Medizinischer Dienst

Arztfragebogen zur Therapie mit Onasemnogen abeparvovec

Stand: 04.10.2026

Bitte füllen Sie diesen Fragebogen gut leserlich aus. Weitere Ausführungen können auf einem Beiblatt angefügt werden. Wir danken Ihnen für Ihre Mithilfe.

a) Angaben zur versicherten Person

_____
Vorname

_____
Nachname

_____._____._____
Geburtsdatum (TT.MM.JJJJ)

_____
Versichertennummer

Geschlecht (aus Gründen der Vollständigkeit)

☐ weiblich

☐ männlich

☐ divers

b) Angaben zur Behandlung

_____
Name der Behandlungseinrichtung

_____
Name der Vertragsärztin/des Vertragsarztes

_____
Gebietsbezeichnung/Zusatzbezeichnung

1. Welches Onasemnogen-abeparvovec-haltige Arzneimittel soll eingesetzt werden?

☐ Zolgensma

☐ Itvisma

2. Erfolgt die Verordnung innerhalb des in der Fachinformation definierten Anwendungsgebietes?

A) Anwendung von Zolgensma

(„Zolgensma ist indiziert zur Behandlung von:
- Patienten mit 5q-assoziierter spinaler Muskelatrophie (SMA) mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und einer klinisch diagnostizierten Typ-1-SMA, oder
- Patienten mit 5q-assoziierter SMA mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und bis zu 3 Kopien des SMN2-Gens.“)

☐ ja

☐ nein, bitte begründen

_____

_____

_____

_____

B) Anwendung von Itvisma

(„Itvisma ist zur Behandlung der 5q-Spinalmuskelatrophie (SMA) mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen bei Patienten ab 2 Jahren indiziert.“)

☐ ja

☐ nein, bitte begründen

_____

_____

_____

_____

2. Wurde eine biallelische Mutation des *SMN1*-Gens nachgewiesen?

☐ ja

☐ nein, anderes

_____

_____

_____

3. Wie viele Kopien des *SMN2*-Gens wurden nachgewiesen? (nur Zolgensma)

☐ 1

☐ 2

☐ 3

☐ > 3

☐ nicht bestimmt

4. Wurde die Diagnose einer SMA <u>präsymptomatisch</u> gestellt?

☐ nein

☐ ja, aber jetzt symptomatisch

☐ ja, weiterhin symptomfrei (weiter bei Frage 11)

5. In welchem Alter traten die ersten Symptome der Erkrankung auf?

☐ 0 bis 2 Jahre

☐ 2 bis 18 Jahre

☐ > 18 Jahre

6. Was war die bestmögliche motorische Funktion bei Diagnosestellung?

☐ keine Kopfkontrolle

☐ Kopfkontrolle

☐ freies Sitzen

☐ gehfähig

7. Welche bestmögliche motorische Funktion wurde jemals erreicht?

☐ keine Kopfkontrolle

☐ Kopfkontrolle

☐ freies Sitzen

☐ gehfähig

8. Was ist aktuell die bestmögliche motorische Funktion?

☐ keine Kopfkontrolle

☐ Kopfkontrolle

☐ freies Sitzen

☐ gehfähig

9. Ist aktuell eine Atemunterstützung erforderlich?

☐ keine Atemunterstützung

☐ NIV < 16 h/d

☐ NIV > 16 h/d

☐ Tracheostoma

10. Ist aktuell eine Sondenernährung erforderlich?

☐ ja, seit _____

☐ nein

11. Wurde bereits eine spezifische Therapie für SMA durchgeführt?

☐ ja, Wirkstoff _____, seit _____

☐ nein

Falls ja, wie war der Verlauf unter der Therapie?

_____

_____

_____

_____

Falls ja, warum ist ein Therapiewechsel notwendig?

_____

_____

_____

_____

12. Ist eine kombinierte Therapie mit einem anderen gegen SMA gerichteten Medikament geplant?

☐ ja, Wirkstoff _____

☐ nein

Falls ja, warum?

_____

_____

_____

_____

13. Was ist das aktuelle Körpergewicht der/des Versicherten?

Körpergewicht in Kilogramm _____, gemessen am _____

14. Wurde bereits eine AAV-Antikörper-Testung durchgeführt?

☐ ja, folgender Titer _____, Datum _____

☐ nein

15. Welche Argumente sprechen bei einer Nutzen-Risiko-Abwägung der Therapieoptionen für Onasemnogen abeparvovec?

_____

_____

_____

_____

16. Gibt es Hinweise aus der Ausgangslaboruntersuchung (siehe Fachinformation Punkt 4.2), die gegen eine Gentherapie sprechen?

☐ ja

☐ nein

Falls ja, welche:

_____

_____

_____

_____

17. Verfügen Sie über eine Bescheinigung über das Kontrollergebnis des Medizinischen Dienstes gemäß § 11 Abs. 1 ATMP-QS-RL?

☐ ja

☐ nein, bitte begründen

_____

_____

_____

_____

Ort, Datum

Stempel, Unterschrift

Bitte diese Angaben ergänzen, falls diese aus Ihrem Stempel nicht hervorgehen:

LANR

BSNR

Bitte fügen Sie folgende Unterlagen diesem Fragebogen bei:

1. **Aktueller neuropädiatrischer/neurologischer Befundbericht**
2. **Kopie des genetischen Befundes**

Folgende Anlagen wurden beigefügt

a) Aktueller neuropädiatrischer/neurologischer Befundbericht

☐ ja

☐ nein

b) Kopie des genetischen Befundes

☐ ja

☐ nein

c) Kopie der Bescheinigung des Medizinischen Dienstes gemäß § 11 Abs. 1 ATMP-QS-RL

☐ ja

☐ nein

d) Arztbriefe/Krankenhausentlassungsberichte

☐ ja

☐ nein

e) Sonstiges

_____

_____

_____

_____

_____

_____