

## Änderungsvorschlag für den OPS 2022

Dieses Formular ist urheberrechtlich geschützt und darf nur zur Einreichung eines Vorschlags heruntergeladen und genutzt werden. Eine Veröffentlichung z.B. auf Webseiten, in Internetforen oder vergleichbaren Medien ist nicht gestattet.

### Bearbeitungshinweise

1. Bitte füllen Sie für inhaltlich nicht zusammenhängende Vorschläge jeweils ein eigenes Formular aus.
2. Füllen Sie dieses Formular elektronisch aus. Die Formulare Daten werden elektronisch weiterverarbeitet, so dass nur **strukturell unveränderte digitale** Kopien im DOCX-Format angenommen werden.
3. Vergeben Sie einen Dateinamen gemäß unten stehendem Beispiel; verwenden Sie Kleinschrift ohne Umlaute und ß, ohne Leer- oder Sonderzeichen und ohne Unterstrich:  
*ops2022-kurzbezeichnungsinhalts.docx*; *kurzbezeichnungsinhalts* sollte nicht länger als 25 Zeichen sein. **Beispiel: ops2022-komplexeinzelreha.docx**
4. Senden Sie Ihren Vorschlag ggf. zusammen mit Stellungnahmen der Fachverbände unter einem prägnanten Betreff als E-Mail-Anhang bis zum **28. Februar 2021** an **vorschlagsverfahren@bfarm.de**.
5. Der fristgerechte Eingang wird Ihnen per E-Mail bestätigt. Heben Sie diese **Eingangsbestätigung** bitte als Nachweis auf. Sollten Sie keine Eingangsbestätigung erhalten, wenden Sie sich umgehend an das Helpdesk Klassifikationen (0228 99307-4945, [klassi@bfarm.de](mailto:klassi@bfarm.de)).

### Hinweise zum Vorschlagsverfahren

Das Vorschlagsverfahren wird gemäß [Verfahrensordnung](#) für die Festlegung von ICD-10-GM und OPS gemäß § 295 Absatz 1 Satz 9 und § 301 Absatz 2 Satz 7 SGB V durchgeführt.

Bitte berücksichtigen Sie bei der Erarbeitung eines OPS-Vorschlags die "Gesichtspunkte für zukünftige Revisionen des OPS" in der aktuellen Fassung:

[www.dimdi.de](http://www.dimdi.de) – Klassifikationen – OPS – Vorschlagsverfahren – ...

Änderungsvorschläge sollen **primär durch die inhaltlich zuständigen Fachverbände** eingebracht werden. Dies dient der fachlichen Beurteilung und Bündelung der Vorschläge, erleichtert die Identifikation relevanter Vorschläge und trägt so zur Beschleunigung der Bearbeitung bei.

Einzelpersonen und auch einreichende Fachverbände werden gebeten (§3 Absatz 3 Verfahrensordnung), ihre Vorschläge **vorab mit allen bzw. allen weiteren für den Vorschlag relevanten Fachverbänden** (Fachgesellschaften [www.awmf-online.de](http://www.awmf-online.de), Verbände des Gesundheitswesens) abzustimmen und mit den schriftlichen Stellungnahmen dieser Fachverbände einzureichen. Für Vorschläge, die nicht mit den inhaltlich zuständigen Fachverbänden abgestimmt sind, leitet das BfArM diesen Abstimmungsprozess ein. Kann die Abstimmung nicht während des laufenden Vorschlagsverfahrens abgeschlossen werden, so kann der Vorschlag nicht umgesetzt werden.

Vorschläge, die die externe Qualitätssicherung betreffen, sollten mit der dafür zuständigen Organisation abgestimmt werden.

**Wir weisen ausdrücklich darauf hin**, dass Vorschläge nur im eigenen Namen oder mit ausdrücklicher Einwilligung der unter 1. genannten verantwortlichen Person eingereicht werden dürfen. Das BfArM führt vor der Veröffentlichung keine inhaltliche Überprüfung der eingereichten Vorschläge durch. Für die Inhalte sind ausschließlich die Einreichenden verantwortlich. Bei Fragen oder Unstimmigkeiten bitten wir, sich direkt an die jeweiligen im Vorschlagsformular genannten Ansprechpersonen zu wenden.

