



**Gemeinsamer
Bundesausschuss**

Anlage IV

der Richtlinie zu Anforderungen an die Qualität der
Anwendung von Arzneimitteln für neuartige Therapien
gemäß § 136a Absatz 5 SGB V
(ATMP-Qualitätssicherungs-Richtlinie/ATMP-QS-RL)

Gentherapeutika bei Hämophilie

Inhalt

| | | |
|------------------|--|-----------|
| a. | Qualitätsanforderungen..... | 3 |
| § 1 | Gegenstand | 3 |
| § 2 | Anforderungen an die Erfahrung in der Behandlungseinrichtung zur Durchführung der Therapie | 3 |
| § 3 | Anforderungen an das ärztliche Personal zur Durchführung der Therapie | 3 |
| § 4 | Anforderungen an die Indikationsstellung für die Durchführung der Therapie... 4 | 4 |
| § 5 | Anforderungen an die Aufklärung der Patientinnen und Patienten zur Durchführung der Therapie | 4 |
| § 6 | Anforderungen an Infrastruktur und Organisation zur Durchführung der Therapie | 4 |
| § 7 | Anforderungen an Infrastruktur und Organisation der Nachsorge..... | 5 |
| § 8 | Anforderungen an die Erfahrung in der Behandlungseinrichtung zur Nachsorge | 6 |
| § 9 | Anforderungen an das Personal in der Nachsorge | 6 |
| b. | Besondere Bestimmungen | 7 |
| § 10 | Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für zugelassene Krankenhäuser und zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassene oder ermächtigte Leistungserbringer | 7 |
| § 11 | Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für Leistungen durch Hochschulambulanzen oder nachstationäre Versorgung nach § 115a SGB V | 7 |
| § 12 | Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen an die nachsorgende Behandlungseinrichtung | 7 |
| § 13 | Übergangsregelung | 8 |
| Anhang 1 | Übersicht zu Kodierungen von Diagnosen (ICD-10-GM)..... | 9 |
| Anhang 1a | Übersicht Operationen und Prozeduren (OPS) und GOP gemäß EBM | 10 |
| Anhang 2 | Checkliste für das Nachweisverfahren nach §§ 10 und 11 zur Erfüllung von Anforderungen nach Maßgabe §§ 2 bis 6 | 11 |
| Anhang 3 | Ergänzende Checkliste für das Nachweisverfahren nach §§ 10 und 11 zur Erfüllung von Prozessanforderungen nach Maßgabe der §§ 2 bis 6..... | 16 |
| Anhang 4 | Checkliste für das Nachweisverfahren nach § 12 zur Erfüllung von Anforderungen nach Maßgabe der §§ 7 bis 9 (Nachsorge)..... | 19 |

a. Qualitätsanforderungen

§ 1 Gegenstand

- (1) In dieser Anlage werden auf Grundlage des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie (Abschnitt I.) Anforderungen an die Qualität bei der Versorgung von Patientinnen und Patienten mit Arzneimitteln für neuartige Therapien (ATMP) aus der Gruppe der Gentherapeutika zur Behandlung der Hämophilie festgelegt.
- (2) ¹Hämophilie im Sinne von Absatz 1 sind die genetisch bedingten Erkrankungen Hämophilie A und Hämophilie B (D66 und D67 nach ICD-10-GM-2024), welche mit einem X-chromosomal-rezessiven erblichen Gerinnungsdefekt aufgrund eines Mangels des Faktor VIII (Hämophilie A) oder eines Mangels des Faktors IX (Hämophilie B) einhergehen. ²ATMP im Sinne von Absatz 1 aus der Gruppe der Gentherapeutika bei Hämophilie sind rekombinante Adeno-assoziierte Virusvektor-basierte Gentherapien, die eine Kopie des Gens liefern, das für den humanen Faktor VIII bzw. Faktor IX kodiert. ³Der Anhang 1 enthält eine Übersicht für Codes von Diagnosen.
- (3) Die Anforderungen aus dem Gesetz zur Regelung des Transfusionswesens (Transfusionsgesetz - TFG), beispielsweise der Registermeldung, bleiben unberührt.

