

# Formular für Vorschläge zur ICD-10 und zum OPS

Bitte füllen Sie dieses Vorschlagsformular in einem Textbearbeitungsprogramm aus und schicken Sie es als eMail Anhang ans DIMDI an folgende eMail Adresse: [Vorschlagsverfahren@dimdi.de](mailto:Vorschlagsverfahren@dimdi.de)

Das DIMDI behält es sich vor, die Vorschläge für 2007 ggf. auf seinen Internetseiten zu veröffentlichen.

Pflichtangaben sind mit einem \* markiert.

## 1. Verantwortlich für den Inhalt des Vorschlags (Anschrift des Einsenders und vertretene Organisation)

Organisation *	
Name *	
Vorname *	
Titel	
Straße	
PLZ	
Ort	
eMail-Adresse *	
Telefon *	
Telefax	

## 2. Ansprechpartner (wenn nicht mit Einsender identisch)

Name	
Vorname	
Titel	
Straße	
PLZ	
Ort	
eMail-Adresse	
Telefon	
Telefax	

## 3. Fachgebiet \* (Mehrfachnennungen möglich)

Kinderchirurgie
-----------------

## 4. Ist Ihr Vorschlag bereits mit einer Fachgesellschaft abgestimmt? Wenn ja, mit welcher?\*

<input type="checkbox"/> Ja
Name der Fachgesellschaft:
<input checked="" type="checkbox"/> Nein
Status der Abstimmung:
<input type="checkbox"/> Begonnen
<input type="checkbox"/> Abgeschlossen

## 5. Muss Ihr Vorschlag mit weiteren Fachgesellschaften abgestimmt werden? Wenn ja, mit welcher? \*

<input type="checkbox"/> Ja
Name der Fachgesellschaft:
<input checked="" type="checkbox"/> Nein

Im Geschäftsbereich des



Bundesministerium  
für Gesundheit  
und Soziale Sicherung

#### 6. Art der Änderung \*

Redaktionell

z.B. Schreibfehlerkorrektur, Textkorrektur

Inhaltlich

z.B. Differenzierung bestehender Codes, Neuaufnahme, Zusammenfassung, Streichung

#### 7. Inhaltliche Beschreibung des Vorschlags \*

Die angeborene Stoffwechselerkrankung M. Pompe (Glykogenose II) führt oft schon bei Säuglingen zu schwerer Kardiomyopathie und Skelettmuskelerkrankung. Bei dieser Erkrankung fehlt ein Glykogen- abbauendes Enzym (saure Maltase) in den Lysosomen, was zur Akkumulation von Glykogen in Herz- und Skelettmuskulatur verbunden mit erheblichen Funktionsstörungen führt. Die Firma Genzyme hat in den letzten Jahren das fehlende Enzym im Reagenzglas hergestellt und so verändert, daß es, wenn es in den kindlichen Körper injiziert wird (Enzymersatztherapie), auch an seinen Wirkort in den Lysosomen von Herz- und Skelettmuskulatur gelangt. Dort ersetzt es dann die fehlende saure Maltase, das Glykogen kann abgebaut werden und die Organfunktion verbessert sich.

Zu dieser Enzymersatztherapie hat die Firma Genzyme in den letzten Jahren eine Studie an Kindern sowie Jugendlichen/Erwachsenen mit milderer Erkrankung durchgeführt. Dabei hat sich die Enzymtherapie als wirksam und gut verträglich erwiesen.

Im Rahmen eines 'Expanded Access Program' haben wir einen kleinen Jungen (mittlerweile 1 Jahr alt), bei dem wir im vergangenen Jahr einen M. Pompe mit Herz- und Skelettmuskelbeteiligung diagnostiziert haben, mit der Enzymersatztherapie behandelt, worunter sich sein klinischer Zustand stabilisiert hat. Der Junge erhält alle 2 Wochen 20 mg pro kg Körpergewicht über einen Zeitraum von ca. 6 Stunden infundiert. Die Enzymsubstanz wurde in diesem Programm von der Herstellerfirma Genzyme kostenlos zur Verfügung gestellt.

