



Gemeinsamer
Bundesausschuss

Anlage II

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)

Onasemnogen-Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

Inhalt

a.	Qualitätsanforderungen.....	3
§ 1	Gegenstand	3
§ 2	Anforderungen an die Erfahrung in den Behandlungseinrichtungen	3
§ 3	Anforderungen an Diagnostik sowie Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen	4
§ 4	Anforderungen an das ärztliche Personal einschließlich apparativer Ausstattung	5
§ 5	Anforderungen an das pflegerische und das weitere beteiligte Personal	6
§ 6	Anforderungen an die Therapieentscheidung.....	6
§ 7	Anforderungen an Infrastruktur und Organisation	7
§ 8	Anforderungen an die Nachsorge.....	8
§ 9	Personelle und fachliche Anforderungen an das ärztliche Personal in der Nachsorge	8
§ 10	Anforderungen an Infrastruktur und Organisation in der Nachsorge	8
§ 11	Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten.....	9
§ 12	Sonstige Qualitätsanforderungen.....	9
b.	Besondere Bestimmungen	9
§ 13	Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für zugelassene Krankenhäuser.....	9
§ 14	Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für Leistungen durch Hochschulambulanzen oder vor- und nachstationäre Versorgung des Krankenhauses.....	10
§ 15	Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassene oder ermächtigte Leistungserbringer	11
§ 16	Übergangsregelungen.....	11
Anhang 1	Übersicht zu Kodierungen von Diagnosen sowie Operationen und Prozeduren (OPS- und ICD-10-GM).....	12
Anhang 2	Checkliste für das Nachweisverfahren nach § 13 Absatz 2 und Absatz 4 zur Erfüllung von Anforderungen.....	13
Anhang 3	Ergänzende Checkliste für das Nachweisverfahren nach § 13 Absatz 2 Satz 3 zur Erfüllung von Prozessanforderungen	24
Anhang 4	Checkliste für das Nachweisverfahren nach § 15 Absatz 2 zur Erfüllung von Anforderungen	31
Anhang 5	Musterformular zur Konformitätserklärung der Labore nach § 3 Absatz 3.....	37

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 Onasemnogen-Abepravovec, ein Arzneimittel für neuartige Therapien (ATMP), zur Behandlung der spinalen Muskelatrophie (SMA) festgelegt.
- (2) ¹Die Spinale Muskelatrophie 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-2021). ²Onasemnogen-Abepravovec ist eine rekombinante Adeno-assoziierte Virusvektor-basierte Gentherapie, die eine Kopie des Gens liefert, das für das menschliche SMN-Protein kodiert. ³Der Anhang 1 enthält eine Übersicht für Codes von Diagnosen und Operationen bzw. Prozeduren.
- (3) ¹Der vorliegende Beschluss orientiert sich mit den nachfolgenden Regelungen an der qualitätsgesicherten Anwendung von Onasemnogen-Abepravovec bei Säuglingen, Kleinkindern und Kindern mit SMA. ²Zolgensma (Onasemnogen-Abepravovec) ist indiziert zur Behandlung von:
 - a. Patienten mit 5q-assoziiertes SMA mit einer biallelischen Mutation im *SMN1*-Gen und einer klinisch diagnostizierten Typ-1-SMA, oder
 - b. Patienten mit 5q-assoziiertes SMA mit einer biallelischen Mutation im *SMN1*-Gen und bis zu 3 Kopien des *SMN2*-Gens.

³Die 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 mit einem Körpergewicht von über 13,5 kg gesondert und nachvollziehbar abzuwägen sind.

§ 2 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:
 - a. Erfahrung in der Behandlung von neuromuskulären Erkrankungen dokumentiert durch 50 Behandlungsfälle mit neuromuskulären Erkrankungen innerhalb der letzten zwölf Monate,
 - b. Erfahrungen in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit SMA, dokumentiert durch ≥ 20 Behandlungsfälle mit dieser Diagnose (G12.0, G12.1 nach ICD-10-GM-2021) innerhalb von 3 Kalenderjahren, davon mindestens 5 Patientinnen oder 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 SMA zugelassener Medikamente bei ≥ 15 Behandlungsfällen innerhalb von 3 Kalenderjahren, davon bei mindestens 5 Patientinnen oder Patienten im Alter von unter 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.

§ 3 Anforderungen an Diagnostik sowie Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen

- (1) ¹Zur Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen müssen Behandlungseinrichtungen folgende Anforderungen sicherstellen:

1. Vorliegen einer molekulargenetischen Diagnostik bezüglich der Deletion oder Mutation des *SMN1*-Gens inklusive Bestimmung der *SMN2*-Gen-Kopienzahl für das Vorliegen einer SMA, durchgeführt mit einem validierten Verfahren.
2. Vorliegen folgender Voraussetzungen:
 - a. eines validierten Tests auf AAV9-Antikörper,
 - b. Prüfung und ggf. Anpassung des Impfplans,
 - c. Beratung über saisonale RSV-Prophylaxe,
 - d. Ausschluss von Kontraindikationen,
 - e. einer standardisierten motorischen Funktionsdiagnostik gemäß den Empfehlungen zur „Verlaufsbeobachtung und Therapieevaluation bei spinaler Muskelatrophie“ der SMARtCARE Initiative¹.

