



**Gemeinsamer
Bundesausschuss**

Anlage IV

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)

Gentherapeutika bei Hämophilie

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 Arzneimitteln für neuartige Therapien (ATMP) aus der Gruppe der Gentherapeutika zur Behandlung der Hämophilie festgelegt.
- (2) ¹Hämophilie im Sinne von Absatz 1 sind die genetisch bedingten Erkrankungen Hämophilie A und Hämophilie B (D66 und D67 nach ICD-10-GM-2023), welche mit einem X-chromosomal-rezessiven erblichen Gerinnungsdefekt aufgrund eines Mangels des Faktor VIII (Hämophilie A) oder eines Mangels des Faktors IX (Hämophilie B) einhergehen. ²ATMP im Sinne von Absatz 1 aus der Gruppe der Gentherapeutika bei Hämophilie sind rekombinante Adeno-assoziierte Virusvektor-basierte Gentherapien, die eine Kopie des Gens liefern, das für den humanen Faktor VIII bzw. Faktor IX kodiert. ³Der Anhang 1 enthält eine Übersicht für Codes von Diagnosen und Operationen bzw. Prozeduren.
- (3)

Position A	Position B	Position C
<i>entfällt</i>	Die Anforderungen an die Qualität bei der Versorgung von Patientinnen und Patienten mit Arzneimitteln für neuartige Therapien (ATMP) aus der Gruppe der Gentherapeutika zur Behandlung der Hämophilie können über Nachweis einer Teilnahme an der Ambulanten Spezialärztlichen Versorgung (ASV) im Leistungsgebiet „Hämophilie“ nach § 116b Abs. 1 Nr. 12 Buchstabe c) erbracht werden.	¹ Abweichend von § 11 Absatz 2 können die Anforderungen an die Qualität bei der Versorgung von Patientinnen und Patienten mit Arzneimitteln für neuartige Therapien (ATMP) aus der Gruppe der Gentherapeutika zur Behandlung der schweren Hämophilie über den Nachweis einer Teilnahme an der Ambulanten Spezialärztlichen Versorgung (ASV) im Leistungsgebiet „Hämophilie“ nach § 116b Abs. 1 Nr. 12 Buchstabe c) erbracht werden, soweit die Anforderungen übereinstimmen. ² Hierzu stellt der Gemeinsame Bundesausschuss eine Mustercheckliste zur Verfügung.

- (4) Die Anforderungen aus dem Gesetz zur Regelung des Transfusionswesens (Transfusionsgesetz - TFG), beispielsweise der Registermeldung, bleiben unberührt.

§ 2 Anforderungen an die Erfahrung in der Behandlungseinrichtung zur Durchführung der Therapie

Eine Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, muss über Erfahrungen in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit hereditären oder erworbenen

Faktormangelzuständen und sonstigen Koagulopathien verfügen, dokumentiert durch

Position A	Position B
≥ 40	≥ 30

Patientinnen und Patienten innerhalb des letzten Kalenderjahres, das der Arzneimittelanwendung vorausgegangen ist, mit schwerer Hämophilie mit dieser Diagnose (D66, D67, D68.00, D68.01, D68.09 nach ICD-10-GM-2023 beziehungsweise der im Bezugszeitraum jeweils geltenden Fassung) oder über die Meldung der Behandlung an das Deutsche Hämophilie Register.

§ 3 Anforderungen an das ärztliche Personal zur Durchführung der Therapie

- (1) In der Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, müssen die für die Anwendung des Gentherapeutikum verantwortliche Ärztin oder der verantwortliche Arzt

Position A	Position B
und mindestens eine weitere Ärztin oder ein weiterer Arzt	<i>entfällt</i>

Fachärztinnen oder Fachärzte für Innere Medizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie oder Fachärztinnen oder Fachärzte für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie oder Fachärztinnen oder Fachärzte Transfusionsmedizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie sein.

- (2) ¹Ergänzend zu den Anforderungen nach Absatz 1 sind in der Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, die Verfügbarkeit der Fachdisziplinen Innere Medizin und Gastroenterologie zur Diagnostik und Behandlung von Lebererkrankungen sicherzustellen.