### Einräumung der Nutzungsrechte und Erklärung zum Datenschutz

Mit Einsendung des Vorschlags räumen Sie dem BfArM das Nutzungsrecht an dem eingereichten Vorschlag ein.

Datenschutzrechtliche Hinweise zur Verarbeitung Ihrer personenbezogenen Daten und zu Ihren Rechten finden Sie unter: [www.dimdi.de](http://www.dimdi.de) – Datenschutzerklärung



**Wir bitten Sie, die Einräumung der Nutzungsrechte und die gemäß Datenschutzgesetzgebung erforderliche Einwilligung zur Verarbeitung Ihrer personenbezogenen Daten zu bestätigen.**

**Pflichtangaben sind mit einem \* markiert.**

### 1. Verantwortlich für den Inhalt des Vorschlags

Organisation *	Novartis Gene Therapies
Offizielles Kürzel der Organisation (sofern vorhanden)	
Internetadresse der Organisation (sofern vorhanden)	www.novartis.com
Anrede (inkl. Titel) *	Dr.
Name *	Günter
Vorname *	Harms
Straße *	Theresienhöhe 28
PLZ *	80399
Ort *	München
E-Mail *	gunter.harms@novartis.com
Telefon *	0174 96 75 384

### Einräumung der Nutzungsrechte

- \* Ich als Verantwortliche/-r für diesen Vorschlag versichere, dass ich berechtigt bin, dem BfArM die nachfolgend beschriebenen Nutzungsrechte an dem Vorschlag einzuräumen. Mit Einsendung des Vorschlags wird die folgende Erklärung akzeptiert:  
„Gegenstand der Nutzungsrechteübertragung ist das Recht zur Bearbeitung und Veröffentlichung des Vorschlags im Rahmen der Weiterentwicklung des OPS komplett oder in Teilen und damit Zugänglichmachung einer breiten Öffentlichkeit. Dies schließt sprachliche und inhaltliche Veränderungen ein. Dem BfArM werden jeweils gesonderte, räumlich unbeschränkte und nicht ausschließliche Nutzungsrechte an dem Vorschlag für die Dauer der gesetzlichen Schutzfristen eingeräumt. Die Einräumung der Nutzungsrechte erfolgt unentgeltlich.“

### Einwilligung zur Verarbeitung meiner personenbezogenen Daten

- \* Ich bin als Verantwortliche/-r für diesen Vorschlag damit einverstanden, dass der Vorschlag einschließlich meiner unter Punkt 1 genannten personenbezogenen Daten zum Zweck der Vorschlagsbearbeitung verarbeitet und ggf. an Dritte weitergegeben wird, die an der Bearbeitung des Vorschlags beteiligt sind (z.B. Selbstverwaltungspartner und Vertreter der Fachverbände sowie Organisationen oder Institutionen, die durch gesetzliche Regelungen mit der Qualitätssicherung im ambulanten und stationären Bereich beauftragt sind, Mitglieder der Arbeitsgruppe ICD und der Arbeitsgruppe OPS sowie ggf. weitere Experten). Ich kann meine Einwilligung jederzeit widerrufen.
- Ich bin als Verantwortliche/-r für diesen Vorschlag damit einverstanden, dass der Vorschlag **einschließlich** meiner unter Punkt 1 genannten personenbezogenen Daten auf den Internetseiten des BfArM veröffentlicht wird. Ich kann meine Einwilligung jederzeit widerrufen.  
Sollten Sie damit nicht einverstanden sein, wird Ihr Vorschlag ab Seite 4 veröffentlicht.



