eines Einschlusses in das SMARtCARE-Register,
 - sowie ggf. Aufklärung 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 Onasemnogen-Abeparvovec erforderlich ist.

²Die Aufklärung ist jeweils in der Patientenakte zu dokumentieren.

§ 13 wissensgenerierende Versorgung

- (1) ¹Behandlungseinrichtungen im Sinne dieses Beschlusses, welche die Versorgung von Patientinnen und Patienten bis mindestens fünf Jahre nach der Onasemnogen-Abeparvovec-Therapie übernehmen, müssen die personellen und strukturellen Voraussetzungen für den Anschluss an das SMARtCARE-Register und ggf. andere erforderliche Dokumentationssysteme für die zeitnahe Dokumentation vorhalten. ²Insbesondere ist bis mindestens fünf Jahre nach der Onasemnogen-Abeparvovec-Therapie in regelmäßigen Abständen gemäß den SMARtCARE-Empfehlungen zu dokumentieren. ³Sofern der Leistungserbringer selbst nicht die Voraussetzungen für einen Anschluss an die Registermodule nach Satz 1 erfüllt, ist für die Dokumentation in eine geeignete Behandlungseinrichtung zur Dokumentation zu überweisen.
- (2) Für die Durchführung der standardisierten motorischen Funktionstests gilt § 6 Absatz 2 Satz 1 und 2 entsprechend.

§ 14 Folgen der Nichterfüllung von Qualitätsanforderungen

- (1) Onasemnogen-Abeparvovec darf nicht von Leistungserbringern angewendet werden, die die Mindestanforderungen nach den § 3, §4, §5 Absätze 2 - 4, §§6 - 8 sowie §§ 12 - 13 nicht erfüllen.
- (2) Die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec von Patientinnen und Patienten im Zusammenhang mit der Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec darf nicht durch Leistungserbringer erfolgen, die die Mindestanforderungen nach den §§ 9 - 11 sowie §13 nicht erfüllen.
- (3) Die Kontrolle der Einhaltung der die zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassenen

oder ermächtigten Leistungserbringer im Rahmen der die Nachsorge betreffenden Mindestanforderungen nach Absatz 2 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 Absatz 1 in den nach § 108 SGB V zugelassenen Krankenhäusern durch.

§ 15 Übergangsbestimmungen

- (1) Leistungserbringer bzw. Behandlungseinrichtungen, die bereits vor dem 24. April 2021 Onasemnogen-Abeparvovec bei SMA angewandt oder die Versorgung in Form der Vor- und Nachsorge der Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec von Patientinnen und Patienten im Zusammenhang mit der Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec übernommen haben, müssen die geforderten Nachweise nach Abschnitt B bis zum 24. Oktober 2021 erbringen.
- (2) Kann die Behandlungseinrichtung gegenüber dem Medizinischen Dienst bzw. den nach § 14 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 ein bzw. drei volle Jahre im Sinne der § 3 Absatz 1 oder § 3 Absatz 2 umfasst.

§ 16 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 Absatz 3 sowie § 3 Absatz 1, soweit gemäß 1. Kapitel § 4 Absatz 2 Satz 2 der Verfahrensordnung des Gemeinsamen Bundesausschusses der Kerngehalt der Richtlinie nicht berührt wird.

Anlage I
zum Beschluss über Maßnahmen zur Qualitätssicherung der Anwendung von
Onasemnogen-Abepravovec bei spinaler Muskelatrophie (ICD10)

1. Übersicht zu Kodierungen von Diagnosen sowie Operationen und Prozeduren

ICD-10-GM 2020	
G12.0	Infantile spinale Muskelatrophie, Typ I [Typ Werdnig-Hoffmann]
G12.1	Sonstige vererbte spinale Muskelatrophie Inkl.: <ul style="list-style-type: none"> • Progressive Bulbärparalyse im Kindesalter [Fazio-Londe-Syndrom] • Spinale Muskelatrophie: distale Form • Spinale Muskelatrophie: Erwachsenenform • Spinale Muskelatrophie: juvenile Form, Typ III [Typ Kugelberg-Welander] • Spinale Muskelatrophie: Kindheitsform, Typ II • Spinale Muskelatrophie: skapuloperonäale Form
OPS Version 2020	
[noch] nicht besetzt	
-	-

Beschluss wurde aufgehoben

**Anlage II
zum Beschluss über Maßnahmen zur Qualitätssicherung der Anwendung
Onasemnogen-Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie (Konformitätserklärung)**

Musterformular zur Konformitätserklärung der Labore nach § 4 Absatz 3

Selbstauskunft des Leistungserbringers:

Adresse des Labors:

Firmenname

Straße

PLZ, Ort

Die Behandlungseinrichtung erklärt in alleiniger Verantwortung, dass die folgenden Anforderungen erfüllt sind:

- Die Feststellung der *SMN2*-Genkopienzahl erfolgt mittels MLPA-Analytik.
- Angabe der durchschnittlichen Anzahl der *SMN2*-Genkopienzahl-Analysen/Jahr (mindestens 20):
- Die Anforderungen nach § 5 Absatz 1 Satz 2 Nummer 1 bis 4 GenDG werden erfüllt.
- Die Aufbereitung des genetischen Materials und die Durchführung der Tests erfolgen nach standardisierten Vorgaben (Standardprozeduren, SOPs)
- Das Labor nimmt regelmäßig an externen Qualitätssicherungen in Form von Ringversuchen teil.

Hiermit wird die Richtigkeit der obigen Angaben bestätigt.

Name

Ort, Datum

Unterschrift (Laborleitung)“

- II. Der Beschluss tritt am Tag nach Veröffentlichung im Bundesanzeiger in Kraft.**
- III. Der Beschluss ist Teil der Richtlinien nach § 92 Absatz 1 Satz 2 Nummer 6 SGB V und wird Bestandteil der Richtlinie zu Anforderungen an die Qualität der Anwendung von Arzneimitteln für neuartige Therapien gemäß § 136a Absatz 5 SGB V (ATMP-Qualitätssicherungs-Richtlinie – ATMP-QS-RL).**

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

Berlin, den 20. November 2020

Gemeinsamer Bundesausschuss
gemäß § 91 SGB V
Der Vorsitzende

Prof. Hecken

Beschluss wurde aufgehoben