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

- (2) ¹Die Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abepravovec erfolgt, muss entsprechende Ressourcen vorhalten, damit Patientinnen und Patienten mit SMA 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 an eine Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abepravovec erfolgt, 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 Gendiagnostik-Gesetz (GenDG) erfüllen. ²Das Labor hat ein validiertes Verfahren zur Bestimmung der *SMN2*-Genkopienzahl 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 nach Absatz 1 oder 2 darf die molekulargenetische Analytik nur in Laboren durchführen lassen, die diese

¹ Zuletzt abgerufen online 26.08.2021 unter <https://www.smartcare.de/>

Qualitätsanforderungen erfüllen. ⁵Die Behandlungseinrichtung kann die Labordiagnostik selbst durchführen oder nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 Satz 2 i.V.m. § 3 Absatz 5 des Allgemeinen Teils durch Kooperationen gewährleisten. ⁶Eine Kooperationsvereinbarung ist nur zulässig mit Laboren, die zur Erfüllung der Qualitätsanforderungen eine Konformitätserklärung gemäß Anhang 5 abgegeben haben.

§ 4 Anforderungen an das ärztliche Personal einschließlich apparativer Ausstattung

- (1) ¹Die Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen für eine mit Onasemnogen-Abeparvovec behandelbare SMA gemäß § 3 muss durch Fachärztinnen oder Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie erfolgen. ²Die Erfüllung der Anforderungen zur Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen gemäß § 3 sowie der Anforderungen nach diesem Absatz ist jeweils in der Patientenakte zu dokumentieren.
- (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 Ärztin oder ein weiterer Arzt Fachärztin oder Facharzt 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 § 2 Absatz 1 und 2 aufgeführten Anforderungen erfüllt. ³Werktags 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 Werktage ist jeweils mindestens eine Rufbereitschaft nach Maßgabe § 3 Absatz 8 des Allgemeinen Teils 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. 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:
 - a. pädiatrische Kardiologie,
 - b. Laboratoriumsmedizin,
 - c. pädiatrische Pneumologie oder pädiatrische Intensivmedizin.

²Die 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.

- (4) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, muss bei der Verlegung auf die Intensivstation 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.

§ 5 Anforderungen an das pflegerische und das weitere beteiligte Personal

- (1) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, müssen die pflegerisch verantwortliche Leitung der Behandlungseinheit und ihre Stellvertretung Pflegefachkräfte mit der Berufsbezeichnung Gesundheits- und Kinderkrankenpfleger/in nach dem KrPflG oder dem PflBG sein. ²In jeder Schicht auf der Behandlungseinheit, auf der die Behandlung von Patienten und Patientinnen mit Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, ist sicherzustellen, dass eine Pflegekraft anwesend ist, die die Berufsbezeichnung Gesundheits- und Kinderkrankenpfleger/in nach KrPflG führt. ³Das einer Behandlungseinheit zugeordnete Personal sowie seine Leitungsstruktur müssen sich den Organisations- und Dienstplänen der Behandlungseinrichtung entnehmen lassen. ⁴Die schichtbezogene Dokumentation zum Nachweis der Erfüllung der Anforderungen kann anhand der Dokumentationshilfe in Anhang 3 Teil 2 erfolgen.
- (2) ¹In den Behandlungseinrichtungen 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, HFMSE, RULM, 6MWT) geschult sein. ³Die Durchführung durch entsprechend qualifiziertes Personal ist nachweislich in der Patientenakte zu dokumentieren. ⁴Die an der physiotherapeutischen Behandlung beteiligten Physiotherapeutinnen oder Physiotherapeuten sollen über mindestens zweijährige Erfahrung in der physiotherapeutischen Behandlung von Säuglingen, Kleinkindern und Kindern mit neuromuskulären Erkrankungen verfügen. ⁵Die physiotherapeutische Kompetenz nach Satz 1 bis 4 kann durch eigenes Personal oder nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 Satz 2 i.V.m. § 3 Absatz 5 des Allgemeinen Teils durch Kooperation vorgehalten werden. ⁶Die physiotherapeutische Behandlung ist durch Kompetenz nach Satz 4 werktäglich zu gewährleisten.
- (3) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, soll ein Sozialdienst verfügbar sein. ²Die Verfügbarkeit dieses Leistungsbereiches kann auch nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 Satz 2 i.V.m. § 3 Absatz 5 des Allgemeinen Teils durch Kooperationen gewährleistet werden.

§ 6 Anforderungen an die Therapieentscheidung

- (1) Zur Therapieentscheidung für eine Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec müssen die Anwendungsvoraussetzungen nach § 3 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 § 4 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-Abeprarvovec ist unter Berücksichtigung der Anwendungsvoraussetzungen laut Zulassung, dem anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse und der Einschätzung zum patientenindividuellen Nutzen der Therapie mit Onasemnogen-Abeprarvovec zu begründen und in der Patientenakte 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-Abeprarvovec bei Frühgeborenen vor Erreichen des vollen Gestationsalters nachvollziehbar abzuwägen.

§ 7 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation

- (1) In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeprarvovec 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.
- (2) Am Standort, an dem die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Onasemnogen-Abeprarvovec stattfindet, befindet sich eine pädiatrische Intensivstation, die altersgerechte Beatmungsmöglichkeiten vorhält.
- (3) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeprarvovec erfolgt, muss eine tägliche Visite durchgeführt und in der Patientenakte dokumentiert werden, an welcher sowohl ärztliches Personal zur Gewährleistung des Facharztstandards gemäß § 4 Absatz 2 Satz 3 als auch pflegerisches Personal im Sinne des § 5 Absatz 1 teilnimmt. ²Der in § 5 Absatz 3 genannte Bereich sowie Physiotherapeutinnen oder Physiotherapeuten sollen bei Bedarf hinzugezogen werden. ³Bei jeder Visite sollten in der jeweiligen Patientenakte der klinische Zustand und das abgesprochene Behandlungskonzept dokumentiert werden.
- (4) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeprarvovec erfolgt, muss eine spezifische SOP für die Übergänge zwischen Vorbereitung der Behandlung und Nachsorge zu der Onasemnogen-Abeprarvovec-Therapie vorhanden sein. ²Die 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 Onasemnogen-Abepravovec qualifizierten Behandlungseinrichtung geben.

