

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

- Antragssteller -

gegen

PTC Therapeutics International Limited,
vertreten durch den Geschäftsführer,
The SQUARE 12 – Am Flughafen,
60549 Frankfurt am Main,
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. 16-15 –

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

Herrn Prof. Dr. Jürgen Wasem

- als Vorsitzenden -

Herrn Prof. Dr. Frank-Ulrich Fricke,
Herrn Dr. Herbert Reichelt

- als unparteiische Mitglieder der Schiedsstelle -

sowie

Herrn Dr. Martin Kransney,
Frau Dr. Antje Haas,
Herrn Dr. Guido Schopen,
Herrn Prof. Dr. Dr. Christian Dierks

- 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 15.02.2016 folgenden

Schiedsspruch:

I. Konsentiert Teile der Vereinbarung:

- 1) Die zwischen den Parteien konsentierten Vertragsinhalte werden mit der Maßgabe von Ziffer II.5 dieses Schiedsspruchs entsprechend der mit dem Schriftsatz des GKV-Spitzenverbandes vom 18.12.2015 als Anlage 10 übermittelten Vereinbarung festgesetzt.
- 2) Eine Veröffentlichung der konsentierten Vertragsinhalte erfolgt nicht.

II. Nicht konsentiert Teile der Vereinbarung:

- 1) § 2 Abs. 4 wird wie folgt festgesetzt:

Der Erstattungsbetrag je Bezugsgröße beträgt ab dem 01.12.2015 EURO 14,00. Er gilt für alle von dieser Vereinbarung umfassten Fertigarzneimittel.

2) Die in § 2 Abs. 6 enthaltene Tabelle 1 ist wie folgt zu befüllen:

PZN	Betrag und Einheit der Bezugsgröße	Anzahl und Darreichungsform des Packungsinhalts	Wirkstoffmenge pro Darreichungsform ¹	Anzahl Bezugsgrößen pro Packung	Erstattungsbetrag pro Bezugsgröße	Erstattungsbetrag pro Packung
10933974	40 mg	30 Beutel	125 mg	93,75	14,00 €	1.312,50 €
10933980	40 mg	30 Beutel	250 mg	187,5	14,00 €	2.625,00 €
10933997	40 mg	30 Beutel	1.000 mg	750	14,00 €	10.500,00 €

¹ Quelle: Datenbank der Informationsstelle für Arzneispezialitäten GmbH (IFA), Stand: 15.12.2015

3) § 2a wird wie folgt gefasst:

Praxisbesonderheiten

- (1) Die Anforderungen an die Zweckmäßigkeit, Qualität und Wirtschaftlichkeit der Verordnung von TranslarnaTM (§ 130b Abs. 1 Satz 5 SGB V) werden wie in der Anlage 1 ausgewiesen vereinbart.
- (2) Die Verordnung von TranslarnaTM ist von der Prüfungsstelle (§ 106 Abs. 4 SGB V) als Praxisbesonderheit im Sinne von § 106 Abs. 5a SGB V anzuerkennen, wenn der Arzt bei der Verordnung im Einzelfall die in der Anlage 1 ausgewiesenen Anforderungen an die Verordnung von TranslarnaTM eingehalten hat. Verordnungen von TranslarnaTM gelten bei Einhaltung der in der Anlage 1 ausgewiesenen Anforderungen im Regelfall als wirtschaftlich im Sinne von § 12 SGB V.
- (3) Der GKV-Spitzenverband informiert nach Vertragsabschluss zeitnah seine Mitglieder, die Prüfungsstellen nach § 106 Abs. 4 SGB V sowie die Kassenärztliche Bundesvereinigung und die Kassenärztlichen Vereinigungen über die Regelung nach Absatz 2. Zugleich informiert der GKV-Spitzenverband auf seiner Homepage über die Einzelheiten in der Anlage 1. § 6 findet keine Anwendung.
- (4) Abweichend von § 6 ist PTC Therapeutics berechtigt, Kassenärztliche Vereinigungen, Vertragsärzte und Krankenkassen über die Regelung nach Absatz 2 zu informieren. PTC Therapeutics sichert zu, diese Information nur zutreffend und vollständig weiterzugeben. Sollte der GKV-Spitzenverband Kenntnis davon erhalten, dass PTC Therapeutics

über die in der Anlage 1 vereinbarten Anforderungen nicht korrekt oder unvollständig informiert, mahnt er PTC Therapeutics wegen dieses Verstoßes schriftlich ab. PTC Therapeutics wird Pflichtverstößen binnen zwei Wochen abhelfen oder dem GKV-Spitzenverband belegen, dass kein Pflichtverstoß vorlag. Sollte dies nicht fristgerecht erfolgen oder nach einer fristgerechten Abhilfe ein erneuter Verstoß erfolgen, kann der GKV-Spitzenverband die nach § 2a getroffenen Regelungen kündigen. Die Wirksamkeit der übrigen Vereinbarung wird von dieser Kündigung nicht berührt. Die Praxisbesonderheit gilt nur unter den in der Anlage 1 konkretisierten Bedingungen. Weitere Anwendungsgebiete bzw. Erweiterungen des Anwendungsgebiets sind hiervon nicht umfasst.

