

## **Gemeinsame Schiedsstelle nach § 130b Abs. 5 SGB V**

In dem Schiedsverfahren

GKV-Spitzenverband,  
vertreten durch den Vorstand,  
Reinhardtstraße 28,  
10117 Berlin,  
im Folgenden: GKV-Spitzenverband

- Antragsteller -

gegen

VANDA Pharmaceuticals Limited,  
25 Old Broad Street, 21st Floor,  
EC2N 1HN London,  
Vereinigtes Königreich,  
im Folgenden: VANDA,

Verfahrensbevollmächtigte:     Dierks + Bohle Rechtsanwälte Partnerschaft mbB,  
   Kurfürstendamm 195,  
   10707 Berlin

- Antragsgegner -

wegen:     Antrag auf Festsetzung des Vertragsinhalts für das Arzneimittel  
                 Tasimelteon (Hetlioz®) nach § 130b Abs. 4 SGB V  
                 – Verfahren 130b-SSt. 14-17 –

trifft die gemeinsame Schiedsstelle nach § 130b Abs. 5 SGB V, unter dem Vorsitz von Prof. Dr. Jürgen Wasem, den unparteiischen Mitgliedern Dr. Heinz Riederer und Dr. Herbert Reichelt sowie Franziska Arndt, Dr. Antje Haas sowie Jörn Grotjahn und Mihael H. Polymeropoulos als weitere Mitglieder, zu der Vereinbarung zwischen GKV-Spitzenverband und VANDA nach § 130b Absatz 1 Satz 1 SGB V aufgrund der mündlichen Verhandlung vom 17.10.2017 folgenden

**Schiedsspruch:**

1. Die zwischen den Parteien konsentierten Vertragsinhalte werden entsprechend der Anlage 12 des Antrages des GKV-Spitzenverbandes vom 29.09.2017 festgesetzt.
2. Eine Veröffentlichung der konsentierten Vertragsinhalte erfolgt nicht.
3. § 2 Abs. 4 Satz 1 des Vertrags wird wie folgt festgesetzt: „Der Erstattungsbetrag je Bezugsgröße beträgt ab dem 01.08.2017 Euro 189,21.“
4. Die Tabelle zu § 2 Abs. 6 erhält folgende Fassung:

PZN	Betrag und Einheit der Bezugsgröße	Anzahl und Darreichungsform des Packungsinhalts	Wirkstoffmenge pro Darreichungsform	Anzahl Bezugsgrößen	Erstattungsbetrag pro Bezugsgröße	Erstattungsbetrag
11287045	20 mg Tasimelteon	30 Hartkapseln	20 mg	30	189,21 €	5.676,30 €

5. Anlage 1 zur Praxisbesonderheit wird wie folgt festgesetzt:

„Die Verordnung von Hetlioz® (Wirkstoff: Tasimelteon) ist ab dem 01.08.2017 von der Prüfungsstelle und dem gemeinsamen Beschwerdeausschuss (§ 106c SGB V) ab dem ersten Behandlungsfall als Praxisbesonderheit ausschließlich bei völlig blinden Erwachsenen zur Behandlung des Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndroms (Non-24) laut G-BA-Beschluss vom 19. Januar 2017 anzuerkennen, solange Hetlioz® von Vanda Pharmaceuticals Ltd. in Deutschland vertrieben wird.

Es muss durch einen Arzt dokumentiert sein, dass die Patienten keine Lichtwahrnehmung mehr aufweisen. Die Diagnose anderer gegenwärtiger Schlafstörungen muss ausgeschlossen sein.

Die Einleitung und die Überwachung der Behandlung mit Hetlioz® soll nur durch in der Therapie von völlig blinden Erwachsenen mit Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndrom erfahrene Fachärzte erfolgen. Es besteht keine Beschränkung auf bestimmte Fachgruppen.

Der G-BA hat in seinem Beschluss vom 19. Januar 2017 das Ausmaß des Zusatznutzens von Tasimelteon als nicht quantifizierbar bewertet.

