

# Anlage V



der Richtlinie zu Anforderungen an die Qualität der  
Anwendung von Arzneimitteln für neuartige Therapien  
gemäß § 136a Absatz 5 SGB V (ATMP-QS-RL)

Eladocagene exuparovec bei Aromatische-L-Aminosäure-  
Decarboxylase-(AADC)-Mangel

## **a. Qualitätsanforderungen**

### **§ 1 Gegenstand**

- (1) In dieser Anlage werden auf Grundlage des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie (Abschnitt I.) Anforderungen an die Qualität bei der Versorgung von Patientinnen und Patienten mit Eladocagene exuparvovec, einem Arzneimittel für neuartige Therapien (ATMP), zur Behandlung des Aromatische-L-Aminosäure-Decarboxylase-(AADC)-Mangels festgelegt.
- (2) <sup>1</sup>Aromatische-L-Aminosäure-Decarboxylase-(AADC)-Mangel im Sinne von Absatz 1 ist eine genetisch bedingte neurometabolische Störung, welche mit eingeschränkter Synthese der Neurotransmitter Dopamin und Serotonin einhergeht (insbesondere G24.8, E88.9 nach ICD-10-GM-2024). <sup>2</sup>Eladocagene exuparvovec ist eine rekombinante Adeno-assoziierte Virusvektor-basierte Gentherapie, die eine Kopie des Gens liefert, das für das menschliche Dopa-Decarboxylase(DDC)-Gen kodiert. <sup>3</sup>Der Anhang 1 enthält eine Übersicht für Codes von Diagnosen.
- (3) <sup>1</sup>Upstaza (Eladocagene exupravovec) ist indiziert zur Behandlung von Patientinnen und Patienten im Alter ab 18 Monaten mit einer klinisch, molekularbiologisch und genetisch bestätigten Diagnose eines Aromatische-L-Aminosäure-Decarboxylase-(AADC)-Mangels mit einem schweren Phänotyp. <sup>2</sup>Die 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 ab einem Alter von 12 Jahren und nicht erwiesener Sicherheit und Wirksamkeit in dieser Patientenpopulation, gesondert und nachvollziehbar abzuwägen sind.

### **§ 2 Anforderungen an die Erfahrung in den Behandlungseinrichtungen**

Die Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, muss über folgende Erfahrung in der Behandlung von seltenen Bewegungsstörungen im Allgemeinen und in der Behandlung des AADC-Mangels im Speziellen verfügen:

1. Erfahrungen in der Diagnostik und Betreuung von Kindern mit seltenen und unklaren Bewegungsstörungen dokumentiert durch  $\geq 10$  Behandlungsfälle mit dieser Diagnose (G24.0, G24.1, G24.2, G24.3, G24.4, G24.5, G24.8, G24.9, G25.0, G25.1, G25.2, G25.3, G25.4, G25.5, G25.6, G25.80, G25.81, G25.88, G25.9, G26\* nach ICD-10-GM-2024) innerhalb der letzten zwei Jahre, die der Arzneimittelanwendung vorausgegangen sind und
2. Erfahrung in der Behandlung von Patientinnen und Patienten dokumentiert durch mindestens einen Behandlungsfall mit einer gesicherten ärztlichen Diagnose eines AADC-Mangels gemäß § 1 Absatz 2 Satz 1 innerhalb der letzten zwei Jahre, die der Arzneimittelanwendung vorausgegangen sind.

### **§ 3 Anforderungen an das ärztliche Personal**

- (1) <sup>1</sup>In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, muss die für die Anwendung von

Eladocagene exuparvovec verantwortliche Ärztin oder der verantwortliche Arzt und mindestens eine weitere Ärztin oder ein weiterer Arzt Fachärztin oder Facharzt für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie sein.<sup>2</sup>Die Ärztinnen oder Ärzte nach Satz 1 müssen, bezogen auf Vollzeitäquivalente, über eine mindestens zweijährige einschlägige Berufserfahrung in einer Behandlungseinrichtung verfügen, welche die unter

Position A	Position B
§ 2	§ 2 Nummer 1

aufgeführten Anforderungen erfüllt.<sup>3</sup>Bei Tätigkeiten in Teilzeit erfolgt eine Umrechnung der entsprechenden Berufserfahrung auf Vollzeitäquivalente.

- (2) Für die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Eladocagene exuparvovec muss eine ärztliche Betreuung gemäß Facharztstandard in der Fachdisziplin „Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie“ erfolgen.
- (3) <sup>1</sup>In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, muss die für den stereotaktischen Eingriff zur Applikation von Eladocagene exuparvovec verantwortliche Ärztin oder der verantwortliche Arzt eine Fachärztin oder ein Facharzt für Neurochirurgie mit mindestens fünfjähriger Berufserfahrung in einer Einrichtung, die stereotaktische Eingriffe vornimmt, bezogen auf Vollzeitäquivalente, sein. <sup>2</sup>Bei Tätigkeiten in Teilzeit erfolgt eine Umrechnung der entsprechenden Berufserfahrung auf Vollzeitäquivalente.
- (4) <sup>1</sup>Ergänzend zu den Anforderungen nach Absatz 1 bis 3 ist in der Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit Eladocagene exuparvovec erfolgt, die Verfügbarkeit der Fachdisziplin Radiologie einschließlich der Untersuchungs- und Behandlungsmöglichkeit Computertomographie (CCT) und Magnetresonanztomographie (MRT) des Schädels sicherzustellen. <sup>2</sup>Die Verfügbarkeit der Fachdisziplin ist durch die Behandlungseinrichtung oder nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 Satz 2 i.V.m. § 3 Absatz 5 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie durch Kooperationen zu gewährleisten. <sup>3</sup>Für jede kooperierende Einrichtung ist eine Ansprechpartnerin oder ein Ansprechpartner zu benennen.

