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

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

Inhalt

a. Qualitätsanforderungen ... 3

§ 1 Gegenstand ... 3
§ 2 Anforderungen an die Erfahrung in der Behandlungseinrichtung zur Durchführung der Therapie ... 3
§ 3 Anforderungen an das ärztliche Personal zur Durchführung der Therapie ... 3
§ 4 Anforderungen an die Indikationsstellung für die Durchführung der Therapie ... 4
§ 5 Anforderungen an die Aufklärung der Patientinnen und Patienten zur Durchführung der Therapie ... 4
§ 6 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation zur Durchführung der Therapie ... 4
§ 7 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation der Nachsorge ... 5
§ 8 Anforderungen an die Erfahrung in der Behandlungseinrichtung zur Nachsorge 6
§ 9 Anforderungen an das Personal in der Nachsorge ... 6

b. Besondere Bestimmungen ... 7

§ 10 Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für zugelassene Krankenhäuser und zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassene oder ermächtigte Leistungserbringer ... 7
§ 11 Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für Leistungen durch Hochschulambulanzen oder nachstationäre Versorgung nach § 115a SGB V ... 7
§ 12 Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen an die nachsorgende Behandlungseinrichtung ... 7
§ 13 Übergangsregelung ... 8

Anhang 1 Übersicht zu Kodierungen von Diagnosen (ICD-10-GM) ... 9

Anhang 1a Übersicht Operationen und Prozeduren (OPS) und GOP gemäß EBM ... 10

Anhang 2 Checkliste für das Nachweisverfahren nach §§ 10 und 11 zur Erfüllung von Anforderungen nach Maßgabe §§ 2 bis 6 ... 11

Anhang 3 Ergänzende Checkliste für das Nachweisverfahren nach §§ 10 und 11 zur Erfüllung von Prozessanforderungen nach Maßgabe der §§ 2 bis 6 ... 16

Anhang 4 Checkliste für das Nachweisverfahren nach § 12 zur Erfüllung von Anforderungen nach Maßgabe der §§ 7 bis 9 (Nachsorge) ... 19

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

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) [1]Hämophilie im Sinne von Absatz 1 sind die genetisch bedingten Erkrankungen Hämophilie A und Hämophilie B (D66 und D67 nach ICD-10-GM-2024), 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. [2]ATMP 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. [3]Der Anhang 1 enthält eine Übersicht für Codes von Diagnosen.

(3) 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 ≥ 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-2024 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 und mindestens eine weitere Ärztin oder ein weiterer Arzt 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 für Transfusionsmedizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie sein.

(2) [1]Ergänzend 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 Fachdisziplin Innere Medizin und Gastroenterologie zur Diagnostik und Behandlung von Lebererkrankungen

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

sicherzustellen. [2]Die Verfügbarkeit der Fachdisziplin ist durch die Behandlungseinrichtung oder nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 Satz 2 i.V.m. § 3 Absatz 5 des Allgemeinen Teils durch Kooperationen zu gewährleisten. [3]Für jede kooperierende Einrichtung ist eine Ansprechpartnerin oder ein Ansprechpartner zu benennen.

§ 4 Anforderungen an die Indikationsstellung für die Durchführung der Therapie

(1) [1]Grundsätzliche Voraussetzung für die Indikationsstellung ist die Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen des Gentherapeutikums in der Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt. [2]Hierzu müssen die Ergebnisse einer mit einem validierten Verfahren durchgeführten molekulargenetischen Diagnostik der Hämophilie sowie die Ausgangswerte der Laborparameter Alanin-Aminotransferase (ALT), Aspartat-Aminotransferase (AST) und Kreatinphosphokinase (CPK) vorliegen. [3]Die Einhaltung der Anforderung ist durch die Dokumentation des Ergebnisses in der Patientenakte nachzuweisen. [4]Im Übrigen bleiben die einzuhaltenden Anforderungen der amtlichen Fachinformation unberührt.

(2) [1]Die 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. [2]Soweit es sich um Patientinnen und Patienten mit vorbestehenden Infektionen mit HIV handelt, ist eine Fachärztin oder ein Facharzt für Innere Medizin und Infektiologie oder ein Facharzt oder eine Fachärztin mit der Zusatzweiterbildung Infektiologie oder Immunologie oder eine Ärztin oder ein Arzt mit einer Genehmigung nach der Qualitätssicherungsvereinbarung zur spezialisierten Versorgung von Patienten mit HIV-Infektion/AIDS-Erkrankung hinzuzuziehen. [3]Datum, eingebundene Ärztinnen oder Ärzte und Beratungsergebnis sind durch die Dokumentation in der Patientenakte nachzuweisen.