§ 2 Anforderungen an die Erfahrung in der Behandlungseinrichtung zur Durchführung der Therapie

Eine Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, muss über Erfahrungen in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit hereditären oder erworbenen Faktormangelzuständen und sonstigen Koagulopathien verfügen, dokumentiert durch \geq 30 Patientinnen und Patienten innerhalb des letzten Kalenderjahres, das der Arzneimittelanwendung vorausgegangen ist, mit schwerer Hämophilie mit dieser Diagnose (D66, D67, D68.00, D68.01, D68.09 nach ICD-10-GM-2023 beziehungsweise der im Bezugszeitraum jeweils geltenden Fassung) oder über die Meldung der Behandlung an das Deutsche Hämophilie Register.

§ 3 Anforderungen an das ärztliche Personal zur Durchführung der Therapie

- (1) In der Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, müssen die für die Anwendung des Gentherapeutikum verantwortliche Ärztin oder der verantwortliche Arzt und mindestens eine weitere Ärztin oder ein weiterer Arzt Fachärztinnen oder Fachärzte für Innere Medizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie oder Fachärztinnen oder Fachärzte für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie oder Fachärztinnen oder Fachärzte Transfusionsmedizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie sein.
- (2) ¹Ergänzend zu den Anforderungen nach Absatz 1 sind in der Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, die Verfügbarkeit der Fachdisziplin Innere Medizin und Gastroenterologie zur Diagnostik und Behandlung von Lebererkrankungen

sicherzustellen. ²Die Verfügbarkeit der Fachdisziplin ist durch die Behandlungseinrichtung oder nach Maßgabe des § 2 Absatz 2 Satz 2 i.V.m. § 3 Absatz 5 des Allgemeinen Teils durch Kooperationen zu gewährleisten. ³Für jede kooperierende Einrichtung ist eine Ansprechpartnerin oder ein Ansprechpartner zu benennen.

§ 4 Anforderungen an die Indikationsstellung für die Durchführung der Therapie

- (1) ¹Grundsätzliche Voraussetzung für die Indikationsstellung ist die Feststellung der Anwendungsvoraussetzungen des Gentherapeutikums in der Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt. ²Hierzu müssen die Ergebnisse einer mit einem validierten Verfahren durchgeführten molekulargenetischen Diagnostik der Hämophilie sowie die Ausgangswerte der Laborparameter Alanin-Aminotransferase (ALT), Aspartat-Aminotransferase (AST) und Kreatinphosphokinase (CPK) vorliegen. ³Die Einhaltung der Anforderung ist durch die Dokumentation des Ergebnisses in der Patientenakte nachzuweisen. ⁴Im Übrigen bleiben die einzuhaltenden Anforderungen der amtlichen Fachinformation unberührt.
- (2) ¹Die Entscheidung für die Therapie mit einem Gentherapeutikum muss durch Fachärztinnen oder Fachärzte, welche die Anforderungen nach § 3 Absatz 1 erfüllen, und unter Berücksichtigung der Befunde gemäß Absatz 1 erfolgen. ²Soweit es sich um Patientinnen und Patienten mit vorbestehenden Infektionen mit HIV handelt, ist eine Fachärztin oder ein Facharzt für Innere Medizin und Infektiologie oder ein Facharzt oder eine Fachärztin mit der Zusatzweiterbildung Infektiologie oder Immunologie oder eine Ärztin oder ein Arzt mit einer Genehmigung nach der Qualitätssicherungsvereinbarung zur spezialisierten Versorgung von Patienten mit HIV-Infektion/AIDS-Erkrankung hinzuzuziehen. ³Datum, eingebundene Ärztinnen oder Ärzte und Beratungsergebnis sind durch die Dokumentation in der Patientenakte nachzuweisen.

§ 5 Anforderungen an die Aufklärung der Patientinnen und Patienten zur Durchführung der Therapie

- (1) ¹Die Aufklärung der Patientinnen oder Patienten muss vor Anwendung des ATMP erfolgen. ²Die Durchführung der Aufklärung ist durch die Dokumentation in der Patientenakte nachzuweisen.
- (2) Die Aufklärung soll insbesondere folgende Aspekte umfassen:
 1. Mögliche verfügbare therapeutische Alternativen im Hinblick auf die Auswahl der Behandlungsoptionen, deren möglichen Nutzen und Risiken und den zeitlichen Ablauf der geplanten Untersuchungen, sowie
 2. die Aufklärung über den weiteren Ablauf der Behandlung und den Nachsorgeprozess mit einer gegebenenfalls notwendigen, engmaschigen Kontrolle.