#### **§ 4 Anforderungen an das weitere beteiligte Personal**

- (1) <sup>1</sup>In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, muss sichergestellt sein, dass physiotherapeutisches Personal für die Durchführung von standardisierten Motoriktests von Patientinnen und Patienten mit AADC-Mangel verfügbar ist, das über eine mindestens zweijährige Erfahrung in der physiotherapeutischen Diagnostik und Behandlung von Kindern mit Bewegungsstörung verfügt und in der Durchführung von standardisierten Motoriktests (z.B. GMFM-88) geschult ist. <sup>2</sup>Die physiotherapeutische Kompetenz nach Satz 1 kann durch eigenes Personal oder nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 Satz 2 i.V.m. § 3 Absatz 5 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie durch Kooperation vorgehalten werden.
- (2) <sup>1</sup>In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, muss sichergestellt sein, dass eine Psychotherapeutin oder ein Psychotherapeut oder eine Psychologin oder ein Psychologe

für die Durchführung von standardisierten psychologischen Tests von Patientinnen und Patienten mit AADC-Mangel verfügbar ist, die oder der über eine mindestens zweijährige Erfahrung in der psychologischen Diagnostik und Behandlung von Kindern mit Bewegungsstörung verfügt und in der Durchführung von standardisierten psychologischen Testungen (z.B. PDMS-2, BSID, PEDI) geschult ist. <sup>2</sup>Die psychotherapeutische Kompetenz nach Satz 1 kann durch eigenes Personal oder nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 Satz 2 i.V.m. § 3 Absatz 5 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie durch Kooperation vorgehalten werden.

- (3) <sup>1</sup>In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, soll ein Sozialdienst verfügbar sein. <sup>2</sup>Die Verfügbarkeit dieses Leistungsbereiches kann nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 Satz 2 i.V.m. § 3 Absatz 5 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie auch durch Kooperationen gewährleistet werden.

## **§ 5 Anforderungen an die Indikationsstellung**

- (1) <sup>1</sup>Grundsätzliche Voraussetzung für die Indikationsstellung ist die Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen des Gentherapeutikums in der Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt. <sup>2</sup>Hierzu muss das Ergebnis einer mit einem validierten Verfahren durchgeführten molekular-genetischen Diagnostik des AADC-Mangels vorliegen. <sup>3</sup>Zudem

<b>Position A</b>	<b>Position B</b>
muss	sollte

vor Durchführung der Therapie mit Eladocagene exuparvovec ein validierter Test auf AAV2-Antikörper erfolgen. <sup>4</sup>Die Einhaltung der Anforderung nach den Sätzen 1 bis 3 ist durch die Dokumentation des Ergebnisses in der Patientenakte nachzuweisen. <sup>5</sup>Im Übrigen bleiben die einzuhaltenden Anforderungen der amtlichen Fachinformation unberührt.

- (2) <sup>1</sup>Die Entscheidung für die Therapie mit Eladocagene exuparvovec muss durch eine Fachärztin oder einen Facharzt, die oder der die Anforderungen nach § 3 Absatz 1 erfüllt erfolgen. <sup>2</sup>Datum, eingebundene Fachärztinnen oder Fachärzte und Beratungsergebnis sind durch die Dokumentation in der Patientenakte nachzuweisen.
- (3) <sup>1</sup>Zur Planung des operativen Vorgehens sind neben den Anforderungen nach § 3 Absatz 1 eine Fachärztin oder ein Facharzt, die oder der die Anforderungen nach § 3 Absatz 3 erfüllt, sowie eine Fachärztin oder ein Facharzt für Anästhesiologie hinzuzuziehen. <sup>2</sup>Datum, eingebundene Fachärztinnen oder Fachärzte und Beratungsergebnis sind durch die Dokumentation in der Patientenakte nachzuweisen.

## **§ 6 Anforderungen an die Aufklärung von Patientinnen und Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten**

- (1) <sup>1</sup>Die Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten muss vor Anwendung des ATMP erfolgen. <sup>2</sup>Die Durchführung der Aufklärung ist durch die Dokumentation in der Patientenakte nachzuweisen.
- (2) Die Aufklärung soll insbesondere folgende Aspekte umfassen:

1. das Krankheitsbild des AADC-Mangels
2. mögliche verfügbare therapeutische Alternativen im Hinblick auf die Auswahl der Behandlungsoptionen, deren möglichen Nutzen und Risiken und den zeitlichen Ablauf der geplanten Untersuchungen, sowie
3. die Aufklärung über den weiteren Ablauf der Behandlung und den Nachsorgeprozess mit einer gegebenenfalls notwendigen, engmaschigen Kontrolle.