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

(1) [1]Die Aufklärung der Patientinnen oder Patienten muss vor Anwendung des ATMP erfolgen. [2]Die 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.

§ 6 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation zur Durchführung der Therapie

(1) [1]In der Behandlungseinrichtung, in der Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, müssen spezifische Standard Operating

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

Procedures (SOP) für die klinische, apparative und laborchemische Überwachung zur Früherkennung von und den Umgang mit Komplikationen vorhanden sein. [2]Die SOP nach Satz 1 müssen Vorgaben zur Verfügbarkeit von Faktorkonzentraten zur Notfallbehandlung enthalten.

(2) In 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) [1]Die 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. [2]Entsprechende Vorgaben sind in der SOP nach Absatz 2 zu treffen.

§ 7 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 § 6 Absatz 2 statt.

(2) [1]Die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum ist bis mindestens fünfzehn Jahre nach Durchführung der Therapie nach Maßgabe der personellen, fachlichen und strukturellen Anforderungen gemäß §§ 7 bis 9 zu gewährleisten. [2]Die Nachsorge hat durch regelmäßige Einbestellung des Patienten oder der Patientin zu erfolgen. [3]Bei jeder Vorstellung sind der jeweilige Gerinnungsfaktor sowie Laborwerte zur Überprüfung der Leberfunktion (Alaninaminotransferase (ALT), Aspartataminotransferase (AST) und Kreatinphosphokinase (CPK)) zu bestimmen. [4]Darüber hinaus muss in der Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt:

1. eine werktägliche Erhebung der Faktoraktivität sowie der Laborwerte zur Überprüfung der Leberfunktion,
2. die Verfügbarkeit der Ergebnisse nach Nummer 1 innerhalb von 24 Stunden und

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

3. die Interpretation von Laborwerten und die Übermittlung von Therapieempfehlungen an die Patientin bzw. den Patienten,

möglich sein. [5]Die Ergebnisse nach Satz 3 und 4 sind durch die Dokumentation in der Patientenakte nachzuweisen. [6]Im Übrigen bleiben die einzuhaltenden Anforderungen der amtlichen Fachinformation unberührt.

(3) [1]Die 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, innerhalb von zwei Werktagen über die Ergebnisse von Untersuchungen im Rahmen der Nachsorge. [2]Es kann eine Rücksprache mit der Behandlungseinrichtung erfolgen, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie erfolgt ist. [3]Zur Regelung nach Satz 1 muss eine spezifische SOP vorliegen.

§ 8 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.

§ 9 Anforderungen an das Personal in der Nachsorge

In 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.

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft

b. Besondere Bestimmungen

§ 10 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 § 2, § 3 Absatz 1 und Absatz 2 Satz 1, § 4 Absatz 1 Satz 2 und Absatz 2 Satz 1 und 2, § 5 Absatz 1 Satz 1, § 6 handelt es sich um Mindestanforderungen.

(2) [1]Aufgrund einer Anzeige nach § 10 Absatz 3 oder Absatz 5 Satz 5 beziehungsweise einer Anzeige und einem Antrag nach § 16 Absatz 4 oder Absatz 6 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie hat der Leistungserbringer die für den Nachweis der Erfüllung der Mindestanforderungen erforderlichen einrichtungs- und personenbezogenen Daten gemäß § 10 Absatz 5 beziehungsweise § 16 Absatz 2 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie anhand des Vordrucks der Checkliste nach Anhang 2 Teil 1 zu übermitteln. [2]Die SOP gemäß § 6 sind stets vorzulegen. [3]Aufgrund einer Anzeige nach § 10 Absatz 5 Satz 5 beziehungsweise § 16 Absatz 6 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie ist darüber hinaus auch Anhang 3 Teil 1 vorzulegen.