Position A	Position B
² Soweit es sich um Patientinnen und Patienten mit vorbestehenden Infektionen mit HIV handelt, ist ein Facharzt oder eine Fachärztin für Innere Medizin und Infektiologie oder ein Facharzt oder eine Fachärztin mit der Zusatzweiterbildung Infektiologie oder Immunologie hinzuzuziehen. ³ Die Einhaltung der Anforderungen nach Satz 2 ist durch die Dokumentation in der Patientenakte nachzuweisen.	<i>entfällt</i>

^{4/2}Die Verfügbarkeit der Fachdisziplinen ist durch die Behandlungseinrichtung oder nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 Satz 2 i.V.m. § 3 Absatz 5 des Allgemeinen Teils durch Kooperationen zu gewährleisten. ^{5/3}Für jede kooperierende Einrichtung ist eine Ansprechpartnerin oder ein Ansprechpartner zu benennen.

Position A	Position B
§ 4 Anforderungen an das weitere beteiligte Personal zur Durchführung der Therapie	<i>entfällt</i>

<p>¹In der Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, müssen zusätzlich zum ärztlichen Personal nach § 3 mindestens zwei Personen mit abgeschlossener Weiterbildung zur Hämostaseologie Assistentin bzw. zum Hämostaseologie Assistenten tätig sein. ²Einer abgeschlossenen Weiterbildung nach Satz 1 gleichgestellt ist bezogen auf Vollzeitäquivalente eine Tätigkeit von mindestens 24 Monaten in einer Behandlungseinrichtung, welche die Anforderungen nach § 2 erfüllt. ³Bei Tätigkeiten in Teilzeit erfolgt eine Umrechnung der entsprechenden Berufserfahrung auf Vollzeitäquivalente.</p>	
---------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------	--

§ 5 Anforderungen an die Indikationsstellung für die Durchführung der Therapie

- (1) ¹Grundsätzliche 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.

Position A	Position B
<p>²Hierzu müssen folgende Anforderungen vorliegen:</p> <ol style="list-style-type: none"> 1. das Ergebnis einer molekulargenetischen Diagnostik der Hämophilie, durchgeführt mit einem validierten Verfahren und 2. die Ergebnisse folgender Voraussetzungen: <ol style="list-style-type: none"> a. einen validierten Test auf Anti-AAV5-Antikörper, b. die Erfassung der Ausgangswerte der Laborparameter (mindestens Alanin-Aminotransferase (ALT), Aspartat-Aminotransferase (AST), alkalische Phosphatase (ALP), Gamma-GT (GGT) und Gesamtbilirubin) zur Beurteilung der Leberfunktion innerhalb von 3 Monaten vor der Durchführung der Therapie, c. die Beurteilung des Fibrosestatus innerhalb von 6 Monaten vor der Durchführung der Therapie und d. der Ausschluss des Vorliegens von neutralisierenden Antikörpern gegen den Blutgerinnungsfaktor 	<p>²Hierzu muss das Ergebnis einer mit einem validierten Verfahren durchgeführten molekulargenetischen Diagnostik der Hämophilie vorliegen. ³Die Einhaltung der Anforderung ist durch die Dokumentation des Ergebnisses in der Patientenakte nachzuweisen. ⁴Im Übrigen bleiben die einzuhaltenden Anforderungen der amtlichen Fachinformation unberührt.</p>

(Faktor-Inhibitoren). ³ Die Einhaltung der Anforderungen ist durch die Dokumentation der Ergebnisse in der Patientenakte nachzuweisen. ⁴ Im Übrigen bleiben die einzuhaltenden Anforderungen der amtlichen Fachinformation unberührt.	
----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------	--

- (2) ¹Die Entscheidung für die Therapie mit einem Gentherapeutikum muss durch Fachärztinnen oder Fachärzte, welche die Anforderungen nach § 3 Absatz 1 erfüllen, und unter Berücksichtigung der Befunde gemäß Absatz 1 erfolgen.

Position A	Position B
² Darüber hinaus müssen Fachärztinnen oder Fachärzte in die Entscheidung nach Satz 1 eingebunden werden, welche die Anforderungen nach § 3 Absatz 2 Satz 1 erfüllen.	<i>entfällt</i>

^{2/3}Datum, eingebundene Fachärztinnen oder Fachärzte und Beratungsergebnis sind durch die Dokumentation in der Patientenakte nachzuweisen.

§ 6 Anforderungen an die Aufklärung der Patientinnen und Patienten zur Durchführung der Therapie

- (1) ¹Die Aufklärung der Patientinnen oder Patienten muss vor Anwendung des ATMP erfolgen. ²Die Durchführung der Aufklärung ist durch die Dokumentation in der Patientenakte nachzuweisen.
- (2) Die Aufklärung soll insbesondere folgende Aspekte umfassen:
1. Mögliche verfügbare therapeutische Alternativen im Hinblick auf die Auswahl der Behandlungsoptionen, deren möglichen Nutzen und Risiken und den zeitlichen Ablauf der geplanten Untersuchungen, sowie
 2. die Aufklärung über den weiteren Ablauf der Behandlung und den Nachsorgeprozess mit einer gegebenenfalls notwendigen, engmaschigen Kontrolle.