§ 6 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation zur Durchführung der Therapie

- (1) ¹In der Behandlungseinrichtung, in der Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, müssen spezifische Standard Operating

Procedures (SOP) für die klinische, apparative und laborchemische Überwachung zur Früherkennung von und den Umgang mit Komplikationen vorhanden sein.²Die SOP nach Satz 1 müssen Vorgaben zur Verfügbarkeit von Faktorkonzentraten zur Notfallbehandlung enthalten.

(2) In der Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie im Sinne dieser Anlage erfolgt, muss eine spezifische SOP für die Übergänge zwischen der Behandlung mit und der Nachsorge von einer Anwendung eines Gentherapeutikums bei Hämophilie vorhanden sein, die mindestens die folgenden Punkte beinhaltet:

1. Vorgaben zur Zusammenarbeit mit den nachbehandelnden Behandlungseinrichtungen beziehungsweise Ärztinnen und Ärzten,
2. die Verpflichtung zur Erstellung und Übermittlung eines patientenbezogenen Nachsorgeplans,
3. Angaben, in welchen Zeiträumen eine Wiedervorstellung der Patientin bzw. des Patienten in der Behandlungseinrichtung erfolgen soll, und
4. Angaben, welche Symptome oder Komplikationen Anlass zur unmittelbaren Vorstellung in einer zur Durchführung der Therapie mit Gentherapeutika bei Hämophilie qualifizierten Behandlungseinrichtung geben.

(3) ¹Die Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, muss für eine Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, für Rückfragen erreichbar sein, insbesondere zur Rücksprache bei Einleitung oder Anpassung einer immunsupprimierenden Therapie. ²Entsprechende Vorgaben sind in der SOP nach Absatz 2 zu treffen.

§ 7 Anforderungen an Infrastruktur und Organisation der Nachsorge

(1) Die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum findet nach Maßgabe der folgenden Regelungen unter Berücksichtigung der SOP nach § 6 Absatz 2 statt.

(2) ¹Die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum ist bis mindestens fünfzehn Jahre nach Durchführung der Therapie nach Maßgabe der personellen, fachlichen und strukturellen Anforderungen gemäß §§ 7 bis 9 zu gewährleisten. ²Die Nachsorge hat durch regelmäßige Einbestellung des Patienten oder der Patientin zu erfolgen. ³Bei jeder Vorstellung sind der jeweilige Gerinnungsfaktor sowie Laborwerte zur Überprüfung der Leberfunktion (Alaninaminotransferase (ALT), Aspartataminotransferase (AST) und Kreatinphosphokinase (CPK)) zu bestimmen. ⁴Darüber hinaus muss in der Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt:

1. eine werktäglichen Erhebung der Faktoraktivität sowie der Laborwerte zur Überprüfung der Leberfunktion,
2. die Verfügbarkeit der Ergebnisse nach Nummer 1 innerhalb von 24 Stunden und

3. die Interpretation von Laborwerten und die Übermittlung von Therapieempfehlungen an die Patientin bzw. den Patienten,

möglich sein. ⁵Die Ergebnisse nach Satz 3 und 4 sind durch die Dokumentation in der Patientenakte nachzuweisen. ⁶Im Übrigen bleiben die einzuhaltenden Anforderungen der amtlichen Fachinformation unberührt.

- (3) ¹Die Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, informiert die Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und Durchführung der Therapie der jeweiligen Patientin bzw. des jeweiligen Patienten stattgefunden hat, innerhalb von zwei Werktagen über die Ergebnisse von Untersuchungen im Rahmen der Nachsorge. ²Es kann eine Rücksprache mit der Behandlungseinrichtung erfolgen, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie erfolgt ist. ³Zur Regelung nach Satz 1 muss eine spezifische SOP vorliegen.