## § 7 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation

Position A	Position B
<p>(1) <sup>1</sup>Die Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, muss entsprechende Ressourcen vorhalten, damit Patientinnen und Patienten mit AADC-Mangel mit Überweisung aufgrund des Nachweises einer Mutation des DDC-Gens innerhalb von vier Wochen nach Kontaktaufnahme vorstellig werden können. <sup>2</sup>Hierzu kann die Behandlungseinrichtung mit weiteren Behandlungseinrichtungen kooperieren, die die Anforderungen an eine Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, erfüllen, um eine Verweisung vornehmen zu können.</p>	<p><i>entfällt</i></p>

(2)/(1) Am Standort der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, befindet sich eine pädiatrische Intensivstation.

(3)/(2) In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Eladocagene exuparvovec 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 des Patienten bzw. der Patientin auf die pädiatrische Intensivstation (Entscheidungsbefugnis, beteiligte Personen u.a.) vorhanden sein.

(4)/(3) <sup>1</sup>In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, muss eine spezifische SOP für die Übergänge zwischen Vorbereitung der Behandlung und Nachsorge zu der Eladocagene exuparvovec -Therapie vorhanden sein. <sup>2</sup>Die SOP kann beinhalten:

1. Vorgaben zur Zusammenarbeit mit den vor- und nachbehandelnden Behandlungseinrichtungen sowie ambulant tätigen Ärztinnen und Ärzten oder Einrichtungen,
2. die Verpflichtung zur Erstellung und Übermittlung eines patientenbezogenen Nachsorgeplans,
3. Angaben, in welchen Zeiträumen eine Wiedervorstellung der Patientin bzw. des Patienten in der Behandlungseinrichtung erfolgen soll, und

4. Angaben, welche Symptome oder Komplikationen Anlass zur unmittelbaren Vorstellung in einer zur Therapie mit Eladocagene exuparvovec qualifizierten Behandlungseinrichtung geben.

## § 8 Registerteilnahme

<sup>1</sup>Die Behandlungseinrichtung muss ihre Teilnahme an einem geeigneten Register, z.B. iNTD-Register, nachweisen. <sup>2</sup>Patientinnen und Patienten sind vor der Behandlung im Rahmen der Aufklärung über die Möglichkeit der Teilnahme zu informieren. <sup>3</sup>Die Information der Patientinnen und Patienten ist durch die Dokumentation in der Patientenakte nachzuweisen.

## § 9 Anforderungen an die Nachsorge

- (1) Die Nachsorge der Therapie mit dem Eladocagene exuparvovec findet nach Maßgabe der folgenden Regelungen unter Berücksichtigung der SOP nach

<i>Folgedissens aus §7 Abs. 1</i>	
<b>Position A</b>	<b>Position B</b>
§ 7 Absatz 4 statt.	§ 7 Absatz 3 statt.

- (2) Die Nachsorge der Therapie mit Eladocagene exuparvovec ist bis mindestens fünfzehn Jahre nach der Anwendung von Eladocagene exuparvovec zu gewährleisten und hat durch regelmäßige Einbestellung der Patientin oder des Patienten innerhalb der folgenden Intervalle nach der Entlassung aus der Behandlungseinrichtung, in der die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt ist, zu erfolgen:

1. innerhalb der ersten zwei Jahre: alle 6 Monate
2. ab dem dritten bis einschließlich zum fünfzehnten Jahr: jährlich.

- (3) Die Nachsorge der Therapie mit Eladocagene exuparvovec hat innerhalb der ersten zwei Jahre nach der Therapie mit Eladocagene exuparvovec in einer Behandlungseinrichtung zu erfolgen, die die Anforderungen nach §§ 2 bis 8 erfüllt.

- (4) <sup>1</sup>Ab dem dritten bis einschließlich dem fünfzehnten Jahr nach der Therapie mit Eladocagene exuparvovec

<b>Position A</b>	<b>Position B</b>
hat die Nachsorge durch Behandlungseinrichtungen zu erfolgen, die die Anforderungen nach § 2 Nummer 1 erfüllen. <sup>2</sup> Die Nachsorge hat durch Fachärztinnen oder Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie zu erfolgen. <sup>3</sup> Für diese Behandlungseinrichtung gilt § 8 Satz 1 entsprechend.	hat die Nachsorge durch Fachärztinnen oder Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie zu erfolgen.