Das Ansprechen des Patienten auf Hetlioz® ist vom Arzt im Rahmen eines klinischen Gesprächs zu evaluieren und zu dokumentieren. Dieses Gespräch soll spätestens drei Monate nach Behandlungsbeginn erfolgen.

Die Anerkennung als Praxisbesonderheit gilt nicht bei der Anwendung von Hetlioz® außerhalb der gesetzlich bestimmten Bedingungen im Rahmen eines nicht bestimmungs-gemäßen Gebrauchs („off label use“).

- 6.** Die Schiedsstelle behält ihre bewährte Praxis der Veröffentlichung gemäß der Geschäftsordnung bei.
- 7.** Die übrigen Anträge beider Seiten werden zurückgewiesen.

## **Gründe:**

### **1.**

#### **Verfahren**

- 1.1. Antrag auf Festsetzung des Vertragsinhalts für das Arzneimittel Hetlioz®  
(Wirkstoff: Tasimelteon) nach § 130b Abs. 4 SGB V

Mit Schriftsatz vom 26.07.2017, eingegangen vorab per Fax bei der Geschäftsstelle der Schiedsstelle am gleichen Tag, beantragte der GKV-Spitzenverband die Festsetzung des Vertragsinhalts für das Arzneimittel Hetlioz® nach § 130b Abs. 4 SGB V.

In dem Antrag wurden der Sachverhalt erläutert, ein zusammenfassendes Ergebnis der Verhandlungen dargelegt und die Teile der Vereinbarung aufgeführt, über die sich die Vertragspartner nicht einigen konnten. Dem Antrag war die Vereinbarung nach § 130b Abs. 1 S. 1 SGB V beigefügt, die die konsentierten und dissentierenden Vertragsteile enthielt.

- 1.2. Sachverhalt und Ablauf des Verfahrens

Vanda hat ein Arzneimittel mit dem Wirkstoff Tasimelteon in Form des Fertigarzneimittels Hetlioz® entwickelt. Hetlioz® hat von der EMA eine Zulassung erhalten für die Behandlung des Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndroms (Non-24). Es handelt sich um ein Arzneimittel, das zur Behandlung eines seltenen Leidens nach der Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16.12.1999 über Arzneimittel für seltene Leiden zugelassen ist.

Zum 01.08.2016 hat Vanda das vertragsgegenständliche Arzneimittel in Deutschland erstmalig in Verkehr gebracht. Der Gemeinsame Bundesausschuss (im Folgenden: G-BA) hat die Nutzenbewertung unter Berücksichtigung von § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V durchgeführt und das IQWiG mit der Bewertung der Angaben des pharmazeutischen Unternehmers in Modul 3 des Dossiers zu Therapiekosten und Patientenzahlen beauftragt. Die Nutzenbewertung wurde am 01.11.2016 zusammen mit der Bewertung des IQWiG auf den Internetseiten des G-BA veröffentlicht und damit das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Es wurde darüber hinaus am 05.12.2016 eine mündliche Anhörung durchgeführt. Am 19.01.2017 hat der G-BA in seinem Nutzenbewertungsbeschluss festgestellt, dass das vertragsgegenständliche Arzneimittel einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen habe. Der Beschluss hat außerdem Feststellungen zur Anzahl der für die Behandlung in Betracht kommenden Patienten getroffen, Ausführungen zu Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung getätigt sowie Aussagen zu den Therapiekosten gemacht. Mit Beschluss vom 16.03.2017 hat der G-BA seine Feststellungen zu den Anforderungen an eine qualitätsgesicherte Anwendung geändert.

Zwischen dem 13.02.2017 und dem 06.06.2017 haben VANDA und der GKV-Spitzenverband Preisverhandlungen geführt. In diesen Verhandlungen konnten sich pharmazeutischer Hersteller und GKV-Spitzenverband über zahlreiche Gegenstände der zu schließenden Vereinbarung einigen. Eine Reihe von zu regelnden Fragen blieben allerdings streitig. Daraufhin hat der GKV-Spitzenverband mit Schriftsatz vom 26.07.2017 die Schiedsstelle nach § 130b Abs. 5 SGB V angerufen. Im Nachgang konnten sich die Vertragsparteien noch auf weitere Regelungen einigen, so dass schließlich alleine die Festsetzung des Erstattungsbetrages und die Ausformulierung der festzusetzenden Praxisbesonderheit strittig blieben.