§ 8 Anforderungen an die Nachsorge

- (1) Nach der Entlassung aus der Behandlungseinrichtung in der die Anwendung von Onasemnogen-Abepravovec erfolgt ist, findet eine ambulante Nachsorge der Therapie mit Onasemnogen-Abepravovec nach Maßgabe der folgenden Regelungen unter Berücksichtigung des Nachsorgeplans nach § 7 Absatz 4 Nummer 2 statt.
- (2) ¹Die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogen-Abepravovec ist bis mindestens fünfzehn Jahre nach Maßgabe der personellen, fachlichen und strukturellen Anforderungen gemäß § 9 und § 10 zu gewährleisten. ²Die Nachsorge hat durch regelmäßige Einbestellung des Patienten oder der Patientin innerhalb der folgenden Intervalle nach der Entlassung aus der Behandlungseinrichtung, in der die Anwendung von Onasemnogen-Abepravovec erfolgt ist, zu erfolgen:
 1. innerhalb der ersten vier Wochen: wöchentlich,
 2. ab vier Wochen bis zwölf Wochen: alle zwei Wochen,
 3. ab dem vierten bis zum sechsten Monat: monatlich,
 4. ab dem siebten Monat: alle vier Monate,
 5. sowie ab dem 5. Jahr: einmal pro Jahr.

³Diese sind in der Patientenakte zu dokumentieren.

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

- (1) Die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogen-Abepravovec gemäß § 8 darf bis zu einem Jahr nach der Therapie mit Onasemnogen-Abepravovec nur in bzw. an einer an eine Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abepravovec erfolgte, angeschlossenen oder mit dieser kooperierenden ambulanten Einrichtung oder Hochschulambulanz erfolgen.
- (2) In einer Behandlungseinrichtung für die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogen-Abepravovec gemäß § 8 gelten ab einem Jahr nach der Entlassung aus der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abepravovec erfolgte, die Anforderungen gemäß § 2 Absatz 1 mit der Maßgabe entsprechend, dass die Anforderung an die Erfahrungen in der Behandlung von 5 Patientinnen oder Patienten im Alter von weniger als 1 Lebensjahr innerhalb von 3 Jahren keine Anwendung findet.

§ 10 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation in der Nachsorge

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 unterstützen. ²Insbesondere bei Patientinnen und Patienten bis zum vollendeten 18. Lebensjahr soll eine unterbrechungslose Weiterführung der Betreuung der Patientinnen und Patienten im Erwachsenenalter bei einer Fachärztin oder einem Facharzt für Neurologie koordiniert werden. ³Das ärztliche Personal für die Nachsorge der Therapie mit Onasemnogen-Abepravovec muss sich über das fachliche Informationsmaterial für die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Onasemnogen-Abepravovec informieren und dieses zur Kenntnis genommen haben.

§ 11 Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten

- (1) Die Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten muss vor Anwendung von Onasemnogen-Abepravovec erfolgen.
- (2) ¹Die Aufklärung soll insbesondere folgende Aspekte umfassen:
 1. das Krankheitsbild SMA,
 2. mögliche verfügbare therapeutische Alternativen im Hinblick auf die Auswahl der Behandlungsoptionen, deren möglichen Nutzen und Risiken und den zeitlichen Ablauf der geplanten Untersuchungen,
 3. die Möglichkeiten eines Einschlusses in das SMARtCARE-Register,
 4. 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-Abepravovec erforderlich ist.

²Die Aufklärung ist jeweils in der Patientenakte zu dokumentieren.

§ 12 Sonstige Qualitätsanforderungen

- (1) ¹Behandlungseinrichtungen im Sinne dieses Beschlusses, welche die Versorgung von Patientinnen und Patienten bis mindestens fünf Jahre nach der Onasemnogen-Abepravovec-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-Abepravovec-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 zu überweisen.
- (2) Für die Durchführung der standardisierten motorischen Funktionstests gilt § 5 Absatz 2 Satz 1 bis 3 entsprechend.

b. Besondere Bestimmungen

§ 13 Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für zugelassene Krankenhäuser

- (1) ¹Bei den die Behandlungseinrichtungen betreffenden Qualitätsanforderungen in

§ 2 Absatz 1, Absatz 2, § 3 Absatz 1 Satz 1, Absatz 2 Satz 1, Absatz 3 Satz 1 bis 3, § 4, § 5 Absatz 1 Satz 1, 2 und 3, Absatz 2 Satz 1, 2 und 6, § 6, § 7 Absatz 1, Absatz 2, Absatz 3 Satz 1, Absatz 4 Satz 1, § 11 Absatz 1, Absatz 2 Satz 2 und § 12 handelt es sich um Mindestanforderungen.²Die Mindestanforderungen gemäß § 4 Absatz 1 Satz 1, Absatz 2 Satz 3 und 4, Absatz 4 Satz 1, § 5 Absatz 1 Satz 2, Absatz 2 Satz 6 und § 7 Absatz 3 Satz 1 sind solange einzuhalten, wie bei Patientinnen und Patienten eine Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec angewandt wird.