## 2. Ansprechpartner/-in (wenn nicht mit 1. identisch)

Organisation \*

Offizielles Kürzel der Organisation  
(sofern vorhanden)

Internetadresse der Organisation  
(sofern vorhanden)

Anrede (inkl. Titel) \*

Name \*

Vorname \*

Straße \*

PLZ \*

Ort \*

E-Mail \*

Telefon \*

### Einwilligung zur Verarbeitung meiner personenbezogenen Daten

\* Ich bin als Ansprechpartner/-in für diesen Vorschlag damit einverstanden, dass der Vorschlag einschließlich meiner unter Punkt 2 genannten personenbezogenen Daten zum Zweck der Vorschlagsbearbeitung verarbeitet und ggf. an Dritte weitergegeben wird, die an der Bearbeitung des Vorschlags beteiligt sind (z.B. Selbstverwaltungspartner und Vertreter der Fachverbände sowie Organisationen oder Institutionen, die durch gesetzliche Regelungen mit der Qualitätssicherung im ambulanten und stationären Bereich beauftragt sind, Mitglieder der Arbeitsgruppe ICD und der Arbeitsgruppe OPS sowie ggf. weitere Experten). Ich kann meine Einwilligung jederzeit widerrufen.

Ich bin als Ansprechpartner/-in für diesen Vorschlag damit einverstanden, dass der Vorschlag **einschließlich** meiner unter Punkt 2 genannten personenbezogenen Daten auf den Internetseiten des BfArM veröffentlicht wird. Ich kann meine Einwilligung jederzeit widerrufen.

Sollten Sie damit nicht einverstanden sein, wird der Vorschlag ab Seite 4 veröffentlicht.



**Bitte beachten Sie: Wenn Sie damit einverstanden sind, dass die Seiten 2 und 3 mitveröffentlicht werden, setzen Sie bitte das entsprechende Häkchen auf Seite 2 bzw. Seite 3. Sollten Sie nicht damit einverstanden sein, wird der Vorschlag ab Seite 4, also ab hier, veröffentlicht.**

**3. Prägnante Kurzbeschreibung Ihres Vorschlags (max. 85 Zeichen inkl. Leerzeichen) \***

Einführung eines OPS-Kodes zur intravenösen Applikation von Onasemnogen-Abeparvovec

**4. Mitwirkung der Fachverbände \***

(siehe **Hinweise** am Anfang des Formulars)

- Es liegen keine schriftlichen Erklärungen über die Unterstützung des Vorschlags oder Mitarbeit am Vorschlag seitens der Fachverbände vor.
- Dem BfArM werden zusammen mit dem Vorschlag schriftliche Erklärungen über die Unterstützung des Vorschlags oder Mitarbeit am Vorschlag seitens der folgenden Fachverbände übersendet.

Bitte entsprechende Fachverbände auflisten:

**5. Der Vorschlag betrifft ein Verfahren, das durch die Verwendung eines bisher nicht spezifisch kodierbaren Medizinproduktes charakterisiert ist \***

- Nein
- Ja

**a. Name des Medizinproduktes und des Herstellers (Ggf. mehrere. Falls Ihnen ähnliche Produkte bekannt sind, führen Sie diese bitte auch auf.)**

**b. Datum der letzten CE-Zertifizierung und Zweckbestimmung laut Gebrauchsanweisung**

**6. Inhaltliche Beschreibung des Vorschlags \***

(ggf. inkl. Vorschlag für (neue) Schlüsselnummern, Klassentitel, Inklusiva, Exklusiva, Hinweise und Klassifikationsstruktur; bitte geben Sie ggf. auch Synonyme und/oder Neuordnungen für das Alphabetische Verzeichnis an)

Dieser Antrag beinhaltet einen Vorschlag für die Neuaufnahme einer Dosis- und gewichtsabhängigen OPS-Schlüsselnummer für die intravenöse Gabe von Onasemnogen-Abeparvovec 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.