§ 7 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation zur Durchführung der Therapie

- (1) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, müssen spezifische Standard Operating Procedures (SOP) für die klinische, apparative und laborchemische Überwachung zur Früherkennung von und den Umgang mit Komplikationen vorhanden sein. ²Die SOP nach Satz 1 müssen Vorgaben zur Verfügbarkeit von Faktorkonzentraten zur Notfallbehandlung enthalten.

Position A	Position B
³ Darüber hinaus müssen die SOP Vorgaben für die Einleitung einer intensivmedizinischen Behandlung der Patientinnen und Patienten und einer ggf. notwendigen Verlegung auf eine Intensivstation enthalten. ⁴ Die Sicherstellung einer	<i>entfällt</i>

intensivmedizinischen Versorgung nach Satz 3 kann nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 Satz 2 i.V.m. § 3 Absatz 5 des Allgemeinen Teils durch Kooperationen gewährleistet werden.	
----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------	--

- (2) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie im Sinne dieser Anlage erfolgt, muss eine spezifische SOP für die Übergänge zwischen der Behandlung mit und der Nachsorge von einer Anwendung eines Gentherapeutikums bei Hämophilie vorhanden sein, die mindestens die folgenden Punkte beinhaltet:
1. Vorgaben zur Zusammenarbeit mit den nachbehandelnden Behandlungseinrichtungen beziehungsweise Ärztinnen und Ärzten,
 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 Durchführung der Therapie mit Gentherapeutika bei Hämophilie qualifizierten Behandlungseinrichtung geben.
- (3) ¹Die Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, muss für eine Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, für Rückfragen erreichbar sein, insbesondere zur Rücksprache bei Einleitung oder Anpassung einer immunsupprimierenden Therapie. ²Entsprechende Vorgaben sind in der SOP nach Absatz 2 zu treffen.

§ 8 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation der Nachsorge

- (1) Die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum findet nach Maßgabe der folgenden Regelungen unter Berücksichtigung der SOP nach § 7 Absatz 2 statt.
- (2) ¹Die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum ist bis mindestens fünfzehn Jahre nach Durchführung der Therapie nach Maßgabe der personellen, fachlichen und strukturellen Anforderungen gemäß §§ 8 bis 10 zu gewährleisten.

Position A	Position B
² Die Nachsorge hat durch regelmäßige Einbestellung des Patienten oder der Patientin der Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt ist, zu erfolgen. ³ Im Übrigen bleiben die einzuhaltenden Anforderungen der amtlichen Fachinformation unberührt. ⁴ Bei jeder Vorstellung sind der jeweilige Gerinnungsfaktor sowie Laborwerte zur Überprüfung der Leberfunktion (Alaninaminotransferase (ALT), Aspartataminotransferase (AST) und Kreatinphosphokinase (CPK)) zu bestimmen. ⁵ Darüber hinaus müssen alle sechs Monate der Gelenkstatus und alle zwölf Monate der Funktionsstatus der Leber (z.B. mittels	<i>entfällt</i>

Bildgebung) untersucht werden. ⁶ Die Ergebnisse nach Satz 4 und 5 sind durch die Dokumentation in der Patientenakte nachzuweisen.	
----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------	--

- (3) ¹Die Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, informiert die Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und Durchführung der Therapie der jeweiligen Patientin bzw. des jeweiligen Patienten stattgefunden hat,

Position A	Position B
innerhalb von zwei Werktagen	regelmäßig und zeitnah

über die Durchführung und die Ergebnisse der Untersuchungen nach Absatz 2. ²Es kann eine Rücksprache mit der Behandlungseinrichtung erfolgen, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie erfolgt ist. ³Zur Regelung nach Satz 1 muss eine spezifische SOP vorliegen.