- (2) ¹Aufgrund einer Anzeige nach § 10 Absatz 3 oder Absatz 5 Satz 5 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 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie anhand des Vordrucks der Checkliste nach Anhang 2 Teil 1 zu übermitteln. ²Die SOPs gemäß § 7 Absatz 1 und 4 sind stets vorzulegen. ³Aufgrund einer Anzeige nach § 10 Absatz 5 Satz 5 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 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 ein bzw. drei volle Kalenderjahre umfasst, kann auch das laufende Kalenderjahr anteilig einbezogen werden, um auf einen Gesamtzeitraum zu kommen, der ein bzw. drei volle Kalenderjahre im Sinne der § 2 Absatz 1 oder Absatz 2 umfasst.
- (4) ¹Zur 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. ²Um weitere Qualitätsanforderungen in diesem Sinne handelt es sich bei § 5 Absatz 2 Satz 4, Absatz 3, § 7 Absatz 3 Satz 2 und 3 und § 11 Absatz 2 Satz 1.
- (5) ¹Abweichend von § 17 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie sind die Fortsetzung bereits begonnener Behandlungen von Patientinnen und Patienten im Anschluss an eine bereits durchgeführte Onasemnogen-Abeparvovec-Therapie und die Neuaufnahme von Patientinnen und Patienten, die für eine Onasemnogen-Abeparvovec-Therapie in Frage kommen, aufgrund von unvorhersehbaren Ereignissen oder außergewöhnlichen Umständen, die nicht durch Vorkehrungen hätten abgewendet werden können, nur nach den folgenden Vorgaben zulässig. ²Mindestanforderungen sind schnellstmöglich wieder zu erfüllen. ³Gründe und Umfang der Nichterfüllung sind nachweisbar zu dokumentieren. ⁴Solange die Wiedererfüllung der Mindestanforderungen gemäß Absatz 1 nicht erfolgt ist, darf bei keiner Patientin oder keinem Patienten eine Onasemnogen-Abeparvovec-Therapie durchgeführt werden.

§ 14 Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für Leistungen durch Hochschulambulanzen oder vor- und nachstationäre Versorgung des Krankenhauses

¹Die Anzeige- und Nachweisverpflichtung nach § 15 i.V.m. §§ 10 und 12 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie besteht für Behandlungseinrichtungen, die Leistungen zur Vorbereitung der Therapie nach § 3 beziehungsweise für den nach § 9 Absatz 1 vorgesehenen Versorgungszeitraum als Hochschulambulanz oder im Rahmen der vor-

und nachstationären Versorgung des Krankenhauses nach § 115a SGB V erbringen. ²Der Medizinische Dienst führt Kontrollen zur Einhaltung der Mindestanforderungen nach § 15 Absatz 1 durch. ³§ 13 findet entsprechende Anwendung mit der Maßgabe, dass der Vordruck der jeweiligen Checkliste nach § 15 Absatz 2 zu verwenden ist.

§ 15 Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassene oder ermächtigte Leistungserbringer

- (1) Bei den die Behandlungseinrichtungen betreffenden Qualitätsanforderungen in § 3 Absatz 1 und 3, § 4 Absatz 1, § 8 Absatz 1, § 9, § 10 Satz 3 und § 12 handelt es sich um Mindestanforderungen.
- (2) ¹Mit der Anzeige nach § 16 Absatz 2 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie hat der zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassene oder ermächtigte Leistungserbringer die für den Nachweis der Erfüllung der Mindestanforderungen erforderlichen einrichtungs- und personenbezogenen Daten anhand des Vordrucks der Checkliste nach Anhang 4 Teil 1 und Teil 2.1 zu übermitteln. ²Die Anzeige- und Nachweisverpflichtung gegenüber der zuständigen Kassenärztlichen Vereinigung besteht für Behandlungseinrichtungen, die Leistungen zur Vorbereitung der Therapie nach § 3 beziehungsweise für einen vorgesehenen Zeitraum der Nachsorge von bis zu 5 Jahren erbringen.
- (3) 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 4 Teil 2.2 zu übermitteln.
- (4) ¹Abweichend von § 17 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie sind Neuaufnahmen Onasemnogen-Abeparvovec-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 vor- oder nachstationärer Versorgung, die die Anforderungen dieser Anlage erfüllt, nicht möglich ist. ²Gründe für die Dringlichkeit und die Unmöglichkeit der anderweitigen Versorgung sind nachweislich in der Patientenakte zu dokumentieren. ³Die Mindestanforderungen sind schnellstmöglich wieder zu erfüllen. ⁴Die Kassenärztliche Vereinigung ist darüber unverzüglich zu informieren.

§ 16 Übergangsregelungen

¹Aufgrund § 20 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie müssen Leistungserbringer bzw. Behandlungseinrichtungen, die bereits vor dem 4. November 2021 die Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec bei SMA durchgeführt oder die Versorgung in Form der Vorbereitung oder Nachsorge von Patientinnen und Patienten im Zusammenhang mit der Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec übernommen haben, die geforderten Nachweise gemäß §§ 13 Absatz 2 und 4, 14, 15 Absatz 2 und 3 bis zum 4. Mai 2022 erbringen. ²§ 13 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)

ICD-10-GM 2021	
G 12.0	Infantile spinale Muskelatrophie, Typ I [Typ Werdnig-Hoffmann]
G 12.1	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 2021	
[nicht besetzt]	
-	-

Anhang 2 Checkliste für das Nachweisverfahren nach § 13 Absatz 2 und Absatz 4 zur Erfüllung von Anforderungen nach Maßgabe der §§ 2 – 7 sowie §§ 11 und 12

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 Onasemnogen-Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie.

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).