**b. Besondere Bestimmungen**

**§ 10 Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für zugelassene Krankenhäuser**

- (1) <sup>1</sup>Bei den die Behandlungseinrichtungen betreffenden Qualitätsanforderungen in § 2, § 3 Absatz 1 Satz 1 und 2, Absatz 2, Absatz 3 Satz 1, Absatz 4 Satz 1, § 4 Absatz 1 Satz 1, Absatz 2 Satz 1, § 5 Absatz 1 Satz 1

<i>Folgedissens aus §5 Abs. 1</i>	
<b>Position A</b>	<b>Position B</b>
bis 3	und 2

, Absatz 2 Satz 1, Absatz 3 Satz 1, § 6 Absatz 1 Satz 1, § 7

<i>Folgedissens aus §7 Abs. 1</i>	
<b>Position A</b>	<b>Position B</b>
Absatz 1 Satz 1, Absatz 2, Absatz 3, Absatz 4 Satz 1	Absatz 1, Absatz 2, Absatz 3 Satz 1

und § 8 Satz 1 und 2 handelt es sich um Mindestanforderungen. <sup>2</sup>Die Mindestanforderungen gemäß § 3 Absatz 1 Satz 1 und 2, Absatz 2, Absatz 3 Satz 1, Absatz 4 Satz 1, § 4 Absatz 1 Satz 1 und Absatz 2 Satz 1 sind solange einzuhalten, wie bei Patientinnen und Patienten eine Therapie mit Eladocagen exuparvovec angewandt wird.

- (2) <sup>1</sup>Aufgrund einer Anzeige nach § 10 Absatz 3 oder Absatz 5 Satz 5 beziehungsweise einer Anzeige und einem Antrag nach § 16 Absatz 4 oder Absatz 6 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie hat der Leistungserbringer die für den Nachweis der Erfüllung der Mindestanforderungen erforderlichen einrichtungs- und personenbezogenen Daten gemäß § 10 Absatz 5 beziehungsweise § 16 Absatz 2 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie anhand des Vordrucks der Checkliste nach Anhang 2 Teil 1 zu übermitteln. <sup>2</sup>Aufgrund einer Anzeige nach § 10 Absatz 5 Satz 5 beziehungsweise § 16 Absatz 6 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie ist darüber hinaus auch Anhang 3 Teil 1 vorzulegen.
- (3) Abweichend von § 2 kann die Behandlungseinrichtung zur Einhaltung der Qualitätsanforderungen nachweisen, dass die Fallzahlen der Diagnostik und Betreuung von Kindern mit seltenen und unklaren Bewegungsstörungen und der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit einer gesicherten Diagnose eines AADC-Mangels erst zu einem späteren Zeitpunkt dokumentiert werden konnten und damit ein Zeitraum zur Grundlage der Beurteilung der Erfahrung gemacht werden würde, der weniger als zwei volle Kalenderjahre umfasst, kann auch das laufende Kalenderjahr anteilig einbezogen werden, um auf einen Gesamtzeitraum zu kommen, der zwei volle Kalenderjahre im Sinne der § 2 umfasst.
- (4) <sup>1</sup>Zur Evaluation gemäß § 21 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie hat der Leistungserbringer die für den Nachweis der weiteren Qualitätsanforderungen erforderlichen Dokumentationen anhand des Vordrucks der Checkliste nach Anhang 2 Teil 2 zu übermitteln. <sup>2</sup>Um weitere Qualitätsanforderungen in diesem Sinne handelt es sich bei § 4 Absatz 3 Satz 1,

Folgedissens aus §5 Abs. 1	
Position A	Position B
entfällt	§ 5 Absatz 1 Satz 3,

§ 6 Absatz 2 und § 7

Folgedissens aus §7	
Position A	Position B
Absatz 4 Satz 2.	Absatz 3 Satz 2.

### § 11 Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für Leistungen durch Hochschulambulanzen oder nachstationäre Versorgung nach § 115a SGB V

<sup>1</sup>Die Anzeige- und Nachweisverpflichtung nach § 15 i.V.m. §§ 10 und 12 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie besteht für Behandlungseinrichtungen, die als Hochschulambulanzen Leistungen im Rahmen der nachstationären Versorgung im Krankenhaus erbringen. <sup>2</sup>Der Medizinische Dienst führt Kontrollen zur Einhaltung der Mindestanforderungen nach § 12 Absatz 1 durch. <sup>3</sup>§ 10 Absatz 2 findet entsprechende Anwendung mit der Maßgabe, dass der Vordruck der Checkliste nach § 12 Absatz 2 zu verwenden ist.

### § 12 Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen an die nachsorgende Behandlungseinrichtung

- (1) Bei den die Behandlungseinrichtungen betreffenden Qualitätsanforderungen in § 9 Absatz 2 bis 4 handelt es sich um Mindestanforderungen im Rahmen der Nachsorge der Therapie mit Eladocagene exuparvovec.
- (2) <sup>1</sup>Mit der Anzeige nach § 16 Absatz 1 Satz 1 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie hat der Leistungserbringer die für den Nachweis der Erfüllung der Mindestanforderungen erforderlichen einrichtungs- und personenbezogenen Daten anhand des Vordrucks der Checkliste nach Anhang 4 Teil 1 oder 2 zu übermitteln. <sup>2</sup>Die Anzeige- und Nachweisverpflichtung gegenüber der zuständigen Stelle besteht für Behandlungseinrichtungen für den nach § 9 Absatz 2 vorgesehenen Versorgungszeitraum der Nachsorge von 15 Jahren.
- (3) <sup>1</sup>Abweichend von § 17 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie sind Neuaufnahmen von mit Eladocagene exuparvovec vorbehandelter Patientinnen und Patienten bis zur Wiedererfüllung der Anforderungen nach Absatz 1 dann zulässig, wenn eine anderweitige vertragsärztliche Versorgung durch zugelassene oder ermächtigte Leistungserbringer, in Hochschulambulanzen sowie im Rahmen nachstationärer Versorgung, die die Anforderungen dieser Anlage erfüllt, nicht möglich ist. <sup>2</sup>Gründe für die Dringlichkeit und die Unmöglichkeit der anderweitigen Versorgung sind nachweislich in der Patientenakte zu dokumentieren. <sup>3</sup>Die Mindestanforderungen sind schnellstmöglich wieder zu erfüllen. <sup>4</sup>Die Kassenärztliche Vereinigung ist darüber unverzüglich zu informieren.