- (4)

Position A	Position B
¹ In der Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, müssen spezifische SOP für die Durchführung der Untersuchungen nach Absatz 2 Satz 4 und 5 vorhanden sein. ² Die SOP muss insbesondere Vorgaben beinhalten zur Sicherstellung der: <ul style="list-style-type: none"> a. Möglichkeit einer täglichen Erhebung der Faktoraktivität sowie der Laborwerte zur Überprüfung der Leberfunktion; b. Verfügbarkeit der Ergebnisse nach Buchstabe a innerhalb von 24 Stunden; c. Möglichkeit zur Interpretation von Laborwerten und der Übermittlung von Therapieempfehlungen an die Patientin bzw. den Patienten; d. Verfügbarkeit von Faktorkonzentraten zur Notfallbehandlung. 	¹ In der Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, muss: <ul style="list-style-type: none"> a. eine werktäglichen Erhebung der Faktoraktivität sowie der Laborwerte zur Überprüfung der Leberfunktion, b. die Verfügbarkeit der Ergebnisse nach Buchstabe a innerhalb von 24 Stunden und c. die Interpretation von Laborwerten und die Übermittlung von Therapieempfehlungen an die Patientin bzw. den Patienten, möglich sein.

§ 9 Anforderungen an die Erfahrung in der Behandlungseinrichtung zur Nachsorge

Eine Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, muss über Erfahrungen in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit hereditären oder erworbenen Faktormangelzuständen und sonstigen Koagulopathien verfügen, dokumentiert durch ≥ 10 Patientinnen und Patienten innerhalb des letzten Kalenderjahres, das der Arzneimittelanwendung vorausgegangen ist, mit schwerer Hämophilie mit dieser Diagnose (D66, D67, D68.00, D68.01, D68.09 nach ICD-10-GM-2023 beziehungsweise der im Bezugszeitraum jeweils geltenden

Fassung) oder über die Meldung der Behandlung an das Deutsche Hämophilie Register.

§ 10 Anforderungen an das Personal in der Nachsorge

(1) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, müssen die für die Nachsorge verantwortliche Ärztin oder der verantwortliche Arzt Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie oder Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie oder Fachärztin oder Facharzt für Transfusionsmedizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie sein.

(2)

Position A	Position B
¹ In der Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, muss zusätzlich zum ärztlichen Personal nach Absatz 1 mindestens eine Person mit abgeschlossener Weiterbildung zur Hämostaseologie Assistentin bzw. zum Hämostaseologie Assistenten tätig sein. ² Einer abgeschlossenen Weiterbildung nach Satz 1 gleichgestellt ist bezogen auf Vollzeitäquivalente eine Tätigkeit von mindestens 24 Monaten in einer Behandlungseinrichtung, die die Anforderungen nach § 2 erfüllt. ³ Bei Tätigkeiten in Teilzeit erfolgt eine Umrechnung der entsprechenden Berufserfahrung auf Vollzeitäquivalente.	<i>entfällt</i>

b. Besondere Bestimmungen

§ 11 Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für zugelassene Krankenhäuser und zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassene oder ermächtigte Leistungserbringer

(1) Bei den die Behandlungseinrichtungen betreffenden Qualitätsanforderungen in

Position A	Position B
§ 2, § 3 Absatz 1 und Absatz 2 Satz 1 und 2, § 4 Satz 1, § 5 Absatz 1 Satz 2 und Absatz 2 Satz 1 und 2, § 6 Absatz 1 Satz 1, § 7 Absatz 1 Satz 1 bis 3 und Absatz 2 und 3	§2, § 3 Absatz 1 und Absatz 2 Satz 1, § 5 Absatz 1 Satz 2 und Absatz 2 Satz 1, § 6 Absatz 1 Satz 1 und § 7

handelt es sich um Mindestanforderungen.

(2) ¹Aufgrund 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. ²Die SOP gemäß § 7 sind stets vorzulegen. ³Aufgrund 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)

<i>Folgedissens zur § 16a Absatz 2 Rahmen-Richtlinie</i>	
Position A	Position B
Abweichend von § 43 Absatz 1 Abschnitt 4 Unterabschnitt 2 Teil B MD-QK-RL beziehungsweise § 16a Absatz 2 Satz 1 können die Kontrollen oder Prüfungen nach pflichtgemäßem Ermessen der zuständigen Stelle im schriftlichen Verfahren nach Aktenlage erfolgen.	¹ Abweichend von § 43 Absatz 1 Abschnitt 4 Unterabschnitt 2 Teil B MD-QK-RL können die Kontrollen für zugelassene Krankenhäuser nach pflichtgemäßem Ermessen der zuständigen Stelle im schriftlichen Verfahren nach Aktenlage erfolgen. ² Die Bescheinigung ist abweichend von § 11 Absatz 1 Satz 2 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie fünf Jahre gültig.

