Arztfragebogen zur Therapie mit Onasemnogen abeparvovec (Zolgensma)

Stand: 01.12.2022

Versichertenname: \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

Versichertennummer: \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

Geburtsdatum: \_\_\_\_.\_\_\_\_.\_\_\_\_\_\_\_\_\_ (TT.MM.JJJJ)

Geschlecht:  weiblich  männlich

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

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, mit Begründung:

\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

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

ja  nein, anderes

\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

**3. Wie viele Kopien des *SMN2*-Gens wurden nachgewiesen?**

1  2  3  >3  nicht bestimmt

**4. Wurde die Diagnose einer SMA präsymptomatisch gestellt?**

nein  ja, aber jetzt symptomatisch  ja, weiterhin symptomfrei (weiter bei Frage 11)

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

bei Geburt  < 6 Mon  7-18 Mon  19 Mon-3 J  3-18 J  > 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 des/der Versicherten?**

Körpergewicht in Kilogramm: \_\_\_\_\_\_\_\_ gemessen am: \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

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

ja, folgender Titer: \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_  nein

Datum: \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

**15. Welche Argumente sprechen bei einer Nutzen-Risiko-Abwägung der Therapieoptionen für Zolgensma?**

\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

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

nein  ja, welche:

\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

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

ja  nein  derzeit geltende Übergangsbestimmung

\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_  
Name und Stempel der Behandlungseinrichtung

Datum \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_ \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_  
Stempel und Unterschrift der Ärztin/des Arztes

**Bitte fügen Sie folgende Unterlagen diesem Fragebogen bei:**

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

**Folgende Anlagen wurden beigefügt**

Aktueller neuropädiatrischer Befundbericht  ja  nein

Kopie des genetischen Befundes  ja  nein

Kopie der Bescheinigung des Medizinischen Dienstes

gemäß § 11 Abs. 1 ATMP-QS-RL  ja  nein

Arztbriefe/Krankenhausentlassungsberichte  ja  nein

Sonstiges \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_