Der Vorsitzende der Schiedsstelle hat mit Verfügung vom 03.08.2017 beide Seiten aufgefordert, bis 28.08.2017 konkretisierende Anträge zuzuleiten. Auf Antrag des GKV-Spitzenverbandes vom 15.08.2017 wurde die Frist mit Verfügung des Vorsitzenden vom 16.08.2017 auf den 22.09.2017 verlängert. Die BAG Selbsthilfe hat mit Schriftsatz vom 22.09.2017 gemäß § 140f SGB V die Patientenvertreter benannt. Auf Antrag des GKV-Spitzenverbandes vom 19.09.2017 wurde die Frist nochmalig, nunmehr auf den 29.09.2017 verlängert. Beide Seiten haben jeweils mit Schriftsatz vom 29.09.2017 ihre konkretisierenden Anträge eingereicht.

Die Schiedsstelle hat in der mündlichen Verhandlung am 17.10.2017 den Vereinbarungspartnern ausführliche Gelegenheit zur Darstellung ihrer Anträge gegeben und diese umfassend mit beiden Seiten erörtert. Alle insbesondere um die Höhe des Erstattungsbetrages und seine Komponenten kreisenden Fragen wurden intensiv besprochen. Der Vorsitzende hat sich mehrfach vergewissert, dass sowohl VANDA als auch der GKV-Spitzenverband alle aus ihrer Sicht relevanten Argumente einbringen konnten. Während der Sitzung haben der GKV-Spitzenverband und VANDA ihre originalen Anträge zur Ausgestaltung der Praxisbesonderheiten zurückgezogen und modifizierte Anträge eingebracht. Auch diese wurden intensiv mit beiden Seiten erörtert. Nachdem der Schiedsspruch von der Schiedsstelle festgesetzt war, hat der Vorsitzende ihn den Beteiligten erläutert und Gelegenheit zu Rückfragen durch die Parteien gegeben.

## **2.**

### **Erwägungen der Schiedsstelle**

- 1.** Die Schiedsstelle musste im Rahmen des Bemühens um eine sachgerechte Lösung einerseits und um einen fairen Interessenausgleich zwischen beiden Seiten andererseits, sowohl den Antrag des GKV-Spitzenverbandes als auch den Antrag von VANDA zurückweisen.
- 2.** Die Schiedsstelle hat ihren Beschluss zur Festsetzung der dissent gebliebenen Teile des Vertragsinhaltes bei Beachtung der gesetzlichen Vorgaben im Rahmen der pflichtgemäßen Ausübung des Schiedsgremien auch von der Rechtsprechung eingeräumten weiten Ermessensspielraumes festgesetzt. Sie hat sich dabei ausgiebig mit den von beiden Seiten vorgebrachten Argumenten und vorgelegten Materialien befasst. In der mündlichen Verhandlung haben die Mitglieder der Schiedsstelle umfassende Nachfragen gestellt, die ihnen in Ergänzung der Unterlagen und Ausführungen der Parteien einen tieferen Einblick ermöglichten.