### § 13 Übergangsregelung

<sup>1</sup>Aufgrund § 20 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie müssen Leistungserbringer bzw. Behandlungseinrichtungen, die bereits vor dem xx. Monat 202x [Inkrafttreten dieser Anlage] die Behandlung mit Eladocagene exuparvovec durchgeführt oder die Versorgung in Form der Nachsorge von Patientinnen und Patienten im Zusammenhang mit der Behandlung mit

Eladocogene exuparvovec übernommen haben, die geforderten Nachweise gemäß § 10 Absatz 1, 11 und 12 Absatz 1 bis zum xx. Monat 202x [6 Monate nach Inkrafttreten dieser Anlage] erbringen. <sup>2</sup>§ 10 Absatz 2 gilt mit der Maßgabe, dass auch Nachweise gemäß Anhang 3 Teil 1 zu übermitteln sind.

## Anhang 1 Übersicht zu Kodierungen von Diagnosen (ICD-10-GM)

ICD-10-GM 2024	
E88.9	Stoffwechselstörung, nicht näher bezeichnet
G24.0	Arzneimittelinduzierte Dystonie, inkl. Dyskinesia tarda
G24.1	Idiopathische familiäre Dystonie, inkl. Idiopathische Dystonie o.n.A.
G24.2	Idiopathische nichtfamiliäre Dystonie
G24.3	Torticollis spasticus
G24.4	Idiopathische orofaziale Dystonie, inkl. Orofaziale Dyskinesie
G24.5	Blepharospasmus
G24.8	Sonstige Dystonie
G24.9	Dystonie, nicht näher bezeichnet, inkl. Dyskinesie o.n.A.
G25.0	Essentieller Tremor, inkl. Familiärer Tremor
25.1	Arzneimittelinduzierter Tremor
25.2	Sonstige näher bezeichnete Tremorformen, inkl. Intentionstremor
25.3	Myoklonus, inkl. Arzneimittelinduzierter Myoklonus
25.4	Arzneimittelinduzierte Chorea
25.5	Sonstige Chorea, inkl. Chorea o.n.A.
25.6	Arzneimittelinduzierte Tics und sonstige Tics organischen Ursprungs
25.80	Periodische Beinbewegungen im Schlaf, inkl. Periodic Limb Movements in Sleep [PLMS]
25.81	Syndrom der unruhigen Beine [Restless-Legs-Syndrom]
25.88	Sonstige näher bezeichnete extrapyramidale Krankheiten und Bewegungsstörungen, inkl. Akathisie (behandlungsinduziert) (medikamenteninduziert), Stiff-Person-Syndrom [Muskelstarre-Syndrom]
25.9	Extrapyramidale Krankheit oder Bewegungsstörung, nicht näher bezeichnet
G26*	Extrapyramidale Krankheiten und Bewegungsstörungen bei anderenorts klassifizierten Krankheiten

## Anhang 1a Übersicht Operationen und Prozeduren (OPS)

*Die folgende Aufzählung der OPS-Codes hat informativen Charakter. Sie ist bezogen auf den angegebenen Stand, nicht abschließend und gibt eine Orientierung für den Anwendungsbereich der Anlage V ohne Anspruch auf Vollständigkeit.*

OPS Version 2024	
6-00e.c	Eladocagene exuparvec, intraputaminal

## **Anhang 2 Checkliste für das Nachweisverfahren nach § 10 Absatz 2 Satz 1 und Absatz 4 zur Erfüllung von Anforderungen nach Maßgabe der §§ 2 – 8**

### **Selbstauskunft der Behandlungseinrichtung**

Die Behandlungseinrichtung \_\_\_\_\_ in \_\_\_\_\_  
erfüllt die

**Mindestanforderungen** (Anhang 2 Teil 1)

und dokumentiert die

**weiteren Qualitätsanforderungen** (Anhang 2 Teil 2)

zur Anwendung von Eladocagene exuparvovec bei Patientinnen und Patienten mit AADC-Mangel.

Institutionskennzeichen: \_\_\_\_\_

Standortnummer: \_\_\_\_\_

Der Medizinische Dienst (MD) ist berechtigt, die Richtigkeit der Angaben der Einrichtungen nach Maßgabe der MD-QK-RL vor Ort zu überprüfen. Neben dem Betreten von Räumen des Krankenhauses zu den üblichen Geschäfts- und Betriebszeiten ist der MD insbesondere befugt, die zur Erfüllung des Kontrollauftrags erforderlichen Unterlagen einzusehen (§ 9 Abs. 4 Teil A der MD-QK-RL). Das Krankenhaus hat die erforderlichen Auskünfte zu erteilen (§ 9 Abs. 6 Teil A der MD-QK-RL).