§ 8 Anforderungen an die Erfahrung in der Behandlungseinrichtung zur Nachsorge

Eine Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, muss über Erfahrungen in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit hereditären oder erworbenen Faktormangelzuständen und sonstigen Koagulopathien verfügen, dokumentiert durch ≥ 10 Patientinnen und Patienten innerhalb des letzten Kalenderjahres, das der Arzneimittelanwendung vorausgegangen ist, mit schwerer Hämophilie mit dieser Diagnose (D66, D67, D68.00, D68.01, D68.09 nach ICD-10-GM-2023 beziehungsweise der im Bezugszeitraum jeweils geltenden Fassung) oder über die Meldung der Behandlung an das Deutsche Hämophilie Register.

§ 9 Anforderungen an das Personal in der Nachsorge

In der Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, müssen die für die Nachsorge verantwortliche Ärztin oder der verantwortliche Arzt Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie oder Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie oder Fachärztin oder Facharzt für Transfusionsmedizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie sein.

b. Besondere Bestimmungen

§ 10 Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für zugelassene Krankenhäuser und zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassene oder ermächtigte Leistungserbringer

- (1) Bei den die Behandlungseinrichtungen betreffenden Qualitätsanforderungen in § 2, § 3 Absatz 1 und Absatz 2 Satz 1, § 4 Absatz 1 Satz 2 und Absatz 2 Satz 1 und 2, § 5 Absatz 1 Satz 1, § 6 handelt es sich um Mindestanforderungen.
- (2) ¹Aufgrund einer Anzeige nach § 10 Absatz 3 oder Absatz 5 Satz 5 beziehungsweise einer Anzeige und einem Antrag nach § 16 Absatz 4 oder Absatz 6 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie hat der Leistungserbringer die für den Nachweis der Erfüllung der Mindestanforderungen erforderlichen einrichtungs- und personenbezogenen Daten gemäß § 10 Absatz 5 beziehungsweise § 16 Absatz 2 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie anhand des Vordrucks der Checkliste nach Anhang 2 Teil 1 zu übermitteln. ²Die SOP gemäß § 6 sind stets vorzulegen. ³Aufgrund einer Anzeige nach § 10 Absatz 5 Satz 5 beziehungsweise § 16 Absatz 6 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie ist darüber hinaus auch Anhang 3 Teil 1 vorzulegen.
- (3) Abweichend von § 43 Absatz 1 Abschnitt 4 Unterabschnitt 2 Teil B MD-QK-RL beziehungsweise § 16a Absatz 2 Satz 1 können die Kontrollen oder Prüfungen nach pflichtgemäßem Ermessen der zuständigen Stelle im schriftlichen Verfahren nach Aktenlage erfolgen.

§ 11 Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen für Leistungen durch Hochschulambulanzen oder nachstationäre Versorgung nach § 115a SGB V

¹Die Anzeige- und Nachweisverpflichtung nach § 15 i.V.m. §§ 10 und 12 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie besteht für Behandlungseinrichtungen, die als Hochschulambulanzen Leistungen im Rahmen der nachstationären Versorgung im Krankenhaus erbringen. ²Der Medizinische Dienst führt Kontrollen zur Einhaltung der Mindestanforderungen nach § 10 Absatz 1 durch. ³§ 10 Absatz 1 findet entsprechende Anwendung mit der Maßgabe, dass der Vordruck der Checkliste nach § 12 Absatz 2 zu verwenden ist.

§ 12 Besondere Bestimmungen zur Einhaltung von Qualitätsanforderungen an die nachsorgende Behandlungseinrichtung

- (1) Bei den die Behandlungseinrichtungen betreffenden Qualitätsanforderungen in § 7 Absatz 1 in Verbindung mit Absatz 2 Satz 1 bis 4 und Absatz 3 Satz 1 und 3, § 8 und § 9 handelt es sich um Mindestanforderungen im Rahmen der Nachsorge der ATMP-Therapie.
- (2) ¹Mit der Anzeige nach § 16 Absatz 1 Satz 1 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie hat der Leistungserbringer die für den Nachweis der Erfüllung der Mindestanforderungen erforderlichen einrichtungs- und personenbezogenen Daten anhand des Vordrucks der Checkliste nach Anhang 4 Teil 1 zu übermitteln. ²Die Anzeige- und Nachweisverpflichtung gegenüber der zuständigen Stelle besteht für Behandlungseinrichtungen für den nach § 7 Absatz 2 vorgesehenen Versorgungszeitraum der Nachsorge von mindestens 15 Jahren.

