

Gemeinsame Schiedsstelle nach § 130b Abs. 5 SGB V

In dem Schiedsverfahren

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

- Antragsteller -

gegen

PTC Therapeutics International Limited,
vertreten durch den Geschäftsführer,
Fitzwilliam Business Centre
77 Sir John Rogerson's Quay
Dublin 2, Irland,
im Folgenden: PTC

- Antragsgegnerin -

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

wegen: Antrag auf Festsetzung des Vertragsinhalts für TranslarnaTM (Ataluren) nach
§ 130b Abs. 4 SGB V
– Verfahren 130b-SSt. 9-17 –

Gemeinsame Schiedsstelle nach § 130b Abs. 5 SGB V mit

Herrn Prof. Dr. Jürgen Wasem

- als Vorsitzenden -

Herrn Dr. Herbert Reichelt

Herrn Prof. Dr. Dr. Nagels (kurzfristige Absage)

- als unparteiische Mitglieder der Schiedsstelle -

sowie

Herrn Dr. Martin Krasney,
Frau Dr. Antje Haas,
Herrn Dr. Guido Schopen,
Herrn Jörn Grotjahn

-als weitere Mitglieder der Schiedsstelle-.

A.

Die Mitglieder der Schiedsstelle treffen zu der Vereinbarung zwischen dem GKV-Spitzenverband und PTC nach § 130b Abs. 1 S. 1 SGB V aufgrund der mündlichen Verhandlung vom 28.08.2017 folgenden

Schiedsspruch:

1. Die zwischen den Parteien konsentierten Vertragsinhalte werden entsprechend der Anlage 15 des konkretisierenden Antrags des GKV-Spitzenverbandes festgesetzt.
2. Eine Veröffentlichung der konsentierten Vertragsinhalte erfolgt nicht.
3. § 2 Abs. 4 wird wie folgt festgesetzt:
„Der Erstattungsbetrag je Bezugsgröße beträgt ab dem 01.06.2017 EURO 14,00. Er gilt für alle von dieser Vereinbarung umfassten Fertigarzneimittel.“
4. Die Schiedsstelle behält ihre bewährte Praxis der Veröffentlichung gemäß der Geschäftsordnung bei.
5. Die übrigen und weitergehenden Anträge beider Seiten werden zurückgewiesen.

B.

Gründe:

1.

Verfahren

1.1. Antrag auf Festsetzung des Vertragsinhalts für das Arzneimittel TranslarnaTM (Wirkstoff: Ataluren) nach § 130b Abs. 4 SGB V

Mit Schreiben vom 01.06.2017, eingegangen vorab per Telefax bei der Geschäftsstelle der Schiedsstelle am gleichen Tag, beantragte der GKV-Spitzenverband die Festsetzung des Vertragsinhalts für das Arzneimittel TranslarnaTM nach § 130b Abs. 4 SGB V.

Der Antrag erläuterte den Sachverhalt, legte ein zusammenfassendes Ergebnis der Verhandlungen dar und führte die Teile der Vereinbarung an, über die sich die Vertragspartner nicht einigen konnten. Dem Antrag war der Text einer Vereinbarung nach § 130b Abs. 1 S. 1 SGB V beigelegt, der die konsentierten und die dissentierenden Vertragsteile enthielt.

1.2. Sachverhalt und Ablauf der Verfahrens

PTC hat ein Arzneimittel mit dem Wirkstoff Ataluren in Form des Fertigarzneimittels TranslarnaTM entwickelt. TranslarnaTM hat von der EMA eine Zulassung erhalten für die Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie infolge einer Nonsense-Mutation im Dystrophin-Gen bei gehfähigen Patienten im Alter ab 5 Jahren. Bei nicht-gehfähigen Patienten wurde keine Wirksamkeit nachgewiesen. Das Vorliegen einer Nonsense-Mutation im Dystrophin-Gen ist durch Gentest nachzuweisen. 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 01.12.2014 hatte PTC das vertragsgegenständliche Arzneimittel in Deutschland erstmalig in Verkehr gebracht. Der Gemeinsame Bundesausschuss (im Folgenden: G-BA) hatte die Nutzenbewertung unter Berücksichtigung von § 35a Abs. 1 Satz 10 SGB V durchgeführt und am 21.05.2015 in seinem Nutzenbewertungsbeschluss festgestellt, dass das vertragsgegenständliche Arzneimittel einen geringen 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.