(3) Abweichend von § 43 Absatz 1 Abschnitt 4 Unterabschnitt 2 Teil B MD-QK-RL beziehungsweise § 16a Absatz 2 Satz 1 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie können die Kontrollen oder Prüfungen nach pflichtgemäßem Ermessen der zuständigen Stelle im schriftlichen Verfahren nach Aktenlage erfolgen.

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

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

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

(1) Bei den die Behandlungseinrichtungen betreffenden Qualitätsanforderungen in § 7 Absatz 1 in Verbindung mit Absatz 2 Satz 1 bis 4 und Absatz 3 Satz 1 und 3, § 8 und § 9 handelt es sich um Mindestanforderungen im Rahmen der Nachsorge der ATMP-Therapie.

(2) [1]Mit der Anzeige nach § 16 Absatz 1 Satz 1 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie hat der Leistungserbringer die für den Nachweis der Erfüllung der Mindestanforderungen erforderlichen einrichtungs- und personenbezogenen Daten anhand des Vordrucks der Checkliste nach Anhang 4 Teil 1 zu übermitteln. [2]Die Anzeige- und Nachweisverpflichtung gegenüber der zuständigen Stelle besteht für Behandlungseinrichtungen für den nach § 7 Absatz 2 vorgesehenen Versorgungszeitraum der Nachsorge von mindestens 15 Jahren.

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft

§ 13 Übergangsregelung

[1]Aufgrund § 20 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie müssen Leistungserbringer bzw. Behandlungseinrichtungen, die bereits vor dem 26. März 2024 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 § 10 Absatz 1, 11 und 12 Absatz 1 bis zum 26. September 2024 erbringen. [2]§ 10 Absatz 2 gilt mit der Maßgabe, dass auch Nachweise gemäß Anhang 3 Teil 1 zu übermitteln sind.

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

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

ICD-10-GM 2024	
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

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

Anhang 1a Übersicht Operationen und Prozeduren (OPS) und GOP gemäß EBM

Die folgenden Aufzählungen der OPS-Codes und GOP haben informativen Charakter. Sie sind bezogen auf den angegebenen Stand, nicht abschließend und geben eine Orientierung für den Anwendungsbereich der Anlage IV ohne Anspruch auf Vollständigkeit.

OPS Version 2024	
6-00j	Applikation von Medikamenten, Liste 18
6-00j.1	Etranacogen dezaparvovec, parenteral
6-00k	Applikation von Medikamenten, Liste 19
6-00k.b	Valoctocogen roxaparvovec, parenteral

Gebührenordnungsposition (GOP) gemäß Einheitlichem Bewertungsmaßstab (EBM) mit Stand vom 1. Oktober 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

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

Anhang 2 Checkliste für das Nachweisverfahren nach §§ 10 und 11 zur Erfüllung von Anforderungen nach Maßgabe §§ 2 bis 6

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

Selbstauskunft des Leistungserbringers:

Der Leistungserbringer _____ in _____

erfüllt die Mindestanforderungen zur Anwendung eines Gentherapeutikums 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	≥ 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.	❍ ja ❍ nein **oder Dokumentiert durch Meldung im Deutschen Hämophilie Register** ❍ ja ❍ 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	❍ ja ❍ nein
					ODER	
					Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin und	❍ ja ❍ nein

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

					Hämatologie und Onkologie mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	
					ODER	
					Fachärztin oder Facharzt für Transfusionsmedizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	❍ ja ❍ nein
.2	weitere Ärztin/ weiterer Arzt				Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	❍ ja ❍ nein
					ODER	
					Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	❍ ja ❍ nein
					ODER	
					Fachärztin oder Facharzt für Transfusionsmedizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	❍ ja ❍ nein

.3	Die Verfügbarkeit der Fachdisziplin Innere Medizin und Gastroenterologie zur Diagnostik und Behandlung von Lebererkrankungen ist sichergestellt.	❍ ja ❍ nein	Sicherstellung erfolgt durch Kooperationspartner[1] ❍

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

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

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

2.3 Mindestanforderungen an Infrastruktur und Organisation nach § 6

SOP zur Überwachung und Früherkennung von Komplikationen		
.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 enthalten.	❍ ja ❍ nein
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 § 6 Absatz 2 und 3 erfüllt.	❍ ja ❍ nein

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

Art der Anforderung	Begründung der Nichterfüllung	Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

2.4 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 3 Ergänzende Checkliste für das Nachweisverfahren nach §§ 10 und 11 zur Erfüllung von Prozessanforderungen nach Maßgabe der §§ 2 bis 6

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

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.