**Teil 1 - Nachweisverfahren zu Mindestanforderungen nach Maßgabe der §§ 2 – 8**

**2.1 Mindestanforderungen an die Erfahrung der Behandlungseinrichtung nach § 2**

Die Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und Anwendung von Eladocagene exuparvec erfolgt, verfügt über Erfahrung in der Behandlung seltenen Bewegungsstörungen im Allgemeinen und in der Behandlung des AADC-Mangels im speziellen, dokumentiert durch:		
.1	≥ 10 Behandlungsfälle mit dieser Diagnose (G24.0, G24.1, G24.2, G24.3, G24.4, G24.5, G24.8, G24.9, G25.0, G25.1, G25.2, G25.3, G25.4, G25.5, G25.6, G25.80, G25.81, G25.88, G25.9, G26* nach ICD-10-GM-2023) innerhalb der letzten zwei Jahre, die der Arzneimittelanwendung vorausgegangen sind.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
	Anzahl der Behandlungsfälle:	_____
.2	mindestens ein Behandlungsfall mit einer gesicherten ärztlichen Diagnose eines AADC-Mangels gemäß § 1 Absatz 2 Satz 1.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
	Anzahl der Behandlungsfälle:	_____

**2.1.3 Begründung, falls die Mindestanforderungen an die Erfahrung der Behandlungseinrichtung teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden**

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

## 2.2 Mindestanforderungen an das ärztliche Personal nach § 3

	Funktion	Titel	Name	Vorname						
.1	verantwortliche Ärztin/ verantwortlicher Arzt				Fachärztin oder Facharzt für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein				
					<b>SOWIE</b>					
					mindestens zweijährige Berufserfahrung in einer Behandlungseinrichtung, welche die					<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
		<b>Position A</b>		<b>Position B</b>						
		in § 2		In § 2 Nummer 1						
aufgeführten Anforderungen erfüllt										

	Funktion	Titel	Name	Vorname						
.2	weitere Ärztin/ weiterer Arzt				Fachärztin oder Facharzt für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein				
					<b>SOWIE</b>					
					mindestens zweijährige Berufserfahrung in einer Behandlungseinrichtung, welche die					<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
		<b>Position A</b>		<b>Position B</b>						
		in § 2		In § 2 Nummer 1						
aufgeführten Anforderungen erfüllt										

	Funktion	Titel	Name	Vorname						
.3	Für stereotaktischen Eingriff zur Applikation verantwortliche Ärztin/ verantwortlicher Arzt				Fachärztin oder Facharzt für Neurochirurgie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein				
					<b>SOWIE</b>					
					mindestens fünfjährige Berufserfahrung in einer Einrichtung, die stereotaktische Eingriffe vornimmt					<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

.4	Die Verfügbarkeit der Fachdisziplin Radiologie (mit CT und MRT) ist sichergestellt.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	Sicherstellung erfolgt durch Kooperationspartner: <input type="radio"/>
----	---	---	--

2.2.5 Begründung, falls die Mindestanforderungen an das ärztliche Personal teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

2.3 Personelle und fachliche Mindestanforderungen an weitere beteiligte Personal nach § 4

.1	Es ist sichergestellt, dass physiotherapeutisches Personal für die Durchführung von standardisierten Motoriktests von Patientinnen und Patienten mit AADC-Mangel verfügbar ist, das über eine mindestens zweijährige Erfahrung in der physiotherapeutischen Diagnostik und Behandlung von Kindern mit Bewegungsstörungen verfügt und in der Durchführung von standardisierten Motoriktests (z.B. GMFM-88) geschult ist.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	Sicherstellung erfolgt durch Kooperationspartner: <input type="radio"/>
.2	Es ist sichergestellt, dass eine Psychotherapeutin oder ein Psychotherapeut oder eine Psychologin oder ein Psychologe für die Durchführung von standardisierten psychologischen Tests von Patientinnen und Patienten mit AADC-Mangel verfügbar ist, die oder der über eine mindestens zweijährige Erfahrung in der psychotherapeutischen Diagnostik und Behandlung von Kindern mit Bewegungsstörungen verfügt und in der Durchführung von standardisierten, psychologischen Tests (z.B. PDMS-2, BSID, PEDI) geschult ist.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	Sicherstellung erfolgt durch Kooperationspartner: <input type="radio"/>

2.3.3 Begründung, falls die personellen und fachlichen Mindestanforderungen an das weitere beteiligte Personal teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung


## 2.4 Mindestanforderungen an Infrastruktur und Organisation nach § 7

Position A			Position B
.1	Die Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, hält entsprechende Ressourcen vor, damit Patientinnen und Patienten mit AADC-Mangel mit Überweisung aufgrund des Nachweises einer Mutation des <i>DDC</i> -Gens innerhalb von vier Wochen nach Kontaktaufnahme vorstellig werden können.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	Sicherstellung erfolgt durch Kooperationspartner: <input type="radio"/> <i>entfällt</i>