Anschließend hatten PTC 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, insbesondere: der Erstattungsbetrag, blieben allerdings streitig. Daraufhin hatte die Schiedsstelle mit Schiedsspruch vom 25.02.2016 zu den streitig gebliebenen Vertragsgegenständen den Vertragsinhalt, darunter den Erstattungsbetrag, festgesetzt. Der Schiedsspruch ist bestandskräftig. Er ist von keiner Seite angegriffen worden.

Der o.g. Nutzenbewertungsbeschluss des G-BA war bis 01.06.2016 befristet. Entsprechend hat PTC am 01.06.2016 erneut ein Dossier beim G-BA eingereicht. Der G-BA hat daraufhin das Bewertungsverfahren eröffnet und die Nutzenbewertung am 01.09.2016 auf seiner Homepage veröffentlicht. Zugleich hat er das IQWiG mit einer Analyse der Angaben des Dossiers zu den Kosten und den Patientenzahlen beauftragt, welches seinen Bericht am 31.08.2016 vorgelegt hat. Am 10.10.2016 fand die mündliche Anhörung des G-BA statt. Am 01.12.2016 hat der G-BA über die Nutzenbewertung entschieden und erneut festgelegt, dass Ataluren einen geringen Zusatznutzen habe.

Im Anschluss an den G-BA-Beschluss fanden zwischen Januar und April 2017 Preisverhandlungen zwischen PTC und dem GKV-Spitzenverband statt. Die Vertragsparteien haben sich bis auf den Erstattungsbetrag auf alle vertraglichen Regelungen verständigt (darunter auch auf die Mengenregelung). Mit Schreiben vom 01.06.2017 hat der GKV-Spitzenverband die Schiedsstelle angerufen, die das Verfahren mit Verfügung vom 14.06.2017 eröffnet hat. Die konkretisierenden Anträge wurden am 17.07.2017 (GKV-Spitzenverband) bzw. 18.07.2017 (PTC) eingereicht. Mit Verfügung vom 20.07.2017 hat der Vorsitzende der Schiedsstelle für den 28.08.2017 zur Schiedsstellenverhandlung geladen.

Die Schiedsstelle hat in der mündlichen Verhandlung am 28.08.2017 den Vereinbarungspartnern ausführliche Gelegenheit zur Darstellung ihrer Anträge gegeben und diese umfassend mit beiden Seiten erörtert. Alle um die Höhe des Erstattungsbetrages und seine Komponenten kreisenden Fragen wurden intensiv besprochen. Der Vorsitzende hat sich mehrfach vergewissert, dass sowohl PTC als auch der GKV-Spitzenverband alle aus ihrer Sicht relevanten Argumente einbringen konnten. Die gemäß § 130b Abs. 5 Satz 3 SGB V teilnehmenden Patientenvertreterinnen sind in die

Erörterungen einbezogen worden. Nachdem der Schiedsspruch von der Schiedsstelle festgesetzt war, hat der Vorsitzende ihn den Beteiligten erläutert.

2.

Erwägungen der Schiedsstelle

1. a) Die Schiedsstelle hatte mit dem Schiedsspruch vom 25.02.2016 einen Erstattungsbetrag je Bezugsgröße in Höhe von 14,00 Euro festgesetzt. Dies entspricht – bei Zugrundelegung der im G-BA-Beschluss getroffenen Feststellungen zum durchschnittlichen Gewicht der Patienten – durchschnittlichen Jahrestherapiekosten pro Patient von rd. 165.000 Euro. Dieser Verwaltungsakt der Schiedsstelle ist bestandskräftig geworden.

b) Der GKV-Spitzenverband hat beantragt, den Erstattungsbetrag erneut in Höhe von 14,00 Euro festzusetzen. Er begründet dies im Wesentlichen damit, dass der 2016 von der Schiedsstelle festgesetzte Erstattungsbetrag nutzenadäquat gewesen sei und es keine Veränderungen in der Sachlage gegeben habe, die eine Veränderung des Erstattungsbetrages rechtfertigen würde.

