

Arztfragebogen zur Therapie mit Onasemnogen abeparvovec (Zolgensma) (Stand: 01.12.2022)

Bitte füllen Sie diesen Fragebogen gut leserlich aus. Weitere Ausführungen können auf einem Beiblatt angefügt werden.

Versichertenname: _____

Versichertennummer: _____

Geburtsdatum: _____

Geschlecht: weiblich männlich

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

(„Zolgensma ist indiziert zur Behandlung von:

- Patienten mit 5q-assoziiertes spinaler Muskelatrophie (SMA) mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und einer klinisch diagnostizierten Typ-1-SMA, oder
- Patienten mit 5q-assoziiertes SMA mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und bis zu 3 Kopien des SMN2-Gens.“)

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?

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 beigelegt

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 _____
