**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-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

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

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

**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 Unterschriftder 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 \_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_\_

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