§ 13 Übergangsregelung

¹Aufgrund § 20 des Allgemeinen Teils dieser Richtlinie müssen Leistungserbringer bzw. Behandlungseinrichtungen, die bereits vor dem xx. Monat 202x *[Inkrafttreten dieser Anlage]* die Genterapie durchgeführt oder die Versorgung in Form der Nachsorge von Patientinnen und Patienten im Zusammenhang mit der Genterapie übernommen haben, die geforderten Nachweise gemäß § 10 Absatz 1, 11 und 12 Absatz 1 bis zum xx. Monat 202x *[6 Monate nach Inkrafttreten dieser Anlage]* erbringen. ²§ 10 Absatz 2 gilt mit der Maßgabe, dass auch Nachweise gemäß Anhang 3 Teil 1 zu übermitteln sind.

Anhang 1 Übersicht zu Kodierungen von Diagnosen (ICD-10-GM)

| ICD-10-GM 2024 | |
|----------------|---|
| D66 | Hereditärer Faktor-VIII-Mangel (inkl. Hämophilie A) |
| D67 | Hereditärer Faktor-IX-Mangel (inkl. Hämophilie B) |
| D68.0- | Willebrand-Jürgens-Syndrom |
| D68.00 | hereditäres Willebrand-Jürgens-Syndrom |
| D68.01 | Erworbenes Willebrand-Jürgens-Syndrom |
| D68.09 | Willebrand-Jürgens-Syndrom, nicht näher bezeichnet |

Anhang 1a Übersicht Operationen und Prozeduren (OPS) und GOP gemäß EBM

Die folgenden Aufzählungen der OPS-Codes und GOP haben informativen Charakter. Sie sind bezogen auf den angegebenen Stand, nicht abschließend und geben eine Orientierung für den Anwendungsbereich der Anlage IV ohne Anspruch auf Vollständigkeit.

| OPS Version 2024 | |
|-------------------------|--|
| 6-00j | Applikation von Medikamenten, Liste 18 |
| 6-00j.1 | Etranacogen dezaparvec, parenteral |
| 6-00k | Applikation von Medikamenten, Liste 19 |
| 6-00k.b | Valoctocogen roxaparvec, parenteral |

| Gebührenordnungsposition (GOP) gemäß Einheitlichem Bewertungsmaßstab (EBM) mit Stand vom 1. Oktober 2023 | |
|--|--|
| 30320 | Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvec mind. 60 Minuten |
| 30321 | Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvec 2h |
| 30322 | Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvec 4h |
| 30323 | Intravasale Infusionstherapie mit Valoctocogen Roxaparvec 6h |

Anhang 2 Checkliste für das Nachweisverfahren nach §§ 10 und 11 zur Erfüllung von Anforderungen nach Maßgabe §§ 2 bis 6

Selbstauskunft des Leistungserbringers:

Der Leistungserbringer _____ in _____

erfüllt die Mindestanforderungen zur Anwendung eines Gentherapeutikum bei Hämophilie.

Institutionskennzeichen und Standortnummer _____

oder

BSNR _____

Die Kassenärztliche Vereinigung bzw. der Medizinische Dienst ist berechtigt, die Richtigkeit der Angaben zu überprüfen.

2.1 Mindestanforderungen an die Erfahrung der Behandlungseinrichtung nach § 2

| | | |
|---|--|---|
| Die Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, verfügt über umfangreiche Erfahrung in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit hereditären oder erworbenen Faktormangelzuständen und sonstigen Koagulopathien, dokumentiert durch: | | |
| .1 | ≥ 30 Patientinnen und Patienten mit schwerer Hämophilie mit dieser Diagnose (D66, D67, D68.00, D68.01, D68.09 nach ICD-10-GM-2023 beziehungsweise der im Bezugszeitraum jeweils geltenden Fassung) innerhalb des letzten Kalenderjahres. | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein oder Dokumentiert durch Meldung im Deutschen Hämophilie Register <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |
| | Anzahl der Patientinnen und Patienten: | _____ |