1. Teil – Nachweisverfahren zu Mindestanforderungen nach Maßgabe der §§ 2 – 7 sowie §§ 11 und 12

2.1 Mindestanforderungen an die Erfahrung der Behandlungseinrichtung nach § 2

Die Behandlungseinrichtung verfügt über umfangreiche Erfahrung in der Behandlung von neuromuskulären Erkrankungen im Allgemeinen und in der Behandlung der spinalen Muskelatrophie im Speziellen dokumentiert durch:		
.1	50 Behandlungsfälle mit neuromuskulären Erkrankungen innerhalb der letzten zwölf Monate.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein Dokumentiert durch Meldung im SMARtCARE-Register <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
	Anzahl der Behandlungsfälle:	_____
.2	≥ 20 Behandlungsfälle mit dieser Diagnose (G12.0, G12.1 nach ICD-10-GM-2021) innerhalb von 3 Kalenderjahren, davon mindestens 5 Patientinnen oder Patienten im Alter von weniger als 1 Lebensjahr.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein Dokumentiert durch Meldung im SMARtCARE-Register <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
	Anzahl der Behandlungsfälle:	_____
	Anzahl der Patientinnen/Patienten im Alter < 1 Jahr:	_____
.3	Einsatz zur Behandlung der Spinalen Muskelatrophie zugelassener Medikamente bei ≥ 15 Behandlungsfällen innerhalb von 3 Kalenderjahren, davon mindestens 5 Patientinnen/Patienten im Alter	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

von weniger als 1 Lebensjahr.	Dokumentiert durch Meldung im SMartCARE-Register <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
Anzahl der Behandlungsfälle:	_____
Anzahl der Patientinnen/Patienten im Alter < 1 Jahr:	_____

2.1.4 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 Diagnostik sowie Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen nach § 3

Die Behandlungseinrichtung erfüllt folgende Anforderungen zur Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen:			Sicherstellung erfolgt durch Kooperationspartner:
.1	Die Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, hält entsprechende Ressourcen vor, damit Patientinnen und Patienten mit Spinaler Muskelatrophie mit Überweisung aufgrund des Nachweises einer Mutation des <i>SMN1</i> -Gens innerhalb von drei Werktagen nach Kontaktaufnahme vorstellig werden können.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	<input type="radio"/>

2.2.2 Begründung, falls die Mindestanforderungen an Diagnostik sowie Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

2.3 Personelle und fachliche Mindestanforderungen an das ärztliche Personal einschließlich apparativer Ausstattung nach § 4

.1	Funktion	Titel	Name	Vorname			
	Verantwortliche Ärztin/ verantwortlicher Arzt				Fachärztin oder Facharzt für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	
					SOWIE		
					mindestens zweijährige Berufserfahrung in einer Behandlungseinrichtung, welche die in § 3 Absatz 1 und 2 aufgeführten Anforderungen erfüllt ²	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	
	Weitere/r Ärztin/ Arzt					Fachärztin oder Facharzt für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
SOWIE							

² Bezogen auf Vollzeitäquivalente.

					mindestens zweijährige Berufserfahrung in einer Behandlungseinrichtung, welche die in § 3 Absatz 1 und 2 aufgeführten Anforderungen erfüllt?	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
--	--	--	--	--	--	---

.2	Das Personal nach § 4 Absatz 2 Satz 1 und 3 hat an der einrichtungsinternen Schulung für die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Onasemnogen-Abeparvovec teilgenommen.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
----	--	---

	Die Verfügbarkeit der folgenden Fachdisziplinen ³ einschließlich der aufgeführten Untersuchungs- und Behandlungsmöglichkeiten ist sichergestellt:	Sicherstellung erfolgt durch:		Verfügbarkeit der Fachdisziplin nicht sichergestellt
		Eigene Fachdisziplin	Kooperationspartner ⁴	
.3	- pädiatrische Kardiologie	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
.4	- Laboratoriumsmedizin	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
.5	- pädiatrische Pneumologie oder pädiatrische Intensivmedizin	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>

2.3.6 Begründung, falls die personellen und fachlichen Mindestanforderungen an das ärztliche Personal einschließlich apparativer Ausstattung teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

³ Sofern im Feststellungsbescheid keine entsprechenden Teilgebiete ausgewiesen werden, gelten solche Abteilungen als Fachabteilungen im Sinne der Richtlinie, die organisatorisch abgegrenzt sind, von Ärztinnen oder Ärzten eigenständig verantwortlich geleitet werden und über die apparativen und räumlichen Ausstattungen des jeweiligen Fachbereichs verfügen.

⁴ Die Anforderungen nach § 2 Absatz 2 Satz 2 i.V.m. § 3 Absatz 5 des Allgemeinen Teils sind einzuhalten.

--	--	--

2.4 Personelle und fachliche Mindestanforderungen an das pflegerische und das weitere beteiligte Personal nach § 5

	Funktion	Titel	Name	Vorname		
.1	Pflegerisch verantwortliche Leitung				Berufsbezeichnung Gesundheits- und Kinderkrankenpfleger/in nach dem KrPflG oder dem PflBG	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
.2	Stellvertretung der Pflegerisch verantwortlichen Leitung				Berufsbezeichnung Gesundheits- und Kinderkrankenpfleger/in nach dem KrPflG oder dem PflBG	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

.3	Die Physiotherapeutinnen und Physiotherapeuten, die die standardisierten motorischen Funktionstests zur Diagnostik durchführen, haben mindestens zwei Jahre Erfahrung in der physiotherapeutischen Diagnostik und Behandlung von Kindern mit neuromuskulären Erkrankungen und sind in der Durchführung von standardisierten, krankheitsspezifischen Muskelfunktionstests (z.B. CHOP-INTEND, HFMSE, RULM, 6MWT) geschult.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	Sicherstellung erfolgt durch Kooperationspartner⁴: <input type="radio"/>
----	--	---	---