c) Demgegenüber hat PTC beantragt, den Erstattungsbetrag in einer Höhe von 30,50 Euro festzusetzen. Der pharmazeutische Hersteller begründet dies im Wesentlichen damit, dass neue Sachverhalte vorlägen, so dass eine Anpassung des Erstattungsbetrages sachgerecht wäre.

d) Die Schiedsstelle hat daher während der Verhandlung mit den Parteien und in den internen Gesprächen der Schiedsstellenmitglieder insbesondere eingehend geprüft, ob Veränderungen in den Sachverhalten vorliegen, die zur Festlegung im ersten Schiedsspruch geführt hatten.
2. a) Bei Arzneimitteln mit Zusatznutzen 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:
 - Ausmaß des Zusatznutzens gemäß G-BA-Beschluss und weitere dort getroffene Festlegungen, sowie die Nutzenbewertung und das Dossier des Herstellers,
 - tatsächliche Abgabepreise in anderen europäischen Ländern,
 - Jahrestherapiekosten vergleichbarer Arzneimittel.

Dabei wird der Erstattungsbetrag bei Arzneimitteln mit vom G-BA zuerkanntem Zusatznutzen als Zuschlag auf die Jahrestherapiekosten der zweckmäßigen Vergleichstherapie vereinbart.

b) Anhand dieser Kriterien hat die Schiedsstelle den etwaigen Anpassungsbedarf des in 2016 festgesetzten bestandskräftigen und insoweit von allen Seiten akzeptierten Erstattungsbetrages überprüft.

3. a) Das Ausmaß des Zusatznutzens beträgt im neuen Nutzenbewertungsbeschluss des G-BA unverändert „gering“. PTC hat hierzu zwei Punkte vorgetragen: Zum einen hat PTC festgestellt, dass die Datenbasis für den G-BA-Beschluss erweitert ist. Dies trifft zu: Während dem G-BA-Beschluss aus 2015 nur eine Phase-II-Studie zugrunde liegt, konnte der pharmazeutische Hersteller nunmehr auch Daten einer Phase-III-Studie im Dossier berücksichtigen und der G-BA sie entsprechend bewerten. Auch konnte der pharmazeutische Hersteller die beiden Studien nicht nur isoliert auswerten, sondern hierzu auch eine beide Studien integrierende Metaanalyse vornehmen.

b) Gleichwohl hat der erweiterte Datenpool in der Bewertung des G-BA nicht zu einer Verbesserung der Beurteilung des Arzneimittels geführt. Insbesondere ist auch in der Phase-III-Studie der primäre Endpunkt der Studie nicht erreicht worden.

c) Die Schiedsstelle ist der Auffassung, dass eine Erweiterung der Datenbasis eo ipso in Bezug auf die Monetarisierung des Zusatznutzens keine Verbesserung bedeutet. In Fällen, in denen mit einer Erweiterung der Datenbasis eine „Höherbewertung“ des Zusatznutzens einhergeht, hat die Schiedsstelle gegenüber zunächst getroffenen Vertragsvereinbarungen bzw. Schiedssprüchen einen höheren Erstattungsbetrag festgesetzt. Umgekehrt hat die Schiedsstelle auch den Erstattungsbetrag abgesenkt, wenn bei einer Neubewertung durch den G-BA das Ausmaß des Zusatznutzens von diesem geringer als in einer vorangegangenen Nutzenbewertung bewertet wurde. Vorliegend war beides hingegen nicht der Fall.

d) PTC führt in Bezug auf die Bewertung des Zusatznutzens des Weiteren an, der G-BA habe den Beschluss nunmehr entfristet, was eine Verbesserung der Beurteilung ausdrücke. Die von PTC getroffene Feststellung einer Entfristung trifft zu. Die Schiedsstelle interpretiert dies allerdings so, dass die Beurteilung des Zusatznutzens im Ausmaß „gering“ nunmehr (auch wegen der zusätzlich beigebrachten Daten der Phase-III-Studie) auf einer verlässlicheren Datenbasis steht. Auch hier ist

die Schiedsstelle allerdings der Auffassung, dass die Stabilität der Datenbasis für sich genommen keine Verbesserung mit Blick auf den Zusatznutzen darstellt und insoweit sich hieraus keine andere Monetarisierung des Zusatznutzens ableiten lässt. Hinzu kommt, dass die Schiedsstelle in ihrer bestandskräftigen Entscheidung vom 25.02.2016 die Befristung des Nutzenbewertungsbeschlusses vom 21.05.2015 auch nicht „preismindernd“ berücksichtigt hat, sondern ausschließlich die im Gesetz und in der Rahmenvereinbarung festgelegten Preiskriterien „Zusatznutzen“ und „Europa“.