6-00x Applikation von Medikamenten

6-00x.x 0 - 3,3 x 10 (hoch 14) vg - 2,6 - 3,0 kg

6-00x.x 1 - 3,9 x 10 (hoch 14) vg - 3,1 - 3,5 kg

6-00x.x 2 - 4,4 x 10 (hoch 14) vg - 3,6 - 4,0 kg

6-00x.x 3 - 5,0 x 10 (hoch 14) vg - 4,1 - 4,5 kg

6-00x.x 4 - 5,5 x 10 (hoch 14) vg - 4,6 - 5,0 kg

6-00x.x 5 - 6,1 x 10 (hoch 14) vg - 5,1 - 5,5 kg

6-00x.x 6 - 6,6 x 10 (hoch 14) vg - 5,6 - 6,0 kg

6-00x.x 7 - 7,2 x 10 (hoch 14) vg - 6,1 - 6,5 kg

6-00x.x 8 - 7,7 x 10 (hoch 14) vg - 6,6 - 7,0 kg

6-00x.x 9 - 8,3 x 10 (hoch 14) vg - 7,1 - 7,5 kg

6-00x.x 10 - 8,8 x 10 (hoch 14) vg - 7,6 - 8,0 kg

6-00x.x 11 - 9,4 x 10 (hoch 14) vg - 8,1 - 8,5 kg

6-00x.x 12 - 9,9 x 10 (hoch 14) vg - 8,6 - 9,0 kg

6-00x.x 13 - 1,05 x 10 (hoch 15) vg - 9,1 - 9,5 kg

6-00x.x 14 - 1,10 x 10 (hoch 15) vg - 9,6 - 10,0 kg

6-00x.x 15 - 1,16 x 10 (hoch 15) vg - 10,1 - 10,5 kg

6-00x.x 16 - 1,21 x 10 (hoch 15) vg - 10,6 - 11,0 kg

6-00x.x 17 - 1,27 x 10 (hoch 15) vg - 11,1 - 11,5 kg

6-00x.x 18 - 1,32 x 10 (hoch 15) vg - 11,6 - 12,0 kg

6-00x.x 19 - 1,38 x 10 (hoch 15) vg - 12,1 - 12,5 kg

6-00x.x 20 - 1,43 x 10 (hoch 15) vg - 12,6 - 13,0 kg

6-00x.x 21 - 1,49 x 10 (hoch 15) vg - 13,1 - 13,5 kg

6-00x.x 22 - 1,54 x 10 (hoch 15) vg - 13,6 - 14,0 kg

6-00x.x 23 - 1,60 x 10 (hoch 15) vg - 14,1 - 14,5 kg

6-00x.x 24 - 1,65 x 10 (hoch 15) vg - 14,6 - 15,0 kg

6-00x.x 25 - 1,71 x 10 (hoch 15) vg - 15,1 - 15,5 kg

6-00x.x 26 - 1,76 x 10 (hoch 15) vg - 15,6 - 16,0 kg

6-00x.x 27 - 1,82 x 10 (hoch 15) vg - 16,1 - 16,5 kg

6-00x.x 28 - 1,87 x 10 (hoch 15) vg - 16,6 - 17,0 kg

6-00x.x 29 - 1,93 x 10 (hoch 15) vg - 17,1 - 17,5 kg

6-00x.x 30 - 1,98 x 10 (hoch 15) vg - 17,6 - 18,0 kg

6-00x.x 31 - 2,04 x 10 (hoch 15) vg - 18,1 - 18,5 kg

6-00x.x 32 - 2,09 x 10 (hoch 15) vg - 18,6 - 19,0 kg

6-00x.x 33 - 2,15 x 10 (hoch 15) vg - 19,1 - 19,5 kg

6-00x.x 34 - 2,20 x 10 (hoch 15) vg - 19,6 - 20,0 kg

6-00x.x 35 - 2,26 x 10 (hoch 15) vg - 20,1 - 20,5 kg

6-00x.x 36 - 2,31 x 10 (hoch 15) vg - 20,6 - 21,0 kg

## 7. Problembeschreibung und Begründung des Vorschlags

### a. Problembeschreibung \*

Der vorliegende Antrag für die Einführung eines OPS-Kodes für Onasemnogen-Abeparvec bezieht sich auf folgende Anwendungsgebiete von Onasemnogen-Abeparvec:

- a) Patienten mit 5q-assoziiertes spinaler Muskelatrophie (SMA) mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und einer klinisch diagnostizierten SMA Typ 1.
- b) Patienten mit 5q-assoziiertes SMA mit einer biallelischen Mutation im SMN1-Gen und bis zu 3 Kopien des SMN2-Gens.