3.1 Mindestanforderungen an die Indikationsstellung für die ATMP-Anwendung nach § 4

.1	Eine molekulargenetische Diagnostik der Hämophilie liegt vor, wurde mit einem validierten Verfahren durchgeführt und in der Patientenakte dokumentiert.	❍ ja ❍ nein
.2	Die Ausgangswerte der Laborparameter Alanin-Aminotransferase (ALT), Aspartat-Aminotransferase (AST), Kreatin-phosphokinase (CPK) liegen vor und werden in der Patientenakte dokumentiert.	❍ ja ❍ nein
.3	Die Entscheidung für die Therapie ist durch die Fachärztinnen und Fachärzte gemäß § 3 Absatz 1 unter Berücksichtigung der Befunde nach § 4 Absatz 1 erfolgt. Entsprechende Angaben gemäß § 4 Absatz 2 Satz 3 werden in der Patientenakte dokumentiert.	❍ ja ❍ nein
.4	Bei Patientinnen und Patienten mit vorbestehenden Infektionen mit HIV wurde ein Facharzt oder eine Fachärztin für Innere Medizin und Infektiologie oder ein Facharzt oder eine Fachärztin mit der Zusatzweiterbildung Infektiologie oder Immunologie oder eine Ärztin oder ein Arzt mit einer Genehmigung nach der Qualitätssicherungsvereinbarung zur spezialisierten Versorgung von Patienten mit HIV-Infektion/AIDS-Erkrankung hinzugezogen.	❍ ja ❍ nein

3.2 Mindestanforderungen an die Aufklärung der Patientinnen und Patienten nach § 5 Absatz 1

	Die Aufklärung der Patientinnen oder Patienten erfolgt vor Anwendung des ATMP.	❍ ja ❍ nein

3.3 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

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

3.4 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 4 Checkliste für das Nachweisverfahren nach § 12 zur Erfüllung von Anforderungen nach Maßgabe der §§ 7 bis 9 (Nachsorge)

Selbstauskunft des Leistungserbringers:

Der Leistungserbringer _____ in _____

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

Institutionskennzeichen und Standortnummer _____

oder

BSNR _____

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

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

4.1 Mindestanforderungen an Infrastruktur und Organisation der Nachsorge nach § 7

.1	Es wird sichergestellt, dass die Nachsorge durch regelmäßige Einbestellung des Patienten oder der Patientin innerhalb des Zeitraums nach § 7 Absatz 2 Satz 1 erfolgt.	❍ ja ❍ nein
.2	Bei jeder Vorstellung wird sichergestellt, dass eine Bestimmung der jeweilige Gerinnungsfaktor sowie Laborwerte zur Überprüfung der Leberfunktion (Alaninaminotransferase (ALT), Aspartataminotransferase (AST) und Kreatinphosphokinase (CPK)) erfolgt und in der Patientenakte dokumentiert wird.	❍ ja ❍ nein
.3	Es ist sichergestellt, dass a. eine werktägliche 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 ist.	❍ ja ❍ nein
.4	Es ist sichergestellt, dass die Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, die Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und Durchführung der Therapie der jeweiligen Patientin bzw. des jeweiligen Patienten stattgefunden hat, innerhalb von zwei Werktagen über die die Ergebnisse von Untersuchungen im Rahmen der Nachsorge informiert.	❍ ja ❍ nein

4.2 Mindestanforderungen an die Erfahrung der Behandlungseinrichtung zur Nachsorge nach § 8

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.	❍ ja ❍ nein **oder Dokumentiert durch Meldung im Deutschen Hämophilie Register** ❍ ja ❍ nein
	Anzahl der Patientinnen und Patienten:	_____

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

4.3 Mindestanforderungen an das Personal in der Nachsorge nach § 9

	Funktion	Titel	Name	Vorname		
	verantwortliche Ärztin/ verantwortlicher Arzt				Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	❍ ja ❍ nein
					ODER	
					Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	❍ ja ❍ nein
					ODER	
					Fachärztin oder Facharzt für Transfusionsmedizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie	❍ ja ❍ 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

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.

4.5 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

Diese Anlagen-Version ist nicht mehr in Kraft.