Pädiatrische Intensivstation		
.2	Am Standort der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, befindet sich eine pädiatrische Intensivstation.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
SOP zur Überwachung und Früherkennung von Komplikationen		
.3	In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, sind spezifische 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.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
SOP für Behandlungsübergänge zwischen Durchführung der Therapie und Nachsorge		
.4	In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, ist eine spezifische SOP für die Übergänge zwischen der Behandlung und der Nachsorge zu der Eladocagene exuparvovec-Therapie vorhanden.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

2.4.5 Begründung, falls die Mindestanforderungen an Infrastruktur und Organisation teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

**2.5 Mindestanforderungen im Hinblick auf die Registerteilnahme nach § 8**

.1	Die Teilnahme an einem geeigneten Register ist gegeben.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
----	---	---

2.5.2 Begründung, falls die Mindestanforderungen im Hinblick auf die Registerteilnahme teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

**Teil 2 – Dokumentation weiterer Qualitätsanforderungen nach Maßgabe der §§ 2 – 8**

**2.6 Qualitätsanforderung an weitere Leistungsbereiche nach § 4 Absatz 3**

	In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt, soll ein Sozialdienst verfügbar sein.	sichergestellt: <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	Sicherstellung erfolgt durch Kooperationspartner: <input type="radio"/>
	Begründung sofern nicht sichergestellt:		

### Teil 3 – Unterschriften

Hiermit wird die Richtigkeit der obigen Angaben bestätigt.

Name

-----

Datum

-----

Unterschrift

-----

Ärztliche Leitung

Geschäftsführung/  
Verwaltungsdirektion

### **Anhang 3    Ergänzende Checkliste für das Nachweisverfahren nach § 10 Absatz 2 Satz 3 zur Erfüllung von Prozessanforderungen nach Maßgabe der §§ 2 – 8**

#### **Selbstauskunft der Behandlungseinrichtung**

Die Behandlungseinrichtung \_\_\_\_\_ in \_\_\_\_\_  
erfüllt die

**Mindestanforderungen** (Anhang 3 Teil 1)

zur Anwendung von Eladocagene exuparvovec bei Patientinnen und Patienten mit AADC-Mangel.

Institutionskennzeichen: \_\_\_\_\_

Standortnummer: \_\_\_\_\_

Der Medizinische Dienst (MD) ist berechtigt, die Richtigkeit der Angaben der Einrichtungen nach Maßgabe der MD-QK-RL vor Ort zu überprüfen. Neben dem Betreten von Räumen des Krankenhauses zu den üblichen Geschäfts- und Betriebszeiten ist der MD insbesondere befugt, die zur Erfüllung des Kontrollauftrags erforderlichen Unterlagen einzusehen (§ 9 Abs. 4 Teil A der MD-QK-RL). Das Krankenhaus hat die erforderlichen Auskünfte zu erteilen (§ 9 Abs. 6 Teil A der MD-QK-RL). Die Einhaltung der Anforderungen nach Anhang 3 Teil 1 ist nachweislich zu dokumentieren. Der MD ist gemäß § 43 Absatz 3 Teil B der MD-QK-RL befugt, die für die Kontrolle erforderlichen Unterlagen einzusehen. Sofern die Einsicht in die Patientendokumentation erforderlich ist, erfolgt dies nach Maßgabe des § 43 Absatz 4 Teil B MD-QK-RL.

## Teil 1 – Nachweisverfahren von Prozessanforderungen nach Maßgabe der §§ 2 – 8

### 3.1 In die Behandlung eingebundene Ärztinnen und Ärzte nach § 3 Absatz 2

	Die ärztliche Betreuung erfolgt gemäß Facharztstandard in der Fachdisziplin „Kinder- und Jugendmedizin“.	<input type="radio"/> ja	<input type="radio"/> nein
--	--	--------------------------	----------------------------

### 3.2 Indikationsstellung nach § 5

.1	Eine molekulargenetischen Diagnostik des AADC-Mangels mit einem validierten Verfahren liegt vor.	<input type="radio"/> ja	<input type="radio"/> nein
----	--	--------------------------	----------------------------

Position A		Position B	
.2	Ein validierter Test auf AAV2-Antikörper wurde durchgeführt.	<input type="radio"/> ja	<input type="radio"/> nein

.3	Die Entscheidung für die Therapie ist durch eine Fachärztin oder einen Facharzt gemäß § 3 Absatz 1 erfolgt.	<input type="radio"/> ja	<input type="radio"/> nein
.4	Zur Planung des operativen Vorgehens wurden neben den Anforderungen nach § 3 Abs. 1 eine Fachärztin oder ein Facharzt, die oder der die Anforderungen nach § 3 Absatz 3 erfüllt, sowie eine Fachärztin oder ein Facharzt für Anästhesiologie hinzugezogen.	<input type="radio"/> ja	<input type="radio"/> nein

### 3.3 Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten nach § 6 Absatz 1 sowie § 8 Satz 2

.1	Die Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten erfolgte vor Anwendung von Eladocagene exuparvec.	<input type="radio"/> ja	<input type="radio"/> nein
.2	Die Aufklärung der Patientinnen und Patienten zur Teilnahme an einem geeigneten Register, z.B. iNTD-Register erfolgte vor der Behandlung.	<input type="radio"/> ja	<input type="radio"/> nein