Die SMA ist eine seltene und sehr schwerwiegende neuromuskuläre Erkrankung. Die Ursache der SMA ist ein Mangel an „survival of motor neuron“(SMN)-Protein. Obwohl das SMN-Protein ubiquitär exprimiert wird, führt der Mangel vorwiegend zu einem irreversiblen Absterben motorischer Neuronen im Vorderhorn des Rückenmarks und im Hirnstamm. Durch die fehlende Innervation der zugehörigen Muskeln kommt es zu Muskelschwäche und -atrophie. SMA Typ 1 (Werdnig-Hoffmann-Erkrankung) ist die schwerste Verlaufsform der SMA. Betroffene Patienten entwickeln bereits in einem Alter von wenigen Wochen bis wenigen Monaten (< 6 Monate) erste Symptome der Erkrankung. Kinder mit SMA Typ 1 lernen in der Regel niemals sitzen und weisen 1 oder 2 Kopien des SMN2-Gens auf. Ab Symptombeginn verschlechtert sich der Zustand rapide bis zu einem frühen Tod, eine Verbesserung tritt nicht mehr ein. Patienten mit 3 SMN2-Kopien entwickeln in der Regel SMA Typ 2, welches ebenfalls eine schwerwiegende Ausprägung der Erkrankung ist. Diese Patienten zeigen in einem Alter von 6 – 18 Monaten die ersten Symptome. Obwohl der motorische Meilenstein „freies Sitzen“ erreicht werden kann, lernen die Kinder niemals laufen. Die Patienten sind Zeit ihres Lebens auf einen Rollstuhl angewiesen. Die Lebenserwartung liegt bei 20 – 40 Jahren.

SMA Typ 1 ist die häufigste genetische Todesursache im Säuglings- und Kindesalter. Die vorherrschenden klinischen Anzeichen für SMA Typ 1 sind Muskelschwäche und -atrophie, die den gesamten Körper betreffen („floppy infants“). SMA Typ 1 ist dadurch definiert, dass die betroffenen Patienten niemals sitzen lernen. Aufgrund der Muskelschwäche wird auch eine Kontrolle des Kopfes oft nicht erreicht. Die ersten Symptome der Erkrankung treten bereits in einem Alter von < 6 Monaten (in der Regel < 3 Monaten) auf. Als Konsequenz der Schwäche der Atemmuskulatur wird typischerweise eine paradoxe Atmung beobachtet. Zudem sind Bulbärfunktionen wie z. B. das Schlucken und Sprechen, sowie der Gastrointestinaltrakt betroffen, was bei den Kindern oft zu einer Mangelernährung führt. Die Ergebnisse systematisch durchgeführter Studien zum natürlichen Verlauf der SMA Typ 1 zeigten, dass die Patienten in einem Alter von 0 bis maximal 8 Monaten die ersten Symptome aufweisen, worauf eine kontinuierliche und oft initial dramatische Verschlechterung beobachtet wurde. CHOP-INTEND-Werte von über 40 Punkten wurden nur in Einzelfällen beobachtet und zwar bei Patienten mit spätem Auftreten der Symptome bzw. einer milderen Verlaufsform der Erkrankung. Unabhängig davon trat im natürlichen Verlauf eine Verbesserung der CHOP-INTEND-Werte nach Symptombeginn nicht mehr auf. Trotz der Möglichkeit intensiver therapeutischer Maßnahmen (künstliche Ernährung, künstliche Beatmung) beträgt das mediane Überleben bei den Patienten mit SMA Typ 1 5,8 – 13,5 Monate (Ergebnisse prospektiver und retrospektiver Studien). Insgesamt liegen Daten bis zu 5,2 Jahre aus Nachbeobachtungen vor.



Patienten mit SMA Typ 2 lernen ohne Behandlung niemals laufen und versterben früh, in einem Alter von ca. 20 - 40 Jahren. Zeit ihres Lebens sind sie auf einen Rollstuhl angewiesen und leiden an Komorbiditäten durch die Immobilität. Die Patienten müssen sich aufgrund von Skoliose meist mehrfach größeren chirurgischen Eingriffen unterziehen und haben mit respiratorischen Problemen zu kämpfen. Eine Verbesserung der motorischen Funktion, die z.B. das Laufen und damit mehr Bewegung ermöglichen würde, würde für diese Patienten eine erhebliche Verbesserung der Lebensqualität darstellen und das Leben verlängern.