4. a) Eine Veränderung im G-BA-Beschluss hat sich allerdings für die vom G-BA festgestellte Zahl der Patienten mit der Erkrankung ergeben: Hatte der G-BA im Beschluss aus 2015 die Zahl der Patienten auf 80-110 geschätzt, so schätzt er sie nunmehr auf 30-40. Der pharmazeutische Hersteller macht geltend, dass der G-BA-Beschluss insoweit bindend sei. Daraus folge, dass im Vergleich zur Schiedsstellensituation 2016 aktuell die Kosten für die Versichertengemeinschaft („Budget Impact“) geringer seien. PTC leitet daraus die Legitimation eines höheren Erstattungsbetrags ab.

b) Die Schiedsstelle hat sich ausführlich mit diesem Aspekt befasst. Sie konnte im Ergebnis aber offen lassen, inwieweit ein möglicher geringer gewordener Budget Impact relevant für die Monetarisierung des Zusatznutzens sein kann. Denn sowohl im ersten Erstattungsbetragsverfahren als auch in dem hier zur Entscheidung vorgelegten Erstattungsbetragsverfahren haben sich die Parteien jeweils einvernehmlich auf eine Patientenpopulation in im Wesentlichen beide Male gleicher Höhe geeinigt, die unterhalb der vom G-BA in seinem Beschluss von 2015 liegt. Dies ergibt sich neben den beiden vertraglichen Vereinbarungen insbesondere auch aus dem seinerzeitigen Vortrag im Februar 2016 von PTC in der Schiedsstelle, in welchem ausgeführt wurde, die G-BA-Patientenzahlen seien zu hoch und die in der Realität niedrigeren Zahlen führten zu einem geringeren Budget Impact und rechtfertigten insoweit einen höheren Erstattungsbetrag. Auf diesem niedrigeren Niveau liegen auch die Patientenzahlen, die PTC und der GKV-Spitzenverband sowohl 2016 als auch 2017 in den konsentierten Teil des Vertragstextes aufgenommen und daher nicht mit Blick auf das Schiedsstellenverfahren streitig gestellt haben.

c) Der G-BA-Beschluss ist nach nicht rechtskräftigen Urteilen des LSG Berlin-Brandenburg zwar auch hinsichtlich der Patientenzahlen bindend. Die Schiedsstelle geht aber davon aus, dass sie zumindest dann, wenn beide Seiten übereinstimmend andere Patientenzahlen als im G-BA-Beschluss als sachgerecht erachten und diese sogar vertraglich vereinbaren, diesen Fakt bei der Festsetzung des

Erstattungsbetrages zu berücksichtigen hat. Insofern liegt aus Sicht der Schiedsstelle daher keine Veränderung des Budget Impact für die Krankenkassen im Vergleich zur Situation beim Schiedsspruch in 2016 vor. Daher hat sich die Schiedsstelle nicht weitergehend mit der Frage eines möglichen Einflusses eines geringer werdenden Budget Impacts auf die Festsetzung des Erstattungsbetrages befasst.