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

¹Die 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. ²Der Medizinische Dienst führt Kontrollen zur Einhaltung der Mindestanforderungen nach § 11 Absatz 1 durch. ³§ 11 Absatz 1 findet entsprechende Anwendung mit der Maßgabe, dass der Vordruck der Checkliste nach § 13 Absatz 2 zu verwenden ist.

§ 13 Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen an die nachsorgende Behandlungseinrichtung

- (1) Bei den die Behandlungseinrichtungen betreffenden Qualitätsanforderungen in § 8 bis 10 handelt es sich um Mindestanforderungen im Rahmen der Nachsorge der ATMP-Therapie.
- (2) ¹Mit 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 zu übermitteln. ²Die Anzeige- und Nachweisverpflichtung gegenüber der zuständigen Stelle besteht für Behandlungseinrichtungen für den nach § 8 Absatz 2 vorgesehenen Versorgungszeitraum der Nachsorge von mindestens 15 Jahren.

§ 14 Übergangsregelung

¹Aufgrund § 20 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie müssen Leistungserbringer bzw. Behandlungseinrichtungen, die bereits vor dem xx. Monat 202x [*Inkrafttreten dieser Anlage*] die Gentherapie durchgeführt oder die Versorgung in Form der Nachsorge von Patientinnen und Patienten im Zusammenhang mit der Gentherapie übernommen haben, die geforderten Nachweise gemäß § 11 Absatz 1, 12 und 13 Absatz 1 bis zum xx. Monat 202x [*6 Monate nach Inkrafttreten dieser Anlage*] erbringen. ²§ 11 Absatz 2 gilt mit der Maßgabe, dass auch Nachweise gemäß Anhang 3 Teil 1 zu übermitteln sind.

Anhang 1 Übersicht zu Kodierungen von Diagnosen sowie Operationen und Prozeduren (OPS- und ICD-10-GM) [Position B:] sowie GOP gemäß EBM

ICD-10-GM 2023	
D66	Hereditärer Faktor-VIII-Mangel (inkl. Hämophilie A)
D67	Hereditärer Faktor-IX-Mangel (inkl. Hämophilie B)
D68.0-	Willebrand-Jürgens-Syndrom
D68.00	hereditäres Willebrand-Jürgens-Syndrom
D68.01	Erworbenes Willebrand-Jürgens-Syndrom
D68.09	Willebrand-Jürgens-Syndrom, nicht näher bezeichnet

OPS Version 2023	
[nicht besetzt]	-

Position A	Position B												
<i>entfällt</i>	<table border="1"> <thead> <tr> <th colspan="2">Gebührenordnungsposition (GOP)</th> </tr> <tr> <th colspan="2">gemäß Einheitlichem Bewertungsmaßstab (EBM) mit Stand vom 1. Januar 2023</th> </tr> </thead> <tbody> <tr> <td>30320</td> <td>Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvovec mind. 60 Minuten</td> </tr> <tr> <td>30321</td> <td>Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvovec 2h</td> </tr> <tr> <td>30322</td> <td>Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvovec 4h</td> </tr> <tr> <td>30323</td> <td>Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvovec 6h</td> </tr> </tbody> </table>	Gebührenordnungsposition (GOP)		gemäß Einheitlichem Bewertungsmaßstab (EBM) mit Stand vom 1. Januar 2023		30320	Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvovec mind. 60 Minuten	30321	Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvovec 2h	30322	Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvovec 4h	30323	Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvovec 6h
Gebührenordnungsposition (GOP)													
gemäß Einheitlichem Bewertungsmaßstab (EBM) mit Stand vom 1. Januar 2023													
30320	Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvovec mind. 60 Minuten												
30321	Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvovec 2h												
30322	Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvovec 4h												
30323	Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvovec 6h												

Anhang 2 Checkliste für das Nachweisverfahren nach *[Position A] §§ 11 und 12 [bzw. Position B] §§ 10 und 11* zur Erfüllung von Anforderungen nach Maßgabe *[Position A] §§ 2 – 7 [bzw. Position B] §§ 2 – 6*

Selbstauskunft des Leistungserbringers:

Der Leistungserbringer _____ in _____

erfüllt die Mindestanforderungen zur Anwendung eines Gentherapeutikum bei Hämophilie.