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

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

2.5 Mindestanforderungen an Infrastruktur und Organisation nach § 7

SOP zur Überwachung und Früherkennung von Komplikationen		
.1	In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, sind 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.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
.2	Am Standort, an dem die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Onasemnogen-Abeparvovec stattfindet, befindet sich eine Behandlungseinheit für pädiatrische Intensivmedizin, die altersgerechte Beatmungsmöglichkeiten vorhält.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
SOP für Behandlungsübergänge zwischen Vorbereitung der Behandlung und ambulanter Nachsorge		
.3	In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, ist eine spezifische SOP für die Übergänge zwischen Vorbereitung der Behandlung und Nachsorge zu der Onasemnogen-Abeparvovec-Therapie vorhanden.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

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

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

2.6 Mindestanforderungen an sonstige Qualitätsanforderungen nach § 12

.1	Die Behandlungseinrichtung stellt, sofern die Versorgung von Patientinnen und Patienten bis mindestens fünf Jahre nach der Onasemnogen-Abeparvovec-	Dokumentation sichergestellt:	Dokumentation nicht sichergestellt:
----	---	-------------------------------	-------------------------------------

	Therapie übernommen wird, durch personelle und strukturelle Voraussetzungen die zeitnahe Dokumentation an das SMartCARE-Register und ggf. andere erforderliche Dokumentationssysteme sicher.		
		Überweisung an geeignete Behandlungseinrichtung:	
	<i>Hinweis:</i> Für die Durchführung der standardisierten motorischen Funktionstests gilt § 5 Absatz 2 Satz 1 und 2 entsprechend.		

2.6.2 Begründung, falls die Mindestanforderungen an sonstige Qualitätsanforderungen teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

2. Teil – Dokumentation weiterer Qualitätsanforderungen nach Maßgabe der §§ 2 – 7 sowie §§ 11 und 12

2.7 Qualitätsanforderung an physiotherapeutische Behandlung nach § 5 Absatz 2 Satz 4

Die an der physiotherapeutischen Behandlung beteiligten Physiotherapeutinnen oder Physiotherapeuten sollen über eine mindestens zweijährige Erfahrung in der physiotherapeutischen Behandlung von Säuglingen, Kleinkindern und Kindern mit neuromuskulären Erkrankungen verfügen.	sichergestellt: <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	Sicherstellung erfolgt durch Kooperationspartner ⁴ <input type="radio"/>
Begründung, sofern nicht sichergestellt:		

2.8 Qualitätsanforderung an weitere Leistungsbereiche nach § 5 Absatz 3

In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und Anwendung von Onasemnogen-Abepravovec erfolgt, soll ein Sozialdienst verfügbar sein.	sichergestellt: <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	Sicherstellung erfolgt durch Kooperationspartner ⁴ <input type="radio"/>
Begründung, sofern nicht sichergestellt:		

2.9 Qualitätsanforderung an die tägliche Visite

Die in § 4 Absatz 3 genannten Bereiche sowie Physiotherapeutinnen oder Physiotherapeuten sollen bei Bedarf hinzugezogen werden.	sichergestellt: <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
Bei jeder Visite sollten in der jeweiligen Patientenakte der klinische Zustand und das abgesprochene Behandlungskonzept dokumentiert werden.	sichergestellt: <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

Begründung, sofern nicht sichergestellt:

2.10 Qualitätsanforderung an die Aufklärung von Patientinnen und Patienten

Die Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten soll folgende Punkte 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 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.

sichergestellt:

ja nein

Begründung, sofern nicht sichergestellt:

3. Teil – Unterschriften

Hiermit wird die Richtigkeit der obigen Angaben bestätigt.

Name

Datum

Unterschrift

Ärztliche Leitung

Pflegedirektion

Geschäftsführung/
Verwaltungsdirektion

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

Anhang 3 Ergänzende Checkliste für das Nachweisverfahren nach § 13 Absatz 2 Satz 3 zur Erfüllung von Prozessanforderungen nach Maßgabe der §§ 2 – 7 sowie §§ 11 und 12⁵

Selbstauskunft der Behandlungseinrichtung

Die Behandlungseinrichtung _____ in _____

erfüllt die

Mindestanforderungen (Anhang 3 Teil 1)

zur Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie

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 der MD-QK-RL.

⁵ Inklusiv Musterformular/Dokumentationshilfe zur schichtbezogenen Dokumentation.

1. Teil – Nachweisverfahren von Prozessanforderungen nach Maßgabe der §§ 2 – 7 sowie §§ 11 und 12

3.1 Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen nach § 4 Absatz 1 sowie § 3 Absatz 1

.1	Die Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen für eine mit Onasemnogen-Abeparvovec behandelbare SMA gemäß § 3 erfolgt durch Fachärztinnen oder Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie. Die Erfüllung der Anforderungen zur Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen wird jeweils in der Patientenakte dokumentiert.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	Feststellung erfolgt vorstationär: <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
Zur Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen stellt die Behandlungseinrichtung folgende Anforderungen sicher:			Sicherstellung erfolgte durch Kooperationspartner:
.2	Vorliegen einer molekulargenetischen Diagnostik bezüglich der Deletion oder Mutation des <i>SMN1</i> -Gens inklusive Bestimmung der <i>SMN2</i> -Gen-Kopienzahl für das Vorliegen einer SMA, durchgeführt mit einem validierten Verfahren	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	<input type="radio"/>
.3	Vorliegen folgender Voraussetzungen: <ul style="list-style-type: none"> a. eines validierten Tests auf AAV9-Antikörpern, b. Prüfung und ggf. Anpassung des Impfplans, c. Beratung über saisonale RSV-Prophylaxe, d. Ausschluss von Kontraindikationen, e. einer standardisierten motorischen Funktionsdiagnostik gemäß den Empfehlungen zur „Verlaufsbeobachtung und Therapieevaluation bei spinaler Muskelatrophie“ der SMartCARE-Initiative. 	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein	<input type="radio"/>

