

Änderungsvorschlag für den OPS 2023

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:
ops2023-kurzbezeichnungdesinhalts.docx; *kurzbezeichnungdesinhalts* sollte nicht länger als 25 Zeichen sein. **Beispiel: ops2023-komplexkodefruehreha.docx**
4. Senden Sie Ihren Vorschlag ggf. zusammen mit Stellungnahmen der Fachverbände unter einem prägnanten Betreff als E-Mail-Anhang bis zum **28. Februar 2022** 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).

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.bfarm.de – Kodiersysteme – Klassifikationen – OPS, ICHI – 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, 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 auf unseren Internetseiten.

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 *	PTC Therapeutics Germany GmbH
Offizielles Kürzel der Organisation (sofern vorhanden)	PTC
Internetadresse der Organisation (sofern vorhanden)	www.ptcbio.com
Anrede (inkl. Titel) *	Herr
Name *	Böhnke
Vorname *	Axel
Straße *	The SQUARE 12, Am Flughafen
PLZ *	60549
Ort *	Frankfurt am Main
E-Mail *	aboehnke@ptcbio.com
Telefon *	+49 151 46423086

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. Vertretende der Selbstverwaltung und der Fachverbände sowie der 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 Expertinnen und 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. Vertretende der Selbstverwaltung und der Fachverbände sowie der 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 Expertinnen und 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) *

Ergänzung der OPS-Gruppe 6-00b um die Applikation von Eladocagene Exuparvovec.

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:

Deutsche Gesellschaft für Neurochirurgie (DGNC) anbei - Vorschlag wurde bereits im Vorjahr explizit unterstützt.
Einreichung 2022 wurde bestätigt für Universitätsklinikum Heidelberg (führendes Therapiezentrum) durch Herrn Prof. Dr. Karl Kiening, Neuro-Chirurg.

5. Der Vorschlag betrifft ein Verfahren, das durch die Verwendung eines oder mehrerer Medizinprodukte charakterisiert ist oder bei dem für die Durchführung der Prozedur ein Medizinprodukt benötigt bzw. eingesetzt wird*

- 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. Es wird darum gebeten, die CE-Zertifizierung und die Gebrauchsanweisung zusammen mit dem Vorschlag zu übersenden oder nachzureichen



6. Der Vorschlag betrifft ein Verfahren, das durch die Verwendung eines oder mehrerer Arzneimittel charakterisiert ist oder bei dem für die Durchführung der Prozedur ein Arzneimittel benötigt bzw. eingesetzt wird *

- Nein
 Ja

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

Eladocagene Exuparovec (angestrebter Handelsname: Upstaza).

b. Datum der letzten Arzneimittelzulassung, Name der erteilenden Institution und Zweckbestimmung laut Fachinformation. Es wird darum gebeten, die Fachinformation zusammen mit dem Vorschlag zu übersenden oder nachzureichen

Im Zulassungsverfahren, erwartet durch EC (Europäische Kommission) für Q2/2022.

7. Inhaltliche Beschreibung des Vorschlags *

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

Erweiterung der Kodegruppe 6-00b des OPS-Kapitel 6 Applikation von Medikamenten durch Kode für die Applikation von Eladocagene Exuparovec (Handelsname Upstaza). Dieses Medikament wird mittels stereotaktischer Verfahren (siehe unten) beidseits in das Putamen injiziert.
Ein möglicher Kode in Ergänzung zu OPS 5-014.8 Instillation von Medikamenten als selbständiger Eingriff wäre:
6-00b.q Eladocagene Exuparovec, stereotaktisch gesteuerte Injektion in das Putamen, beidseits.