4) Anlage 1 wird wie folgt festgesetzt:

Translarna™ (Wirkstoff: Ataluren) ist seit dem 01.12.2015 ab dem ersten Behandlungsfall als Praxisbesonderheit laut G-BA-Beschluss vom 21.05.2015 anzuerkennen.

Ausmaß des Zusatznutzens: gering

Das Anwendungsgebiet lautet: 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.

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Ataluren soll nur durch in der Therapie von Patienten mit Duchenne/Becker Muskeldystrophie erfahrene Fachärzte erfolgen.

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen.

Dieses Arzneimittel wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Das bedeutet, dass weitere Nachweise für den Nutzen des Arzneimittels erwartet werden. Die Europäische Arzneimittel-Agentur wird neue Informationen zu diesem Arzneimittel mindestens jährlich bewerten und die Fachinformation, falls erforderlich, aktualisieren.

Die Anerkennung als Praxisbesonderheit nach § 106 Abs. 5a SGB V gilt nicht bei der Anwendung von TranslarnaTM außerhalb des bestimmungsgemäßen Gebrauchs („Off label use“). Ein solcher nicht bestimmungsgemäßer Gebrauch liegt insbesondere vor bei einer Behandlung von nicht gehfähigen Patienten sowie von Kindern unter 5 Jahren.

Besondere Patientengruppen:

Die Sicherheit und Wirksamkeit von Ataluren bei Patienten ab 65 Jahren ist bisher noch nicht erwiesen. Die Sicherheit und Wirksamkeit von Ataluren bei Patienten mit Nieren- und Leberfunktionsstörungen ist nicht erwiesen.

Die Anerkennung der Praxisbesonderheit ist auf die Geltungsdauer des aktuellen G-BA Beschlusses beschränkt (1. Juni 2016).

- 5) In § 7 Abs. 1 Satz 1 und Satz 2 wird die Datumsangabe „30.11.2016“ durch die Datumsangabe „31.01.2017“ ersetzt.

- III. Die Schiedsstelle behält ihre bewährte Praxis der Veröffentlichung gemäß der Geschäftsordnung bei.

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 20.11.2015, eingegangen vorab per E-Mail bei der Geschäftsstelle der Schiedsstelle am gleichen Tag, beantragte der Spitzenverband Bund 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 hat PTC 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 02.03.2015 zusammen mit der Bewertung des IQWiG auf den Internetseiten des G-BA veröffentlicht und damit das schriftliche Stellungnahmeverfahren eingeleitet. Es wurde darüber hinaus am 07.04.2015 eine mündliche Anhörung durchgeführt. Am 21.05.2015 hat der G-BA 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.

Zwischen dem 22.06.2015 und dem 27.10.2015 haben PTC und der Spitzenverband Bund Preisverhandlungen geführt. In diesen Verhandlungen konnten sich pharmazeutischer Hersteller und Spitzenverband über zahlreiche Gegenstände der zu schließenden Vereinbarung einigen. Eine Reihe von zu regelnden Fragen blieben allerdings streitig. Daraufhin hat der Spitzenverband Bund mit Schreiben vom 20.11.2015 die Schiedsstelle nach § 130b Abs. 5 SGB V angerufen.

Der Vorsitzende der Schiedsstelle hat mit Schreiben vom 26.11.2015 eine Erstverfügung erlassen und beide Seiten aufgefordert, bis 18.12.2015 konkretisierende Anträge zuzuleiten. Mit Schreiben vom 06.01.2016 hat der Vorsitzende zur mündlichen Verhandlung für den 15.02.2016 geladen.

Der Spitzenverband Bund hat mit Schreiben vom 18.12.2015 konkretisierende Anträge gestellt. PTC hat ebenfalls mit Schreiben vom 18.12.2015 konkretisierende Anträge vorgelegt und mit Schreiben vom 25.01.2016 eine weitere Beratungsunterlage zugeleitet. Mit Schreiben vom 11.02.2016 hat der Spitzenverband Bund ergänzende Unterlagen zugeleitet, darunter Änderungen der konkretisierenden Anträge. Dazu hat der Vorsitzende mit E-Mail vom 11.02.2016 eine Nachfrage gestellt, auf die der Spitzenverband Bund mit E-Mail am 12.02.2016 geantwortet hat. Auf das Schreiben des Spitzenverbandes Bund vom 11.02.2016 hat PTC mit E-Mail vom 12.02.2016 ergänzende Beratungsunterlagen zugeleitet.