3.2 Verfügbarkeit des ärztlichen Personals und tägliche Visite auf der Intensivstation nach § 4 Absatz 2 Satz 3 – 4 und Absatz 4

.1	Werktags ist eine ärztliche Betreuung gemäß Facharztstandard in der Fachdisziplin Kinder- und Jugendmedizin mit Kenntnissen im Bereich Neuropädiatrie jederzeit verfügbar.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
----	--	---

.2	Außerhalb der Werkzeuge wird mindestens eine Rufbereitschaft vorgehalten.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
----	---	---

3.3 Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten nach § 11 Absatz 1

.1	Die Aufklärung der Patientinnen oder Patienten bzw. ihrer Erziehungsberechtigten erfolgt vor Anwendung von Onasemnogen-Abeprarvovec und wird in der Patientenakte dokumentiert.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
----	---	---

3.4 Physiotherapeutische Betreuung nach § 5 Absatz 2

.1	Eine werktägliche physiotherapeutische Behandlung anhand der physiotherapeutischen Kompetenz nach § 5 Absatz 2 Satz 4 ist gewährleistet.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
----	--	---

3.5 Therapieentscheidung nach § 6

.1	Die Entscheidung für die Therapie mit Onasemnogen-Abeprarvovec erfolgt durch Fachärztinnen oder Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie, die die Anforderungen nach § 4 Absatz 2 Sätze 1 und 2 erfüllen, und unter Berücksichtigung der Laborbefunde sowie der kinder-kardiologischen und -pneumologischen Befunde.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
.2	Die Vorgaben der Fachinformation werden für die Therapieentscheidung berücksichtigt. Datum, eingebundene Fachärztinnen/Fachärzte und Beratungsergebnis werden in der Patientenakte dokumentiert.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
.3	Die Abwägungsentscheidung zur Therapieempfehlung für eine Anwendung von Onasemnogen-Abeprarvovec wird unter Berücksichtigung der Anwendungsvoraussetzungen laut Zulassung, dem anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse und der Einschätzung zum patientenindividuellen Nutzen der Therapie mit Onasemnogen-Abeprarvovec begründet und in der Patientenakte dokumentiert.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

3.6 Tägliche Visite auf der Intensivstation und in der Behandlungseinrichtung nach § 4 Absatz 4 und § 7 Absatz 3

.1	In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, wird bei Verlegung auf die Intensivstation eine tägliche Visite durch eine Fachärztin oder einen Facharzt für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie, der oder die in die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Onasemnogen-Abeparvovec eingebunden ist, durchgeführt und in der Patientenakte dokumentiert.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
.2	In der Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, wird eine tägliche Visite durchgeführt, an welcher sowohl ärztliches Personal zur Gewährleistung des Facharztstandards gemäß § 4 Absatz 2 Satz 3 als auch pflegerisches Personal im Sinne des § 5 Absatz 1 teilnimmt, und in der Patientenakte dokumentiert.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

3.7 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

2. Teil – Musterformulare zur schichtbezogenen Dokumentation

Musterformular schichtbezogene Dokumentation zur Qualifikation der eingesetzten Pflegefachkräfte

Zeitraum/ Datum	Schicht- Nummer	Titel	Name	Vorname	Gesundheits- und Kinder- krankenpfleger/-in	Anforderung (teilweise) nicht sicher gestellt
					<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
					<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
					<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
					<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
					<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
					<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
					<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
					<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
					<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
					<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
					<input type="radio"/>	<input type="radio"/>

Musterformular schichtbezogene Dokumentation zum Personaleinsatz der Pflegefachkräfte

Zeitraum/ Datum	Schicht- Nummer	Anzahl Patientinnen und Patienten mit Onasemnogen- Abeparvovec-Therapie	Anzahl eingesetztes Pflegepersonal	Anzahl in der Schicht eingesetztes Pflegepersonal insgesamt	Anzahl eingesetztes Personal für mit Onasemnogen- Abeparvovec behandelte Patientinnen/Patienten	Anzahl der Überwachungen pro Schicht	Intervall von mind. 2 Überwachungen pro Schicht erfüllt
							<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
							<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
							<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
							<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
							<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

Musterformular schichtbezogene Dokumentation zum Personaleinsatz der Physiotherapeutinnen und Physiotherapeuten

Zeitraum/ Datum	Titel	Name	Vorname	Mindestens zweijährige Erfahrung ² in der physiotherapeutischen Diagnostik und Behandlung von Kindern mit neuromuskulären Erkrankungen SOWIE nachgewiesene Schulung in der Durchführung von standardisierten, krankheitsspezifischen Muskelfunktionstests (z.B. CHOP-INTEND, HFMSE, RULM, 6MWT)	Anforderung durch Kooperation sichergestellt ⁴	Anforderung (teilweise) nicht sicher gestellt
				<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
				<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
				<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
				<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>
				<input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

3. Teil – Unterschriften

Hiermit wird die Richtigkeit der obigen Angaben bestätigt.