8. Problembeschreibung und Begründung des Vorschlags

a. Problembeschreibung *

Der AADC-Mangel (MIM # 608643 in der OMIM® - Online Mendelian Inheritance in Man®-Datenbank) ist eine sehr seltene, autosomal rezessive Stoffwechselstörung, die auf Mutationen im DDC-Gen (Lokalisation 7p12.2-p12.1) zurückzuführen ist (Orpha.net ORPHA:35708). Im Gegensatz zur Parkinson-Erkrankung oder neurotoxischem Parkinsonismus, die durch den erworbenen Verlust von Dopamin-produzierenden Neuronen in höherem Alter gekennzeichnet sind, führt der vererbte AADC-Enzymmangel von Geburt an zu einem deutlichen oder vollständigen Verlust der Dopamin- und Serotoninproduktion im Gehirn.

Gentherapie als neue therapeutische Möglichkeit

Als neue therapeutische Möglichkeit steht eine Gentherapie zur Verfügung, die an das Gen of interest (GOI) „human dopa decarboxylase“ (DDC) adressiert ist und dazu den Vektor rAAV2-hAADC



verwendet. Der Vektor hat ein Wildtyp-(WT)-AAV2-Capsid, welches das DDC-Gen-Insert einkapselt. Basierend auf der Seltenheit der Erkrankung und fehlenden zugelassenen Behandlungsalternativen bei AADC-Mangel erteilte die Europäische Kommission 2016 die Orphan Designation für diese Therapie (Eladocagene Exuparvovec, Handelsname Upstaza™, EU/3/16/1786).

Eladocagene Exuparvovec (Upstaza™) wird bilateral mittels etablierter stereotaktischer neurochirurgischer Verfahren direkt in das Putamen des Gehirns injiziert. Es werden handelsübliche stereotaktische Leitsysteme verwendet, die auch z.B. zur Tiefenhirnstimulation bei Morbus Parkinson eingesetzt werden.

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

Laut Angaben des statistischen Bundesamtes werden ca. 2.500 stationäre Fälle pro Jahr mit Hauptdiagnosen aus der Gruppe G24.- Dystonie registriert, z.B. für das Jahr 2017 insgesamt 2.564 Fälle (GENESIS Online Datenbank, Krankenhauspatienten: Deutschland, Jahre, Hauptdiagnose ICD-10 (1-3-Steller Hierarchie), Zugriff am 20.01.2020). Eine genauere Differenzierung ist anhand der veröffentlichten Daten nicht möglich. Eine Teilmenge dieser Fälle betrifft die Patienten mit der Hauptdiagnose G24.8 Sonstige Dystonie, zu denen wiederum die Teilmenge der Patienten mit AADC-Mangel gehört. Daher wird parallel zu diesem Antrag ein Antrag zur Weiterentwicklung des ICD-10-GM zur Ermöglichung einer spezifischen Kodierung gestellt.

Bei Umsetzung des Vorschlages wird die Gruppe der Patienten mit AADC (geschätzte Inzidenz in Deutschland: kleiner 20 / Jahr) identifizierbar. Da der Kostenunterschied aufgrund der hochpreisigen Genterapie für die AADC (Größenordnung voraussichtlich im siebenstelligen €-Betrag) für einen relevanten Kostenbetrag im Gesundheitswesen sorgt, ist trotz der kleinen Fallzahl eine differenzierte Möglichkeit der Kodierung der Therapie wesentlich.

Hinweis: Es wurde Behandlungszentrums-seitig eine Anfrage gemäß § 6 Abs. 2 KHEntgG für Neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden für dieses Verfahren gestellt. Das InEK hat am 30.01.2021 das Verfahren mit dem Status 4 und der Fußnote "Das Zulassungsrecht bleibt von der Anerkennung als Neue Untersuchungs- und Behandlungsmethode unberührt" klassifiziert. Und weiter: "Die Kostenträger entscheiden im Einzelfall, ob die Kosten dieses Verfahrens übernommen werden" aufgeführt (Position 802 der Liste).