Institutionskennzeichen und Standortnummer _____

oder

BSNR _____

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

2.1 Mindestanforderungen an die Erfahrung der Behandlungseinrichtung nach § 2

Die Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, verfügt über umfangreiche Erfahrung in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit hereditären oder erworbenen Faktormangelzuständen und sonstigen Koagulopathien, dokumentiert durch:						
.1	<table border="1"> <tr> <td>Position A</td> <td>Position B</td> </tr> <tr> <td>≥ 40</td> <td>≥ 30</td> </tr> </table>	Position A	Position B	≥ 40	≥ 30	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
	Position A	Position B				
≥ 40	≥ 30					
Patientinnen und Patienten mit schwerer Hämophilie mit dieser Diagnose (D66, D67, D68.00, D68.01, D68.09 nach ICD-10-GM-2023 beziehungsweise der im Bezugszeitraum jeweils geltenden Fassung) innerhalb des letzten Kalenderjahres.		oder Dokumentiert durch Meldung im Deutschen Hämophilie Register <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein				
Anzahl der Patientinnen und Patienten:		_____				

2.1.2 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 Innere Medizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
					ODER	
					Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
					ODER	
					Fachärztin oder Facharzt für Transfusionsmedizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

Position A						Position B
						<i>entfällt</i>
	Funktion	Titel	Name	Vorname		
.2	weitere Ärztin/ weiterer Arzt				Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
					ODER	
					Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
					ODER	

					Fachärztin oder Facharzt für Transfusionsmedizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	
--	--	--	--	--	------------------------------------------------------------------------------------------	-----------------------------------------------------	--

.3	Die Verfügbarkeit der Fachdisziplinen Innere Medizin und Gastroenterologie zur Diagnostik und Behandlung von Lebererkrankungen ist sichergestellt.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	Sicherstellung erfolgt durch Kooperationspartner ¹
			<input type="radio"/>

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

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

Position A						Position B	
						<i>entfällt</i>	
2.3 Mindestanforderungen an das weitere beteiligte Personal nach § 4							
	Funktion	Titel	Name	Vorname			

¹ Die Anforderungen nach § 2 Absatz 2 Satz 2 i.V.m. § 3 Absatz 5 des Allgemeinen Teils sind einzuhalten.

.1	weitere beteiligte Person				abgeschlossene Weiterbildung zur Hämostaseologie Assistentin bzw. zum Hämostaseologie Assistenten	<input type="radio"/> ja	<input type="radio"/> nein	
					ODER			
					mindestens 24-monatige Berufserfahrung ² in einer Behandlungseinrichtung, welche die Anforderungen nach § 2 erfüllt	<input type="radio"/> ja	<input type="radio"/> nein	
.2	weitere beteiligte Person				abgeschlossene Weiterbildung zur Hämostaseologie Assistentin bzw. zum Hämostaseologie Assistenten	<input type="radio"/> ja	<input type="radio"/> nein	
					ODER			
					mindestens 24-monatige Berufserfahrung ³ in einer Behandlungseinrichtung, welche die Anforderungen nach § 2 erfüllt	<input type="radio"/> ja	<input type="radio"/> nein	

2.3.3 Begründung, falls die 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

SOP zur Überwachung und Früherkennung von Komplikationen	
----------------------------------------------------------	--

² Bezogen auf Vollzeitäquivalente.

.1	In der Behandlungseinrichtung, in der Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, sind spezifische SOP für die klinische, apparative und laborchemische Überwachung zur Früherkennung von und den Umgang mit Komplikationen vorhanden, welche Vorgaben zur Verfügbarkeit von Faktorkonzentraten zur Notfallbehandlung	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein		
	<table border="1"> <tr> <td>Position A</td> <td>Position B</td> </tr> <tr> <td>sowie Vorgaben für die Einleitung einer intensivmedizinischen Behandlung der Patientinnen und Patienten und einer ggf. notwendigen Verlegung auf eine Intensivstation</td> <td><i>entfällt</i></td> </tr> </table>		Position A	Position B
Position A	Position B			
sowie Vorgaben für die Einleitung einer intensivmedizinischen Behandlung der Patientinnen und Patienten und einer ggf. notwendigen Verlegung auf eine Intensivstation	<i>entfällt</i>			
SOP für Behandlungsübergänge zwischen Durchführung der Therapie und Nachsorge				
.2	In der Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie im Sinne dieser Anlage erfolgt, ist eine spezifische SOP für die Übergänge zwischen der Behandlung mit und der Nachsorge von einer Anwendung eines Gentherapeutikums bei Hämophilie vorhanden, welche die Vorgaben nach § 7 Absatz 2 und 3 erfüllt.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein		

2.4.3 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 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

Anhang 3 Ergänzende Checkliste für das Nachweisverfahren nach *[Position A]* §§ 11 und 12 *[bzw. Position B]* §§ 10 und 11 zur Erfüllung von Prozessanforderungen nach Maßgabe der *[Position A]* §§ 2 – 7 *[bzw. Position B]* §§ 2 – 6

Selbstauskunft des Leistungserbringers:

Der Leistungserbringer _____ in _____

erfüllt die Mindestanforderungen zur Anwendung eines Gentherapeutikum bei Hämophilie.