Die Schiedsstelle hat in der mündlichen Verhandlung am 15.02.2016 beiden Seiten ausführliche Gelegenheit zur Darstellung ihrer Anträge gegeben und diese umfassend mit beiden Seiten erörtert. Sie hat daraufhin den oben aufgeführten Schiedsspruch getroffen.

2.

**Anträge der Beteiligten
zur Schiedsstellenverhandlung**

Der **Spitzenverband Bund** hat, in der sich aus dem Schreiben vom 11.02.2016 ergebenden Fassung der konkretisierenden Anträge, folgende Anträge gestellt:

I. Konsentiierte Teile der Vereinbarung:

1. Die zwischen den Parteien konsentierten Vertragsinhalte werden entsprechend der als Anlage 10 (*des konkretisierenden Antrags vom 18.12.2015; red.*) beigefügten Vertragsfassung festgesetzt.
2. Eine Veröffentlichung der konsentierten Vertragsinhalte erfolgt nicht.

II. Nicht konsentiierte Teile der Vereinbarung:

1. Hauptanträge

a) § 2 Abs. 4 wird wie folgt festgesetzt:

Der Erstattungsbetrag je Bezugsgröße beträgt ab dem 01.12.2015 EURO 7,8600. Er gilt für alle von dieser Vereinbarung umfassten Fertigarzneimittel.

b) Die in § 2 Abs. 6 enthaltene Tabelle 1 ist wie folgt zu befüllen:

PZN	Betrag und Einheit der Bezugsgröße	Anzahl und Darreichungsform des Packungsinhalts	Wirkstoffmenge pro Darreichungsform ¹	Anzahl Bezugsgrößen	Erstattungsbetrag pro Bezugsgröße	Erstattungsbetrag
10933974	40 mg	30 Beutel	125mg	93,75	7,8600 €	736,88 €
10933980	40 mg	30 Beutel	250mg	187,5	7,8600 €	1.473,75 €
10933997	40 mg	30 Beutel	1000mg	750	7,8600 €	5.895,00 €

¹ Quelle: Datenbank der Informationsstelle für Arzneispezialitäten GmbH (IFA), Stand: 15.12.2015

c) § 2a entfällt. Es wird keine Praxisbesonderheit festgestellt.

- d) § 7 Abs. 4 entfällt. Es wird keine an Bedingungen geknüpfte Laufzeitverlängerung festgesetzt.

2. Hilfsanträge bei Anerkennung einer Praxisbesonderheit

Für den Fall, dass die Schiedsstelle die Anerkennung als Praxisbesonderheit festlegt, wird anstelle des Hauptantrages 1. c) unter Aufrechterhaltung der weiteren Hauptanträge Folgendes beantragt:

- a) § 2a Abs. 1 wird wie folgt festgesetzt:

Die Anforderungen an die Zweckmäßigkeit, Qualität und Wirtschaftlichkeit der Verordnung von Translarna® (§ 130 Abs. 1 Satz 5 SGB V) werden wie in der Anlage 1 ausgewiesen vereinbart.

- b) § 2a Abs. 2 wird wie folgt festgesetzt:

Die Verordnung von Translarna® ist von der Prüfungsstelle (§ 106 Abs. 4 SGB V) als Praxisbesonderheit im Sinne von § 106 Abs. 5a SGB V anzuerkennen, wenn der Arzt bei der Verordnung im Einzelfall die in der Anlage 1 ausgewiesenen Anforderungen an die Verordnung von Translarna® eingehalten hat. Verordnungen von Translarna® gelten bei Einhaltung der in der Anlage 1 ausgewiesenen Anforderungen im Regelfall als wirtschaftlich im Sinne von § 12 SGB V.

- c) § 2a Abs. 3 wird wie folgt festgesetzt:

Der GKV-Spitzenverband informiert nach Vertragsschluss zeitnah seine Mitglieder, die Prüfungsstellen nach § 106 Abs. 4 SGB V sowie die Kassenärztliche Bundesvereinigung und die Kassenärztlichen Vereinigungen über die Regelung nach Absatz 2. Zugleich informiert der GKV-Spitzenverband auf seiner Homepage über die Einzelheiten in der Anlage 1. § 6 findet keine Anwendung.