Im Rahmen des InEK-Bescheid zu den NUB-Anträgen wurde für 2022 veröffentlicht, dass Eladocagene Exuparvovec den neunten Status 11 erhalten hat, der bestätigt, dass die Kriterien einer NUB ab Zeitpunkt der Zulassung (erwartet für Mitte 2022) erfüllt sind. Wörtlich heißt es zu dem Status: „ 11: Ab dem Zeitpunkt der Zulassung des bei der angefragten Methode/Leistung verwendeten Arzneimittels (siehe § 6 Abs. 2 Satz 10 KHEntgG): Status 1 (Kriterien der NUB-Vereinbarung der Vertragsparteien erfüllt)“.

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)

Hwu, WL., Muramatsu, S., Tseng, SH., Tzen, KY., Lee, NC., Chien, YH., et al. Gene therapy for aromatic L-amino acid decarboxylase deficiency. *Sci Transl Med.* 2012 May 16;4(134):134ra61.

Wassenberg, T., Molero-Luis, M., Jeltsch, K., Hoffmann, GF., Assmann, B., Blau, N., et al. Consensus guideline for the diagnosis and treatment of aromatic L-amino acid decarboxylase (AADC) deficiency. *Orphanet Journal of Rare Diseases.* 2017 18 Jan;12 (1) (no pagination)(12).

Chien, Y.-H., Lee, N.-C., Tseng, S.-H., Tai, C.-H., Muramatsu, S., Byrne, B. J., Hwu, W.-L. Efficacy and safety of AAV2 gene therapy in children with aromatic L-amino acid decarboxylase deficiency: an open-label, phase 1/2 trial. *Lancet Child Adolesc. Health* 1: 265-273, 2017.

Kojima, K., Nakajima, T., Taga, N., Miyauchi, A., Kato, M., Matsumoto, A., Ikeda, T., Nakamura, K., Kubota, T., Mizukami, H., Ono, S., Onuki, Y., Sato, T., Osaka, H., Muramatsu, S., Yamagata, T. Gene therapy improves motor and mental function of aromatic L-amino acid decarboxylase deficiency. *Brain* 142: 322-333, 2019.

Boehnke, A., Minartz, C., Radeck-Knorre, S., Schwenke, C., Neubauer, AS., Gentherapie für seltene Erkrankungen: Unterschiede zu chronischer Therapie und Beispiel AADC-Mangel. *Gesundheitsökonomie und Qualitätsmanagement.* 2021 (online first). DOI: 10.1055/a-1629-7213.

e. Kosten (ggf. geschätzt) des Verfahrens *

Die Kosten werden über 1.000.000 € betragen. Da keine vergleichbaren Verfahren existieren (für die Behandlung kommen bisher nur supportive Maßnahmen in Frage), gibt es keine Angaben zu Kostenunterschieden. Die genaue Höhe der Kosten des Verfahrens steht noch nicht fest, wird jedoch über dem Betrag von 1.000.000 € für die Durchführung der Einmal-Gentherapie einschließlich Vorbereitung und Nachsorge liegen.

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

Da keine vergleichbaren Verfahren existieren (für die Behandlung kommen bisher nur supportive Maßnahmen in Frage), gibt es keine Angaben zu Kostenunterschieden.

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

Die genaue Fallzahl kann nur abgeschätzt werden, wird aber im niedrigen zweistelligen Bereich pro Jahr (unter 20/Jahr) liegen.

**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.)

Der Vorschlag ist für die Weiterentwicklung der externen Qualitätssicherung relevant, da die neuartige Therapiemöglichkeit der Gentherapie fortlaufend in Registern in Bezug auf ihre Wirksamkeit evaluiert wird. Auch dazu ist eine Identifikation der Fallgruppe und insbesondere eine Identifikation der Aufenthalte zur Therapie relevant.

9. 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)

Das Verfahren ist neu, es gibt daher keine bisherige Kodierung.

10. Sonstiges

(z.B. Kommentare, Anregungen, Literaturangaben bitte ausschließlich unter 8.d aufführen)