3. Beide Seiten haben ausführliche Gelegenheit zum Einbringen aller Argumente erhalten und insoweit umfassend Gelegenheit zum rechtlichen Gehör bekommen. Auch in der Schiedsstelle selber haben die von beiden Seiten benannten Vertreter umfassend Gelegenheit gehabt, in die Entscheidungsfindung die Aspekte der jeweiligen Seite einzubringen. In der Beschlussfassung hat die Schiedsstelle den gesetzlichen Auftrag berücksichtigt, keine schematische Lösung festzusetzen, sondern eine freie Würdigung des Einzelfalles unter Beachtung der Besonderheit des Therapiegebietes vorzunehmen.
4. Streitig war zwischen den Parteien insbesondere die Höhe des Erstattungsbetrages. Bei Arzneimitteln mit Zusatznutzen wird der Erstattungsbetrag durch einen Zuschlag auf die Jahrestherapiekosten der zweckmäßigen Vergleichstherapie vereinbart.
  - a) Dabei finden bei der Festsetzung des Erstattungsbetrages auf der Basis von § 130b SGB V gem. § 5 Abs. 2 und § 6 der Rahmenvereinbarung die folgenden Kriterien Anwendung:
    - insbesondere der Beschluss des G-BA über die Nutzenbewertung nach § 35a Abs. 3 SGB V, mit den darin getroffenen Feststellungen gemäß § 20 Abs. 3 des 5. Kapitel der Verfahrensordnung des G-BA,
    - das vom pharmazeutischen Hersteller erstellte Dossier nach § 35a Abs. 1 Satz 3 SGB V einschl. der gemäß § 4 Abs. 4 Satz 2 AMNutzenV nachgereichten und vom G-BA berücksichtigten Unterlagen,
    - tatsächliche Abgabepreise in anderen europäischen Ländern und
    - Jahrestherapiekosten vergleichbarer Arzneimittel.
  - b) Vorliegend bestand Konsens zwischen beiden Seiten, dass es keine vergleichbaren Arzneimittel gibt; die Schiedsstelle hat sich dieser Einschätzung angeschlossen. Auch ist das vertragsgegenständliche Arzneimittel bislang innerhalb Europas nur in Deutschland in den Verkehr gebracht worden, so dass auch die tatsächlichen Abgabepreise in anderen europäischen Ländern nicht berücksichtigt werden können. Außerdem liegt keine zweckmäßige Vergleichstherapie vor. Vor diesem Hintergrund kann der Erstattungsbetrag im Wesentlichen nur durch die Monetarisierung des Zusatznutzens gebildet werden. Beide Seiten haben hier unterschiedliche Auffassungen vertreten.
  - c) VANDA hat einen Erstattungsbetrag beantragt, der zu Jahrestherapiekosten (unter Ablösefiktion) von 93.899 Euro führen würde. Damit verknüpft war ein Modell, bei dem der Erstattungsbetrag in dem Fall sinken würde, dass die erwarteten Absatzmengen um mehr als 20 % überschritten werden. VANDA begründet dies zum einen damit, dass dieser Erstattungsbetrag angesichts der Schwere der Erkrankung und des Ausmaßes des von Tasimelteon gezeigten Zusatznutzens angemessen sei. Andererseits wird darauf verwiesen, dass der geforderte Erstattungsbetrag angesichts der kleinen Patientenzahlen zur Refinanzierung der For-

schungs- und Entwicklungskosten erforderlich sei. Auch sei ein Erstattungsbetrag in dieser Größenordnung erforderlich, da nur so das Arzneimittel auf dem Markt gehalten und den Patienten verfügbar gemacht werden könne. Der Hersteller verwies darauf, dass der geforderte Preis unterhalb des auf dem US-Markt geforderten Preises läge. VANDA betont, dass das LSG Berlin-Brandenburg in seiner Rechtsprechung (ER-Verfahren zu Albiglutid, L 9 KR 437/16 KL ER) betont habe, dass auch „Kostengesichtspunkte“ und die „Sicherstellung der Versorgung der Versicherten der gesetzlichen Krankenversicherung“ von der Schiedsstelle berücksichtigt werden können.

