

## Arztfragebogen zur Therapie mit Onasemnogen abeparvovec (Zolgensma) (Stand: 30.09.2022)

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?**

Wirkstoff: \_\_\_\_\_

ja, 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?**

Wirkstoff: \_\_\_\_\_

ja                                       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. 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**
- 3. Laborchemische Untersuchung, insbesondere mit großem Blutbild, Untersuchung der Leberfunktion (ALT, AST, Gesamt-Bilirubin) und Angaben zum Kreatinin- und Troponin I-Wert**

**Folgende Anlagen wurden beigelegt**

Aktueller neuropädiatrischer Befundbericht  ja  nein

Kopie des genetischen Befundes  ja  nein

Kopie der Bescheinigung des Medizinischen Dienstes  ja  nein

gemäß § 11 Abs. 1 ATMP-QS-RL *oder*

Arztbriefe/Krankenhausentlassungsberichte  ja  nein

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