2.1.2 Begründung, falls die Mindestanforderungen an die Erfahrung der Behandlungseinrichtung teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden

| Art der Anforderung | Begründung der Nichterfüllung | Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung |
|---------------------|-------------------------------|-----------------------------------|
| | | |
| | | |
| | | |

2.2 Mindestanforderungen an das ärztliche Personal nach § 3

| | Funktion | Titel | Name | Vorname | | |
|---|--|-------|------|---------|---|---|
| .1 | verantwortliche Ärztin/ verantwortlicher Arzt | | | | Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |
| ODER | | | | | | |
| Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin und | | | | | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein | |

| | | | | | |
|----|----------------------------------|--|--|---|---|
| | | | | Hämatologie und Onkologie mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie | |
| | | | | ODER | |
| | | | | Fachärztin oder Facharzt für Transfusionsmedizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |
| .2 | weitere Ärztin/ weiterer Arzt | | | Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |
| | | | | ODER | |
| | | | | Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |
| | | | | ODER | |
| | | | | Fachärztin oder Facharzt für Transfusionsmedizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |

| | | | |
|----|--|---|---|
| .3 | Die Verfügbarkeit der Fachdisziplinen Innere Medizin und Gastroenterologie zur Diagnostik und Behandlung von Lebererkrankungen ist sichergestellt. | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein | Sicherstellung erfolgt durch Kooperationspartner ¹ |
| | | | <input type="radio"/> |

2.2.4 Begründung, falls die Mindestanforderungen an das ärztliche Personal teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden

| Art der Anforderung | Begründung der Nichterfüllung | Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung |
|---------------------|-------------------------------|-----------------------------------|
| | | |

¹ Die Anforderungen nach § 2 Absatz 2 Satz 2 i.V.m. § 3 Absatz 5 des Allgemeinen Teils sind einzuhalten.

| | | |
|--|--|--|
| | | |
| | | |

2.3 Mindestanforderungen an Infrastruktur und Organisation nach § 6

| | | |
|--|--|---|
| SOP zur Überwachung und Früherkennung von Komplikationen | | |
| .1 | In der Behandlungseinrichtung, in der Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, sind spezifische SOP für die klinische, apparative und laborchemische Überwachung zur Früherkennung von und den Umgang mit Komplikationen vorhanden, welche Vorgaben zur Verfügbarkeit von Faktorkonzentraten zur Notfallbehandlung enthalten. | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |
| SOP für Behandlungsübergänge zwischen Durchführung der Therapie und Nachsorge | | |
| .2 | In der Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und die Durchführung der Therapie im Sinne dieser Anlage erfolgt, ist eine spezifische SOP für die Übergänge zwischen der Behandlung mit und der Nachsorge von einer Anwendung eines Gentherapeutikums bei Hämophilie vorhanden, welche die Vorgaben nach § 6 Absatz 2 und 3 erfüllt. | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |

2.3.3 Begründung, falls die Mindestanforderungen an Infrastruktur und Organisation teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden

| Art der Anforderung | Begründung der Nichterfüllung | Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung |
|---------------------|-------------------------------|-----------------------------------|
| | | |
| | | |
| | | |

2.4 Unterschriften

Zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassener oder ermächtigter Leistungserbringer

Hiermit wird die Richtigkeit der obigen Angaben bestätigt.

| | | |
|-------|-------|--------------|
| _____ | _____ | _____ |
| Name | Datum | Unterschrift |

Hochschulambulanz bzw. vor- oder nachstationäre Versorgung nach § 115a SGB V

Hiermit wird die Richtigkeit der obigen Angaben bestätigt.

Name

Datum

Unterschrift

| | |
|-------------------|---|
| _____ | _____ |
| _____ | _____ |
| Ärztliche Leitung | Geschäftsführung/ Verwaltungsdirektion |

Anhang 3 Ergänzende Checkliste für das Nachweisverfahren nach §§ 10 und 11 zur Erfüllung von Prozessanforderungen nach Maßgabe der §§ 2 bis 6

Selbstauskunft des Leistungserbringers:

Der Leistungserbringer _____ in _____

erfüllt die Mindestanforderungen zur Anwendung eines Gentherapeutikum bei Hämophilie.