Name

Datum

Unterschrift

Ärztliche Leitung

Pflegedirektion

Geschäftsführung/
Verwaltungsdirektion

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

Anhang 4 Checkliste für das Nachweisverfahren nach § 15 Absatz 2 zur Erfüllung von Anforderungen nach Maßgabe des § 3 Absatz 1 und 3, § 4 Absatz 1 (Anwendungsvoraussetzungen) bzw. nach Maßgabe der §§ 8 – 10 (Nachsorge)

Selbstauskunft des Leistungserbringers⁶

Der Leistungserbringer _____ in _____

erfüllt die Voraussetzungen für die

- Mindestanforderungen an die Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen** (Anhang 4 Teil 1)

und/oder

- Mindestanforderungen an die Nachsorge bis zu 1 Jahr nach** (Anhang 4 Teil 2.1)

- Mindestanforderungen an die Nachsorge bis zu 15 Jahre nach** (Anhang 4 Teil 2.1)

und dokumentiert die

- weiteren Qualitätsanforderungen im Rahmen der Nachsorge** (Anhang 4 Teil 2.2)

der Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie.

Institutionskennzeichen und Standortnummer _____

oder

BSNR _____

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

⁶ Ambulante Vor- und Nachsorge im Zusammenhang mit einer Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie durch zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassene oder ermächtigte Leistungserbringer, Hochschulambulanzen oder im Rahmen vor- und nachstationärer Versorgung nach § 115a SGB V.

1. Teil – Nachweisverfahren zu Mindestanforderungen nach Maßgabe des § 3 Absatz 3 und § 4 Absatz 1 – Anwendungsvoraussetzungen

4.1 Feststellung von Anwendungsvoraussetzungen

.1	Die Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen für eine mit Onasemnogen-Abeparvovec behandelbare SMA gemäß § 3 erfolgt durch Fachärztinnen oder Fachärzte für Kinder- und Jugendmedizin mit Schwerpunkt Neuropädiatrie.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
.2	Die Konformitätserklärung gemäß Anhang 5 für Labore nach § 3 Absatz 3 liegt vor.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

2.1 Teil – Nachweisverfahren zu Mindestanforderungen nach Maßgabe der §§ 8 – 10 – Nachsorge

4.2 Anforderungen an die Nachsorge

	Durch organisatorische Vorkehrungen ist eine regelmäßige Einbestellung des Patienten oder der Patientin innerhalb der folgenden Intervalle nach der Entlassung aus der Behandlungseinrichtung, in der die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt ist, sichergestellt und wird dokumentiert:	
	<ul style="list-style-type: none"> - 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 	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein

4.3 Personelle und fachliche Anforderungen an das ärztliche Personal in der Nachsorge bis zu einem Jahr nach der Therapie

	Die ärztliche Betreuung im Rahmen der Nachsorge bis zu einem Jahr nach der Therapie mit Onasemnogen-Abeparvovec gemäß § 9 Absatz 1 erfolgt in bzw. an einer an eine Behandlungseinrichtung, in der die Therapieentscheidung für und die Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec erfolgt, angeschlossenen oder mit dieser kooperierenden ambulanten Einrichtung oder Hochschulambulanz.	Betreuung sichergestellt:		Betreuung nicht sichergestellt:
		<input type="radio"/> durch Kooperation ⁴ :	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>

4.4 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation in der Nachsorge

	Das ärztliche Personal der Nachsorge hat sich über das fachliche Informationsmaterial für die Behandlung von Patientinnen und Patienten mit Onasemnogen-Abeparvovec informiert und dieses zur Kenntnis genommen.	<input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
--	--	---

4.5 Registermeldung bis zu fünf Jahre nach der Therapie

<p>Die Behandlungseinrichtung stellt, sofern die Versorgung von Patientinnen und Patienten bis mindestens fünf Jahre nach der Onasemnogen-Abeparvovec-Therapie übernommen wird, durch personelle und strukturelle Voraussetzungen die zeitnahe Dokumentation an das SMARtCARE-Register und ggf. andere erforderliche Dokumentationssysteme sicher.</p> <p>Die Behandlungseinrichtung hat zudem sicherzustellen, dass die Durchführung der hierfür benötigten 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. Sie müssen in der Durchführung von standardisierten, krankheitsspezifischen Muskelfunktionstests (z.B. CHOP-INTEND, HFMSE, RULM, 6MWT) geschult sein.</p>	Dokumentation sichergestellt: <input type="radio"/>		Dokumentation nicht sichergestellt: <input type="radio"/>
	Sicherstellung durch Überweisung an geeignete Behandlungseinrichtung: <input type="radio"/>	<input type="radio"/>	<input type="radio"/>

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

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

2.2 Teil – Dokumentation weiterer Qualitätsanforderungen nach Maßgabe der §§ 8 – 10 Nachsorge

4.7 Qualitätsanforderung an die interdisziplinäre Zusammenarbeit nach § 10 Satz 1 und 2

Durch organisatorische Vorkehrungen soll der nachsorgende Leistungserbringer die interdisziplinäre Betreuung der Patientin oder des Patienten durch Zusammenarbeit mit beispielsweise Physiotherapeuten/innen, Sozialdiensten, Hilfsmittelberater/innen, Ernährungsberater/innen, Orthopäden unterstützen.	sichergestellt: <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
Insbesondere bei Patienten und Patientinnen bis zum vollendeten 18. Lebensjahr soll eine unterbrechungslose Weiterführung der Betreuung der Patientinnen und Patienten im Erwachsenenalter bei einer Fachärztin oder einem Facharzt für Neurologie koordiniert werden.	sichergestellt: <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein
Begründung, sofern nicht sichergestellt:	

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

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

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

Anhang 5 Musterformular zur Konformitätserklärung der Labore nach § 3 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 eines validierten Verfahrens.
- 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, SOP).
- 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)