Es besteht somit ein hoher therapeutischer Bedarf im vorliegenden Anwendungsgebiet; der sich ebenfalls in der Anerkennung von Onasemnogen-Abeprarvovec als Orphan Drug durch die EMA widerspiegelt.

Die Behandlung mit Onasemnogen-Abeprarvovec führt zu einer nachhaltigen und bisher nicht erreichten großen Verbesserung des therapie-relevanten Nutzens bei Patienten mit einer sehr schwerwiegenden Erkrankung (SMA Typ 1 oder SMA-Patienten mit bis zu drei SMN2-Kopien). Allen Schweregraden der SMA liegt mit dem Mangel an SMN-Protein und dem resultierenden Verlust an Motoneuronen ein gemeinsamer Pathomechanismus zugrunde, eine Extrapolation von Ergebnissen bei Patienten mit 2 SMN2-Kopien auf Patienten mit 3 SMN2-Kopien erscheint angesichts des erwarteten Fortschreitens der Krankheit möglich und gerechtfertigt. In der Literatur gut dokumentiert ist der natürliche Krankheitsverlauf von SMA Typ 1, für diese Ausprägung liegen mit einer vom Pediatric Neuromuscular Clinical Research Network for SMA (PNCR) durchgeführten Studie, der NeuroNEXT-Studie und ENDEAR auch prospektiv oder teilprospektiv durchgeführte Studien vor, die ausnahmslos einen einheitlich schweren Verlauf der SMA Typ 1 belegen. Patienten mit SMA Typ 1 sind in ihrer körperlichen Funktion extrem eingeschränkt und es wird erwartet, dass sie unbehandelt ein Alter von über zwei Jahren nur dann erreichen, wenn intensive unterstützende Maßnahmen wie dauerhafte Beatmung eingesetzt werden. Dies wurde z. B. bei 92 % der Patienten der PNCR-Studie beobachtet.

**b. Inwieweit ist der Vorschlag für die Weiterentwicklung der Entgeltsysteme relevant? \***

- 1) Da es sich um ein neu zugelassenes Arzneimittel handelt, ist eine Abbildung im aktuellen OPS-Klassifikationssystem nicht gegeben.
- 2) Um eine differenzierte Darstellung relevanter Kosten zu ermöglichen.
- 3) Um eine Kostenunterdeckung durch die Anwendung dieses innovativen, zielgerichtet wirksamen und spezifisch für diese Indikation in klinischen Studien getesteten Medikamentes zu vermeiden, ist die Etablierung eines Zusatzentgeltes notwendig. Zur Abbildung der entsprechenden Kosten ist eine Kodierbarkeit erforderlich. Mittels eines spezifischen Leistungsbezeichners (hier: OPS-Code für die Gabe von Onasemnogen-Abeprarvovec) wird eine sichere Identifizierung in den Daten der Kalkulationskrankenhäuser des InEK ermöglicht. Diese erlaubt im Folgenden die Darstellung der differenzierten Kosten für das Arzneimittel.

**c. Verbreitung des Verfahrens \***

- Standard (z.B., wenn das Verfahren in wissenschaftlichen Leitlinien empfohlen wird)
- Etabliert (z.B., wenn der therapeutische Stellenwert in der Literatur beschrieben ist)
- In der Evaluation (z.B., wenn das Verfahren neu in die Versorgung eingeführt ist)
- Experimentell (z.B., wenn das Verfahren noch nicht in die Versorgung eingeführt ist)
- Unbekannt

**d. Angaben zu Leitlinien, Literatur, Studienregistern usw. (maximal 5 Angaben)**

SmartCare - Register; RESTORE - Register; CL - 303; CL - 101; PNCr; LT - 001

**e. Kosten (ggf. geschätzt) des Verfahrens \***

Einmalig 1.945.000,00 € pro Packung = Packungspreis unabhängig von der Dosis (Onasemnogen-Abeparovvec wird als einmalige Therapie verabreicht)