- d) Der GKV-Spitzenverband hat dem gegenüber einen Erstattungsbetrag beantragt, der zu Jahrestherapiekosten (unter Ablösefiktion) von 5.000 Euro führen würde. Er begründet dies damit, dass der Gemeinsame Bundesausschuss keinen einzigen patientenrelevanten Endpunkt habe identifizieren können, für den der pharmazeutische Hersteller einen Zusatznutzen gezeigt habe. Auch sei etwa ein Therapieversuch mit Melatonin von den medizinischen Fachkreisen diskutiert worden, der zu Jahrestherapiekosten von nur wenigen Hundert Euro führe. Des Weiteren habe die Schiedsstelle in ihrem Beschluss zum Erstattungsbetrag von Idebenon (Az. 130b-SSt. 12-16) implizit den Zusatznutzen mit rd. 37.000 Euro monetarisiert. Idebenon sei ebenfalls im Therapiefeld Blindheit angesiedelt, habe auch einen nicht quantifizierbaren Zusatznutzen, berge aber das Potenzial, Blindheit zu vermeiden. Dies läge hier nicht vor, so dass der Erstattungsbetrag von Tasimelteon deutlich darunter liegen müsse. Der GKV-Spitzenverband verweist darüber hinaus darauf, dass im Morbi-RSA für die Krankheit keine besonderen Zuschläge zugewiesen würden, die Patienten daher c.p. nur die Zuschläge nach Alter und Geschlecht auslösen würden. Da diese bei rd. 2.000 Euro pro Jahr lägen, zeige auch dies die Angemessenheit des von ihm angebotenen Erstattungsbetrages.
- e) Die Schiedsstelle hat sich entschieden, das Ausmaß des Zusatznutzens mit 65.000 Euro (unter Ablösefiktion) zu monetarisieren. Die Monetarisierung eines vom G-BA als „nicht quantifizierbar“ eingeschätzten Zusatznutzens ist mit erheblichen Schwierigkeiten verbunden. Dies gilt insbesondere in Fällen, in denen weder Preise vergleichbarer Arzneimittel noch Preise aus anderen europäischen Ländern vorliegen. Die Monetarisierung verlangt eine Quantifizierung des Zusatznutzens in Euro, während der G-BA eine Quantifizierung des Zusatznutzens nicht für möglich angesehen hat.

Die Schiedsstelle hat sich daher zunächst mit den Argumentationen beider Seiten auseinandergesetzt. Sie erachtet dabei die Begründungen des GKV-Spitzenverbandes für einen Erstattungsbetrag in Höhe von 5.000 Euro Jahrestherapiekosten nicht für geeignet. Es gibt kein zugelassenes Arzneimittel Melatonin in dieser Indikation, so dass dies nicht als Referenz – auch nicht als Ausgangspunkt – für einen (ohnehin problematischen) Multiplikator in Betracht kommen kann. Auch handelt es sich bei der in Rede stehenden Erkrankung nicht um ein der Blindheit verwandtes Phänomen, so dass der Bezug auf Idebenon nicht geeignet ist. Schließlich erachtet die Schiedsstelle den Bezug auf den Morbi-RSA zumindest im vorliegenden Fall für völlig verfehlt, da dessen Zuweisungen – zumindest vorliegend – in keiner Weise

als Ausdruck der gesellschaftlichen Zahlungsbereitschaft für Zusatznutzen angesehen werden können.

Die Schiedsstelle reflektiert wie der pharmazeutische Hersteller, dass es sich um eine schwere Erkrankung handelt, die die Fähigkeit der Patienten, ein im Rahmen ihrer Blindheit normales Leben zu führen, erheblich beeinträchtigt. Auch wenn der G-BA die Studienparameter nicht als patientenrelevant beurteilt hat, so hat er einzelne dieser Endpunkte gleichwohl zur Bewertung herangezogen und die von der europäischen Zulassungsbehörde anerkannten signifikanten Studienergebnisse in seinem Beschluss referiert. Auch berücksichtigte die Schiedsstelle, dass Tasimelteon ausweislich der Fachinformation in der SET-Studie den zirkadianen Rhythmus bei einer Patientengruppe bis Monat 7 bei 59 % der behandelten Patienten synchronisierte, was unabhängig von der Validierung der erhobenen Parameter als patientenrelevant für eine hohe Wirksamkeit des Arzneimittels spricht. Die Schiedsstelle bedauert, dass der Hersteller keine Daten zur Lebensqualität erhoben hat. Sie berücksichtigt allerdings, dass es in hohem Maße plausibel erscheint, dass eine größere Menge Schlaf in der Nacht und eine geringere Menge Schlaf am Tag für die Patienten durchaus auch ohne formale Validierung relevant sein dürfte. Sie hat in der Verhandlung mit dem themenbezogenen Patientenvertreter gesprochen, der aus Diskursen in der Selbsthilfebewegung von anekdotischer Evidenz der Bedeutung dieser Unterschiede in den Schlafmengen bei Anwendung des Arzneimittels für die Lebensführung berichtete.