Institutionskennzeichen und Standortnummer _____

oder

BSNR _____

Die Kassenärztliche Vereinigung bzw. der Medizinische Dienst ist berechtigt, die Richtigkeit der Angaben zu überprüfen.

3.1 Mindestanforderungen an die Indikationsstellung für die ATMP-Anwendung nach § 4

| | | | |
|----|---|--------------------------|----------------------------|
| .1 | Eine molekulargenetischen Diagnostik der Hämophilie liegt vor, wurde mit einem validierten Verfahren durchgeführt und in der Patientenakte dokumentiert. | <input type="radio"/> ja | <input type="radio"/> nein |
| .2 | Die Ausgangswerte der Laborparameter Alanin-Aminotransferase (ALT), Aspartat-Aminotransferase (AST), Kreatinphosphokinase (CPK) liegen vor und werden in der Patientenakte dokumentiert. | <input type="radio"/> ja | <input type="radio"/> nein |
| .3 | Die Entscheidung für die Therapie ist durch die Fachärztinnen und Fachärzte gemäß § 3 Absatz 1 unter Berücksichtigung der Befunde nach § 4 Absatz 1 erfolgt. Entsprechende Angaben gemäß § 4 Absatz 2 Satz 3 werden in der Patientenakte dokumentiert. | <input type="radio"/> ja | <input type="radio"/> nein |
| .4 | Bei Patientinnen und Patienten mit vorbestehenden Infektionen mit HIV wurde ein Facharzt oder eine Fachärztin oder ein Facharzt für Innere Medizin und Infektiologie oder ein Facharzt oder eine Fachärztin mit der Zusatzweiterbildung Infektiologie oder Immunologie oder eine Ärztin oder ein Arzt mit einer Genehmigung nach der Qualitätssicherungsvereinbarung zur spezialisierten Versorgung von Patienten mit HIV-Infektion/AIDS-Erkrankung hinzugezogen. | <input type="radio"/> ja | <input type="radio"/> nein |

3.2 Mindestanforderungen an die Aufklärung der Patientinnen und Patienten nach § 5 Absatz 1

| | | | |
|--|--|--------------------------|----------------------------|
| | Die Aufklärung der Patientinnen oder Patienten erfolgt vor Anwendung des ATMP. | <input type="radio"/> ja | <input type="radio"/> nein |
|--|--|--------------------------|----------------------------|

3.3 Begründung, falls die Mindestanforderungen teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden

| Art der Anforderung | Datum der Nichterfüllung | Zeitlicher Umfang der Nichterfüllung (Uhrzeit/in Std.) | Begründung der Nichterfüllung | Geplanter Zeitpunkt der Wiedererfüllung |
|---------------------|--------------------------|--|-------------------------------|---|
| | | | | |
| | | | | |
| | | | | |

3.4 Unterschriften

Zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassener oder ermächtigter Leistungserbringer

Hiermit wird die Richtigkeit der obigen Angaben bestätigt.

| | | |
|-------|-------|--------------|
| _____ | _____ | _____ |
| Name | Datum | Unterschrift |

Hochschulambulanz bzw. vor- oder nachstationäre Versorgung nach § 115a SGB V

Hiermit wird die Richtigkeit der obigen Angaben bestätigt.

Name

Datum

Unterschrift

Ärztliche Leitung

Geschäftsführung/
Verwaltungsdirektion

Anhang 4 **Checkliste für das Nachweisverfahren nach § 12 zur Erfüllung von Anforderungen nach Maßgabe der §§ 7 bis 9 (Nachsorge)**

Selbstauskunft des Leistungserbringers:

Der Leistungserbringer _____ in _____

erfüllt die

Mindestanforderungen

die Mindestanforderungen zur Nachsorge von Patientinnen und Patienten nach der Anwendung eines Gentherapeutikum bei Hämophilie.

Institutionskennzeichen und Standortnummer _____

oder

BSNR _____

Die Kassenärztliche Vereinigung bzw. der Medizinische Dienst ist berechtigt, die Richtigkeit der Angaben zu überprüfen.