Institutionskennzeichen und Standortnummer _____

oder

BSNR _____

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

Position A		Position B
3.1 Mindestanforderungen an das ärztliche Personal nach § 3 Absatz 2 Satz 2		<i>entfällt</i>
Bei Patientinnen und Patienten mit vorbestehenden Infektionen mit HIV wurde ein Facharzt oder eine Fachärztin für Innere Medizin und Infektiologie oder eine Facharzt oder eine Fachärztin mit der Zusatzweiterbildung Infektiologie oder Immunologie hinzugezogen und in der Patientenakte dokumentiert.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	

3.2 Mindestanforderungen an die Indikationsstellung für die ATMP-Anwendung nach § 5

.1	Eine molekulargenetischen Diagnostik der Hämophilie liegt vor und wurde mit einem validierten Verfahren durchgeführt.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
----	-----------------------------------------------------------------------------------------------------------------------	-----------------------------------------------------

Position A		Position B	
.2		<i>entfällt</i>	
Es liegen folgende Voraussetzungen vor:			
a.	validierter Test auf Anti-AAV5-Antikörper		<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
b.	Erfassung der Ausgangswerte der Laborparameter zur Beurteilung der Leberfunktion gemäß Fachinformation innerhalb von 3 Monaten vor der Durchführung der Therapie		<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
c.	Beurteilung des Fibrosestatus innerhalb von 6 Monaten vor der Durchführung der Therapie		<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
d.	Ausschluss des Vorliegens von neutralisierenden Antikörpern gegen den Blutgerinnungsfaktor (Faktor-Inhibitoren)	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	

.3	Die Entscheidung für die Therapie mit einem Gentherapeutikum ist durch Fachärztinnen oder Fachärzte, welche die Anforderungen nach § 3 Absatz 1 Satz 1 und 2 erfüllen,	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein		
	<table border="1"> <tr> <td>Position A</td> <td>Position B</td> </tr> <tr> <td>sowie durch Fachärztinnen oder Fachärzte, welche die Anforderungen nach § 3 Absatz 1 Satz 1 und 2 erfüllen, erfolgt.</td> <td><i>entfällt</i></td> </tr> </table>		Position A	Position B
Position A	Position B			
sowie durch Fachärztinnen oder Fachärzte, welche die Anforderungen nach § 3 Absatz 1 Satz 1 und 2 erfüllen, erfolgt.	<i>entfällt</i>			

3.3 Mindestanforderungen an die Aufklärung der Patientinnen und Patienten nach § 6

	Die Aufklärung der Patientinnen oder Patienten erfolgt vor Anwendung des ATMP.	<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	Zeitlicher Umfang der Nichterfüllung (Uhrzeit/in Std.)	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Wiedererfüllung

3.5 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

Anhang 4 Checkliste für das Nachweisverfahren nach [Position A] § 13 [bzw. Position B] § 12 zur Erfüllung von Anforderungen nach Maßgabe der [Position A] §§ 8 – 10 [bzw. Position B] §§ 7 – 9 (Nachsorge)

Selbstauskunft des Leistungserbringers:

Der Leistungserbringer _____ in _____

erfüllt die

Mindestanforderungen (Anhang 4 Teil 1)

Position A	Position B
und dokumentiert die <input type="checkbox"/> weiteren Qualitätsanforderungen (Anhang 4 Teil 2)	<i>entfällt</i>

die Mindestanforderungen zur Nachsorge von Patientinnen und Patienten nach der Anwendung eines Gentherapeutikum bei Hämophilie.

