

Arztfragebogen zur Therapie mit Onasemnogen abeparvovec (Zolgensma) (Stand: 19.02.2025)

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-assoziiierter spinaler Muskelatrophie (SMA) mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und einer klinisch diagnostizierten Typ-1-SMA, oder
- Patienten mit 5q-assoziiierter 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

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