Das 'Committee for Medicinal Products' der europäischen Zulassungsbehörde EMEA hat am 27.1. 2006 eine 'Positive Opinion' zur Vermarktung des Enzymproduktes 'Myozyme' bekanntgegeben und damit die Enzymersatztherapie befürwortet. Es wird mit einer Zulassung durch EMEA in ca. 2-3 Monaten gerechnet.

Nach Zulassung des Produktes werden Kosten entstehen, die nicht unerheblich sind, es wird mit 500-550 € pro 50 mg gerechnet. Bei einer Dosis von 20 mg/kg alle 14 Tage entspricht dies ca. 200 € pro kg Körpergewicht, bei 20 kg Körpergewicht macht dies etwa 4000 € pro Gabe aus. Diese Kosten sind im DRG-System bislang nicht abgebildet. Unter ambulanten Bedingungen läßt sich das Medikament nach Zulassung zu Lasten der Krankenkasse verschreiben. Da die kleinen Patienten aufgrund ihrer Kardiomyopathie und Skelettmuskelschwäche klinisch oft in einem grenzwertigen Zustand sind, ist die Enzymersatztherapie oft nur unter stationären

#### 8. Vorschlag für (neuen) Kode, Text und Klassifikationsstruktur

(Bitte geben Sie auch Synonyme für das Alphabetische Verzeichnis an)

OPS Code für den Einsatz von Enzymersatztherapie bei M. Pompe

#### 9. Begründung des Vorschlags (bei redaktionellen Änderungen nicht erforderlich) \*

Es sollte für diejenigen M. Pompe- Patienten, die aufgrund ihres schlechten klinischen Zustands eine Enzymersatztherapie unter stationären Bedingungen benötigen, einen gesonderten Zusatzentgelt eingeführt werden, welche die Kosten für das Enzymersatzpräparat und das Infusionsmaterial sowie den pflegerischen und ärztlichen Aufwand mit regelmäßiger Überwachung der Vitalparameter über das normale Maß hinaus berücksichtigt. Da die Enzymdosis auf das Körpergewicht bezogen wird, erscheint eine körpergewicht- bzw. altersbezogene Erstattung sinnvoll.

Ist Ihr Vorschlag für das <b>Entgeltsystem</b> erforderlich? Wenn ja, bitte kurz begründen! <input checked="" type="checkbox"/> Ja Begründung:s.o. <input type="checkbox"/> Nein
Ist Ihr Vorschlag für die externe <b>Qualitätssicherung</b> erforderlich? Wenn ja, bitte kurz begründen! <input type="checkbox"/> Ja Begründung: <input checked="" type="checkbox"/> Nein
<b>Verbreitung des Verfahrens</b> (nur bei Vorschlägen für den OPS) <input type="checkbox"/> Standard <input type="checkbox"/> Etabliert <input checked="" type="checkbox"/> In der Evaluation <input type="checkbox"/> Experimentell <input type="checkbox"/> Unbekannt
<b>Geschätzte Häufigkeit des Verfahrens</b> (z.B. Zahl der Fälle, Zahl der Kliniken) (nur bei Vorschlägen für den OPS) Ca. 20 Patienten Bundesweit. Es gibt neben der frühkindlichen auch eine mildere Form. Bei Einbeziehung der milden Formen wäre die Zahl noch größer, vielleicht 50 Patienten.
<b>Geschätzte Kosten der Prozedur</b> (nur bei Vorschlägen für den OPS) Nach Zulassung des Produktes werden Kosten entstehen, die nicht unerheblich sind, es wird mit 500-550 € pro 50 mg gerechnet. Bei einer Dosis von 20 mg/kg alle 14 Tage entspricht dies ca. 200 € pro kg Körpergewicht, bei 20 kg Körpergewicht macht dies etwa 4000 € pro Gabe aus
<b>10. Sonstiges</b> (z.B. Kommentare, Anregungen) Da die Enzymdosis auf das Körpergewicht bezogen wird, erscheint eine körpergewicht- bzw. altersbezogene Erstattung sinnvoll.