Institutionskennzeichen und Standortnummer _____

oder

BSNR _____

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

1. Teil – Nachweis von Mindestanforderungen der Nachsorge

4.1 Mindestanforderungen an Infrastruktur und Organisation der Nachsorge nach § 8

Position A			Position B
			<i>entfällt</i>
.1	Durch organisatorische Vorkehrungen ist eine regelmäßige Einbestellung des Patienten oder der Patientin innerhalb der Intervalle gemäß Fachinformation nach der Entlassung aus der Behandlungseinrichtung, in der die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt ist, sichergestellt.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	
.2	Durch organisatorische Vorkehrungen ist bei jeder Vorstellung eine Bestimmung der jeweilige Gerinnungsfaktor sowie Laborwerte zur Überprüfung der Leberfunktion (Alaninaminotransferase (ALT), Aspartataminotransferase (AST) und Kreatinphosphokinase (CPK)) sichergestellt und wird in der Patientenakte dokumentiert.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	
.3	Durch organisatorische Vorkehrungen ist sichergestellt, dass alle sechs Monate der Gelenkstatus und alle zwölf Monate der Funktionsstatus der Leber (z.B. mittels Bildgebung) untersucht und in der Patientenakte dokumentiert werden,	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	

Position A			Position B		
SOP zum Informationsfluss der Behandlungseinrichtungen					
.4	In der Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, ist eine spezifische SOP vorhanden, welche sicherstellt, dass die Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und Durchführung der	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	.4	Durch organisatorische Vorkehrungen ist sichergestellt, dass die Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und Durchführung der Therapie der jeweiligen Patientin bzw. des jeweiligen Patienten stattgefunden hat, regelhaft und zeitnah über die Durchführung und die Ergebnisse der Untersuchungen nach § 8 Absatz 2	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

	Therapie der jeweiligen Patientin bzw. des jeweiligen Patienten stattgefunden hat, innerhalb von zwei Werktagen über die Durchführung und die Ergebnisse der Untersuchungen nach § 8 Absatz 2 informiert wird.			informiert wird.		
SOP zur Durchführung von Untersuchungen im Rahmen der Nachsorge						
.5	In der Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, ist eine spezifische SOP für die Durchführung der Untersuchungen gemäß § 8 Absatz 2 Satz 3 und 4 vorhanden, welche die Vorgaben nach § 8 Absatz 4 Satz 2 erfüllt.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein		.5	Durch organisatorische Vorkehrungen ist sichergestellt, dass <ol style="list-style-type: none"> eine werktäglichen Erhebung der Faktoraktivität sowie der Laborwerte zur Überprüfung der Leberfunktion, die Verfügbarkeit der Ergebnisse nach Buchstabe a innerhalb von 24 Stunden und die Interpretation von Laborwerten und die Übermittlung von Therapieempfehlungen an die Patientin bzw. den Patienten möglich ist. 	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

4.2 Mindestanforderungen an die Erfahrung der Behandlungseinrichtung zur Nachsorge nach § 9

Die Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, verfügt über Erfahrungen in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit hereditären oder erworbenen Faktormangelzuständen und sonstigen Koagulopathien, dokumentiert durch:		
	≥ 10 Patientinnen und Patienten mit schwerer Hämophilie mit dieser Diagnose (D66, D67, D68.00, D68.01, D68.09 nach ICD-10-GM-2023 beziehungsweise der im Bezugszeitraum jeweils geltenden Fassung) innerhalb des letzten Kalenderjahres.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
		oder Dokumentiert durch Meldung im Deutschen Hämophilie Register <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

Anzahl der Patientinnen und Patienten:	_____
----------------------------------------	-------

4.3 Mindestanforderungen an das Personal in der Nachsorge nach § 10

	Funktion	Titel	Name	Vorname		
.1	verantwortliche Ärztin/ verantwortlicher Arzt				Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
					ODER	
					Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
					ODER	
					Fachärztin oder Facharzt für Transfusionsmedizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

Position A						Position B	
	Funktion	Titel	Name	Vorname		<i>entfällt</i>	
.2	weitere beteiligte Person				abgeschlossene Weiterbildung zur Hämostaseologie Assistentin bzw. zum Hämostaseologie Assistenten		<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
					ODER		

					mindestens 24-monatige Berufserfahrung ³ in einer Behandlungseinrichtung, welche die Anforderungen nach § 2 erfüllt	<input type="radio"/> ja	<input type="radio"/> nein	
--	--	--	--	--	--------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------------	--------------------------	----------------------------	--

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

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

2. Teil – Dokumentation weiterer Qualitätsanforderungen zur Nachsorge

4.5 Qualitätsanforderung bezüglich Rücksprache der Behandlungseinrichtung

Es kann eine Rücksprache mit der Behandlungseinrichtung erfolgen, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie erfolgt ist.	sichergestellt: <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
Begründung sofern nicht sichergestellt:	

³ Bezogen auf Vollzeitäquivalente.

3. Teil – 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