4.1 Mindestanforderungen an Infrastruktur und Organisation der Nachsorge nach § 7

| | | |
|----|--|---|
| .1 | Es wird sichergestellt, dass die Nachsorge durch regelmäßige Einbestellung des Patienten oder der Patientin innerhalb des Zeitraums nach § 7 Absatz 2 Satz 1 erfolgt. | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |
| .2 | Bei jeder Vorstellung wird sichergestellt, dass eine Bestimmung der jeweilige Gerinnungsfaktor sowie Laborwerte zur Überprüfung der Leberfunktion (Alaninaminotransferase (ALT), Aspartataminotransferase (AST) und Kreatinphosphokinase (CPK)) erfolgt und in der Patientenakte dokumentiert wird. | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |
| .3 | Es ist sichergestellt, dass <ul style="list-style-type: none"> a. eine werktägliche Erhebung der Faktoraktivität sowie der Laborwerte zur Überprüfung der Leberfunktion, b. die Verfügbarkeit der Ergebnisse nach Buchstabe a innerhalb von 24 Stunden und c. die Interpretation von Laborwerten und die Übermittlung von Therapieempfehlungen an die Patientin bzw. den Patienten möglich ist. | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |
| .4 | Es ist sichergestellt, dass die Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, die Behandlungseinrichtung, in der die Indikationsstellung und Durchführung der Therapie der jeweiligen Patientin bzw. des jeweiligen Patienten stattgefunden hat, innerhalb von zwei Werktagen über die die Ergebnisse von Untersuchungen im Rahmen der Nachsorge informiert. | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |

4.2 Mindestanforderungen an die Erfahrung der Behandlungseinrichtung zur Nachsorge nach § 8

| | | |
|---|--|--|
| Die Behandlungseinrichtung, in der die Nachsorge der Therapie mit dem Gentherapeutikum erfolgt, verfügt über Erfahrungen in der Behandlung von Patientinnen und Patienten mit hereditären oder erworbenen Faktormangelzuständen und sonstigen Koagulopathien, dokumentiert durch: | | |
| | ≥ 10 Patientinnen und Patienten mit schwerer Hämophilie mit dieser Diagnose (D66, D67, D68.00, D68.01, D68.09 nach ICD-10-GM-2023 beziehungsweise der im Bezugszeitraum jeweils geltenden Fassung) innerhalb des letzten Kalenderjahres. | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |
| | | oder Dokumentiert durch Meldung im Deutschen Hämophilie Register <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |
| | Anzahl der Patientinnen und Patienten: | _____ |

4.3 Mindestanforderungen an das Personal in der Nachsorge nach § 9

| | Funktion | Titel | Name | Vorname | | |
|--|--|-------|------|---------|---|---|
| | verantwortliche Ärztin/ verantwortlicher Arzt | | | | Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |
| | | | | | ODER | |
| | | | | | Fachärztin oder Facharzt für Innere Medizin und Hämatologie und Onkologie mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |
| | | | | | ODER | |
| | | | | | Fachärztin oder Facharzt für Transfusionsmedizin mit Zusatzweiterbildung Hämostaseologie | <input type="radio"/> ja <input type="radio"/> nein |

4.4 Begründung, falls die Mindestanforderungen zur Nachsorge teilweise oder vollständig nicht erfüllt werden

| Art der Anforderung | Begründung der Nichterfüllung | Geplanter Zeitpunkt der Erfüllung |
|---------------------|-------------------------------|-----------------------------------|
| | | |
| | | |
| | | |

4.5 Unterschriften

Zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassener oder ermächtigter Leistungserbringer

Hiermit wird die Richtigkeit der obigen Angaben bestätigt.

| | | |
|-------|-------|--------------|
| _____ | _____ | _____ |
| Name | Datum | Unterschrift |

Hochschulambulanz bzw. vor- oder nachstationäre Versorgung nach § 115a SGB V

Hiermit wird die Richtigkeit der obigen Angaben bestätigt.

Name

Datum

Unterschrift

| | |
|-------------------|---|
| _____ | _____ |
| _____ | _____ |
| _____ | _____ |
| Ärztliche Leitung | Geschäftsführung/ Verwaltungsdirektion |