Die Schiedsstelle geht davon aus, dass es keine schematische Lösung für den Erstattungsbetrag gerade bei Orphan Drugs mit nicht-quantifizierbarem Zusatznutzen geben kann. Sie stellt fest, dass jeweils zu treffende arzneimittelindividuelle Entscheidungen in der Spruchpraxis der Schiedsstelle zu weiten Spannbreiten der Erstattungsbeträge geführt haben. So hat ausweislich des Schiedsspruchs im Schiedsverfahren zu Ataluren (Az. 130b-SSt. 16-15) in 2016 bei einem Orphan Drug mit einem geringen Zusatznutzen und in etwa vergleichbaren Patientenzahlen die Schiedsstelle Jahrestherapiekosten von (unter Ablösefiktion) rd. 152.000 Euro festgelegt; in jenem Verfahren hatte – ausweislich der Erwägungen der Schiedsstelle – der GKV-Spitzenverband ein Angebot von Jahrestherapiekosten in Höhe von rd. 92.000 Euro unterbreitet. Letztlich muss die Schiedsstelle eine normative Entscheidung zur Wertigkeit des Zusatznutzens treffen. Sie hat diesen vor dem skizzierten Hintergrund mit 65.000 Euro Jahrestherapiekosten bewertet.

- f) Zwischen beiden Seiten bestand Konsens, dass die Herstellerabschläge nicht abgelöst werden sollen. Aus Jahrestherapiekosten von 65.000 Euro (unter Ablösefiktion) resultiert daher (dies ist in rechnerischer Hinsicht unstrittig) ein Erstattungsbetrag je Bezugsgröße in Höhe von 189,21 Euro. Entsprechend war die Tabelle in § 2 Abs. 6 zu befüllen.
- 5. Zwischen beiden Seiten bestand Übereinstimmung, dass eine Praxisbesonderheit festgesetzt werden sollte. Streitig war jedoch – auch nachdem beide Seiten während der Schiedsstellenverhandlung ihre ursprünglichen diesbezügliche Anträge modifiziert und insoweit den Streitgegenstand verkürzt hatten – die genaue Ausgestaltung. Insbesondere begehrte



der GKV-Spitzenverband, dass an den vorletzten (mit „Die EMA...“ beginnenden) Absatz folgender Satz angefügt werden möge: „Resultiert aus diesem Gespräch ein Nichtansprechen, so gilt die Weiterverordnung von Hetlioz® nicht weiter als Praxisbesonderheit.“ Die Schiedsstelle hat sich insbesondere vor dem Hintergrund gegen diese Ergänzung ausgesprochen, da aufgrund der individuell heterogenen Synchronisationen ein Ansprechen auch zu einem späteren Zeitpunkt als nach drei Monaten erfolgen kann.

- 6.** Die übrigen und weitergehenden Anträge der beiden Seiten waren entsprechend abzulehnen.

### Rechtsbehelfsbelehrung:

Gegen diesen Schiedsspruch kann innerhalb eines Monats nach Zustellung beim

Landessozialgericht Berlin-Brandenburg,  
Försterweg 2 – 6,  
14482 Potsdam,

schriftlich, in elektronischer Form oder zur Niederschrift des Urkundsbeamten der Geschäftsstelle  
Klage erhoben werden.

Berlin und Troisdorf, den 23.10.2017

**gez. Jürgen Wasem**

Der Vorsitzende der Gemeinsamen Schiedsstelle nach § 130b Abs. 5 SGB V  
Prof. Dr. Jürgen Wasem

+

Gemäß § 42 VwVfG wird auf Seite 1 im Schiedsspruch vom 23.10.2017 der Name von Mihael (nicht: Michal) H. Polymeropoulos wegen offensichtlicher Unrichtigkeit berichtigt.

Berlin und Troisdorf, den 14.11.2017

fürzen wazem  
Der Vorsitzende der Gemeinsamen Schie

Der Vorsitzende der Gemeinsamen Schiedsstelle nach § 130b Abs. 5 SGB V  
Prof. Dr. Jürgen Wasem