**f. Kostenunterschiede (ggf. geschätzt) zu bestehenden, vergleichbaren Verfahren (Schlüsselnummern) \***

Die Behandlung mit der neuen Gensersatztherapie Onasemnogen-Abeparovvec wird einmalig stationär durchgeführt. Hinzu kommen vorbereitende Untersuchungen sowie Nachbeobachtungszeiten. Gemäß den bekannten Patientenmerkmalen (ICD - 10 G.12.0) sowie typischerweise angewandten, unterstützenden Verfahren und da kein spezifischer OPS-Kode mit Gruppierungsrelevanz zur Verfügung steht, um die Behandlung zu kodieren, wird höchstwahrscheinlich eine DRG aus der Basis - DRG - Gruppe B85 resultieren. In der einfachsten Form könnte es die B85D sein, die anwendbar ist: B85D - Degenerative Krankheiten des Nervensystems ohne hochkomplexe Diagnose, ohne äußerst schwere oder schwere CC oder ein Belegungstag ohne komplexe Diagnose.

UGVD:2 Tage - OVVD:11 Tage

Bei BBFW 2019 und Erreichen der UGVD: 2.594,92 €

Eine Kostendifferenz besteht bei der Betrachtung von Nusinersen als einziges in der Indikation zugelassenes Alternativpräparat. Für Nusinersen liegen Kosten von 84.860,26 € pro Packung zugrunde, sowie eine fachinformationskonforme Anwendung von sechs Anwendungen in Jahr 1 und drei Anwendungen in jedem folgenden Jahr, lebenslang. Zusätzlich sind die Kosten für die intrathekale Applikation und die damit verbundene längere Krankenhausverweildauer zu berücksichtigen.

In der 10-Jahresbetrachtung, stellt sich Onasemnogen-Abeparovvec, als Einmaltherapie versus Nusinersen als lebenslang zu applizierende Therapie als kostengünstiger dar.

10 Jahresvergleich (reine Medikamentenkosten):

a) Nusinersen = 280.038,86 € pro Patient / Jahr

b) Onasemnogen-Abeparovvec = 225.624,18 € pro Patient / Jahr

**g. Fallzahl (ggf. geschätzt), bei der das Verfahren zur Anwendung kommt \***

Aufgrund mangelnder Daten ist eine verlässliche Fallzahlschätzung nicht möglich. Basierend auf Prävalenz und Inzidenzabschätzung auf der Basis der besten verfügbaren Evidenz wird eine Patientenzahl zwischen 45 - 65 mit SMA Typ 1 sowie 23 - 25 mit SMA Typ 2 pro Jahr angenommen. Die Prävalenz für SMA Typ 3 wird auf 1 : 375.000 geschätzt (Quelle Orphanet).



Die Einführung eines Neugeborenen-Screenings durch den GBA im Bereich SMA ab dem Jahr 2021 wird die Prävalenzabschätzung für alle SMA Typen zukünftig validierter möglich machen.

**h. Inwieweit ist der Vorschlag für die Weiterentwicklung der externen Qualitätssicherung relevant? \***

(Vorschläge, die die externe Qualitätssicherung betreffen, sollten mit der dafür zuständigen Organisation abgestimmt werden.)

Ein OPS-Kode und die damit verbundene Möglichkeit der genauen Kodierung fördern die Umsetzung des GBA Beschlusses vom 11. August 2020 über Maßnahmen zur Qualitätssicherung nach § 136a Absatz 5 SGB V zur Anwendung von Onasemnogen-Abeparvovec bei spinaler Muskelatrophie.

**8. Bisherige Kodierung des Verfahrens**

(Bitte nennen Sie, falls möglich, die Codes, die aus klassifikatorischer Sicht unabhängig vom Ergebnis der Gruppierung in Entgeltsystemen zurzeit für das Verfahren anzugeben sind)

keine bekannt

**9. Sonstiges**

(z.B. Kommentare, Anregungen, Literaturangaben bitte ausschließlich unter 7.c. aufführen)