### 3.4 Begründung, falls die Mindestanforderungen teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden

Art der Anforderung	Datum der Nichterfüllung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

Position A	Position B						
<i>entfällt</i>	<p data-bbox="387 233 2038 264"><b>Teil 2 – Dokumentation weiterer Qualitätsanforderungen nach Maßgabe der §§ 2 – 8</b></p> <p data-bbox="387 296 2038 328"><b>3.6 Qualitätsanforderung an die Indikationsstellung nach § 5 Absatz 1 Satz 3</b></p> <table border="1" data-bbox="394 360 1977 639"> <tr> <td data-bbox="394 360 495 440"></td> <td data-bbox="506 360 1391 440">Ein validierter Test auf AAV2-Antikörper sollte durchgeführt worden sein.</td> <td data-bbox="1402 360 1977 440"> <input type="radio"/> ja      <input type="radio"/> nein         </td> </tr> <tr> <td data-bbox="394 440 495 639"></td> <td colspan="2" data-bbox="506 440 1977 639">Begründung sofern nicht durchgeführt:</td> </tr> </table>		Ein validierter Test auf AAV2-Antikörper sollte durchgeführt worden sein.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein		Begründung sofern nicht durchgeführt:	
	Ein validierter Test auf AAV2-Antikörper sollte durchgeführt worden sein.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein					
	Begründung sofern nicht durchgeführt:						

### Teil 3 – Unterschriften

Hiermit wird die Richtigkeit der obigen Angaben bestätigt.

Name

-----

Datum

-----

Unterschrift

-----

Ärztliche Leitung

Geschäftsführung/  
Verwaltungsdirektion

**Anhang 4** Checkliste für das Nachweisverfahren nach § 12 Absatz 2 zur Erfüllung von Anforderungen nach Maßgabe des § 9 (Nachsorge)

**Selbstauskunft des Leistungserbringers:**

Der Leistungserbringer \_\_\_\_\_ in \_\_\_\_\_

erfüllt die

- Mindestanforderungen an die Nachsorge innerhalb der ersten zwei Jahre** (Anhang 2 und 3)
- Mindestanforderungen an die Nachsorge ab dem dritten bis einschließlich zum 15. Jahr** (Anhang 4 Teil 2)

von Patientinnen und Patienten nach der Anwendung von Eladocagene exuparvovec.

Institutionskennzeichen und Standortnummer \_\_\_\_\_

oder

BSNR \_\_\_\_\_

Die Kassenärztliche Vereinigung bzw. der Medizinische Dienst ist berechtigt, die Richtigkeit der Angaben zu überprüfen.

**Teil 1 – Nachweisverfahren zu Mindestanforderungen an die Nachsorge innerhalb der ersten zwei Jahre nach Maßgabe des § 9**

.1	Die Nachsorge findet unter Berücksichtigung der SOP nach § 7 Absatz <i>[Position A:]</i> 3 <i>[Position B:]</i> 4 statt.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
.2	Es wird sichergestellt, dass die Nachsorge durch Einbestellung des Patienten oder der Patientin alle 6 Monate innerhalb der ersten zwei Jahre nach Entlassung aus der Behandlungseinrichtung, in der die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt ist, erfolgt.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
.3	Die Anforderungen nach §§ 2 bis 8 werden eingehalten und die Nachweise nach Anhang 2 und 3 werden entsprechend eingereicht.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

**Teil 2 – Nachweisverfahren zu Mindestanforderungen an die Nachsorge ab dem dritten bis einschließlich zum 15. Jahr nach Maßgabe des § 9**

.1	Die Nachsorge findet unter Berücksichtigung der SOP nach § 7 Absatz <i>[Position A:]</i> 3 <i>[Position B:]</i> 4 statt.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
.2	Es wird sichergestellt, dass die Nachsorge durch jährliche Einbestellung des Patienten oder der Patientin ab dem dritten bis einschließlich zum fünfzehnten Jahr nach Entlassung aus der Behandlungseinrichtung, in der die Anwendung von Eladocagene exuparvovec erfolgt ist, erfolgt.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

.3	Funktion	Titel	Name	Vorname		
	behandelnde Ärztin/ behandelnder Arzt				Fachärztin oder Facharzt für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

Position A			Position B
.4	Die Behandlungseinrichtung, die die Nachsorge übernimmt, erfüllt die Anforderungen nach § 2 Nummer 1.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	<i>entfällt</i>
	Anzahl der Behandlungsfälle:	_____	

Position A			Position B
.5	Die Teilnahme an einem geeigneten Register ist gegeben.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	<i>entfällt</i>

4.6 Begründung, falls die Mindestanforderungen zur Nachsorge teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

**Teil 3 – Unterschriften**

**Zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassener oder ermächtigter Leistungserbringer**

Hiermit wird die Richtigkeit der obigen Angaben bestätigt.

_____	_____	_____
Name	Datum	Unterschrift

**Hochschulambulanz bzw. vor- oder nachstationäre Versorgung nach § 115a SGB V**

Hiermit wird die Richtigkeit der obigen Angaben bestätigt.

Name

Datum

Unterschrift

_____	_____
_____	_____
_____	_____
Ärztliche Leitung	Geschäftsführung/ Verwaltungsdirektion