5. Es besteht Konsens zwischen beiden Seiten, dass zwar Ataluren seit dem Schiedsspruch Anfang 2016 inzwischen in weiteren europäischen Ländern eingeführt wurde, jedoch sich dadurch keine relevante Veränderung des europäischen Preisniveaus ergab. Zudem sah sich PTC wie auch schon bei den Preisverhandlungen und dem Schiedsverfahren in 2016 aus rechtlichen und faktischen Gründen erneut gehindert, die tatsächlichen Abgabepreise zu offenbaren. Vielmehr hat PTC reine Listenpreise gemeldet, bei denen nicht bestritten wird, dass teilweise erhebliche Rabatte vorliegen, die nicht ausgewiesen sind. Daher ergab sich beim Kriterium der europäischen Abgabepreise für die Schiedsstelle kein Anhaltspunkt, den 2016 festgesetzten Erstattungsbetrag zu modifizieren.
6. Die in Gesetz und Rahmenvereinbarung vorgesehenen Kriterien der vergleichbaren Arzneimittel und des Preisniveaus der (für einen Aufschlag als Basis dienenden) zweckmäßigen Vergleichstherapie greifen vorliegend nicht. Es besteht nämlich Konsens, dass unverändert ein vergleichbares Arzneimittel nicht besteht und der G-BA unverändert keine zweckmäßige Vergleichstherapie festgesetzt hat. Wie die Phase-II-Studie hat auch die Phase-III-Studie gegen Placebo getestet. Daher konnten bezüglich dieser Kriterien auch keine Anhaltspunkte für eine Veränderung des Erstattungsbetrages abgeleitet werden.
7. a) Die Schiedsstelle hat sich intensiv auch mit der Frage befasst, inwieweit es in Bezug auf Aspekte der Sicherung der Versorgung der Patienten geboten ist, den Erstattungsbetrag zu erhöhen. Nach der Festsetzung des Erstattungsbetrages durch die Schiedsstelle im Februar 2016 hatte PTC nämlich Ataluren im April 2016 vom deutschen Markt genommen. Der Hersteller argumentiert, dass ihn nur ein deutlich höherer Erstattungsbetrag bewegen könne, das Arzneimittel auf dem deutschen Markt wieder zur Verfügung zu stellen – dies auch wegen der Referenzpreisfunktion eines in Deutschland im Preisverzeichnis ausgewiesenen Erstattungsbetrages für andere Länder. Die Schiedsstelle solle daher zur Sicherung der Versorgung in Deutschland den Erstattungsbetrag wesentlich erhöhen.

b) Soweit die deutschen Patienten seit der Außer-Vertrieb-Nahme von Ataluren weiter mit dem Arzneimittel behandelt werden, ist dies nur über einen Import aus dem europäischen Ausland möglich, für den es einer Einzelfallgenehmigung der jeweiligen Krankenkasse bedarf. Die Schiedsstelle hat mit den Patientenvertretern die Situation erörtert. Nach deren Kenntnis ist es zwar so, dass der Vorgang des Bezugs über die internationale Apotheke für die Beteiligten aufwändig ist; Fälle, bei denen eine notwendige medizinische Versorgung mit Ataluren etwa durch Verweigerung der Kostenübernahme durch die betreffenden Krankenkassen nicht zustande kommt, waren den Patientenvertreterinnen jedoch nicht bekannt.

c) Duchenne-Muskeldystrophie ist eine schwerwiegende und regelmäßig tödlich verlaufende Erkrankung. Insofern werden die Krankenkassen insbesondere zu prüfen haben, ob die Voraussetzungen des § 2 Abs. 1a SGB V vorliegen und sich bereits daraus ein Anspruch auf Versorgung mit dem (importierten) Arzneimittel Ataluren ergibt. Die Schiedsstelle geht davon aus, dass die Krankenkassen bei diesen schwerkranken Patienten ihrer entsprechenden Verantwortung in vollem Umfang nachkommen. Auch der GKV-Spitzenverband hat dies in der Schiedsstellenverhandlung bekräftigt.

d) Deswegen und auch aufgrund der von der Schiedsstelle abgefragten tatsächlichen Versorgungssituation musste nicht entschieden werden, ob und in welchem Umfang eine Erhöhung des Erstattungsbetrages zur Sicherung der Versorgung erforderlich ist.

8. Insgesamt ist die Schiedsstelle in den vorstehend in ihren wesentlichen Grundzügen dargelegten Erörterungen zu dem Ergebnis gekommen, dass keine relevanten Veränderungen bei den entscheidungserheblichen Parametern vorliegen. Sie ist daher dem Antrag des GKV-Spitzenverbandes gefolgt, den Erstattungsbetrag unverändert auf 14,00 Euro je Bezugsgröße, dem Niveau also, für den sie im Februar 2016 einen bestandkräftig gewordenen Verwaltungsakt erlassen hat, festzusetzen.


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 30.08.2017



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