- d) § 2a Abs. 4 wird wie folgt festgesetzt:

Abweichend von § 6 ist PTC Therapeutics berechtigt, Kassenärztliche Vereinigungen, Vertragsärzte und Krankenkassen über die Regelung nach Absatz 2 zu informieren. PTC Therapeutics sichert zu, diese Information nur zutreffend und vollständig weiterzugeben. Sollte der

GKV-Spitzenverband Kenntnis davon erhalten, dass PTC Therapeutics über die in der Anlage 1 vereinbarten Anforderungen nicht korrekt oder unvollständig informiert, mahnt er PTC Therapeutics wegen dieses Verstoßes schriftlich ab. PTC Therapeutics wird Pflichtverstößen binnen zwei Wochen abhelfen oder dem GKV-Spitzenverband belegen, dass kein Pflichtverstoß vorlag. Sollte dies nicht fristgerecht erfolgen oder nach einer fristgerechten Abhilfe ein erneuter Verstoß erfolgen, kann der GKV-Spitzenverband die nach § 2a getroffenen Regelungen kündigen. Die Wirksamkeit der übrigen Vereinbarung wird von dieser Kündigung nicht berührt. Die Praxisbesonderheit gilt nur unter den in der Anlage 1 konkretisierten Bedingungen. Weitere Anwendungsgebiete bzw. Erweiterungen des Anwendungsgebiets sind hiervon nicht umfasst.

e) Anlage 1 wird wie folgt festgelegt:

Translarna[®] (Wirkstoff: Ataluren) ist seit dem 01.12.2015 ab dem ersten Behandlungsfall als Praxisbesonderheit laut G-BA-Beschluss vom 21.05.2015 anzuerkennen.

Ausmaß des Zusatznutzens: gering

Das Anwendungsgebiet lautet:

Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie infolge einer Nonsense-Mutation im Dystropin-Gen bei gehfähigen Patienten im Alter ab 5 Jahren. Bei nicht-gehfähigen Patienten wurde keine Wirksamkeit nachgewiesen. Das Vorliegen einer Nonsense-Mutation im Dystropin-Gen ist durch Gentest nachzuweisen.

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Ataluren soll nur durch in der Therapie von Patienten mit Duchenne/Becker Muskeldystrophie erfahrene Fachärzte erfolgen.

Die Vorgaben der Fachinformation sind zu berücksichtigen.

Dieses Arzneimittel wurde unter „Besonderen Bedingungen“ zugelassen. Das bedeutet, dass weitere Nachweise für den Nutzen des Arzneimittels erwartet werden. Die Europäische Arzneimittel-Agentur wird neue Informationen zu diesem Arzneimittel mindestens jährlich bewerten und die Fachinformation, falls erforderlich, aktualisieren.

Die Anerkennung als Praxisbesonderheit nach § 106 Abs. 5a SGB V gilt nicht bei der Anwendung von Translarna[®] außerhalb des bestimmungs-

gemäßen Gebrauchs („Off label use“). Ein solcher nicht bestimmungsgemäßer Gebrauch liegt insbesondere vor bei einer Behandlung von nicht gehfähigen Patienten sowie von Kindern unter 5 Jahren.

Besondere Patientengruppen:

Die Sicherheit und Wirksamkeit von Ataluren bei Patienten ab 65 Jahren ist bisher noch nicht erwiesen. Die Sicherheit und Wirksamkeit von Ataluren bei Patienten mit Nieren- und Leberfunktionsstörungen ist nicht erwiesen.

Die Anerkennung der Praxisbesonderheit ist auf die Geltungsdauer des aktuellen G-BA-Beschlusses beschränkt (1. Juni 2016).

III. Veröffentlichung der konkretisierenden Anträge:

Eine Veröffentlichung der konkretisierenden Anträge erfolgt nicht.

PTC hat, über deren Verfahrensbevollmächtigte mit Schreiben vom 18.12.2015, beantragt, den nicht geeinten Vertragsinhalt wie folgt festzusetzen:

a) § 2 Absatz 4

§ 2 Abs. 4 erhält folgende Fassung:

„(4) Der Erstattungsbetrag je Bezugsgröße beträgt ab dem 01.12.2015 EURO 30,80192. Er gilt für alle von dieser Vereinbarung umfassten Fertigarzneimittel.“

b) § 2 Absatz 6

Die Tabelle in § 2 Abs. 6 erhält folgende Fassung:

PZN	Betrag und Einheit der Bezugsgröße	Anzahl und Darreichungsform des Packungsinhalts ¹	Wirkstoffmenge pro Darreichungsform ¹	Anzahl Bezugsgrößen	Erstattungsbetrag pro Bezugsgröße	Erstattungsbetrag
10933974	40 mg	30 Beutel	125mg	93,75	€ 30,80192	€ 2.887,68
10933980	40 mg	30 Beutel	250mg	187,5	€ 30,80192	€ 5.775,36
10933997	40 mg	30 Beutel	1000mg	750	€ 30,80192	€ 23.101,44

¹ Quelle: Datenbank der Informationsstelle für Arzneispezialitäten GmbH (IFA), Stand: 15.07.2015

c) § 2a („Praxisbesonderheiten“) – neu –

Es wird folgender § 2a eingefügt:

- „(1) Die Anforderungen an die Zweckmäßigkeit, Qualität und Wirtschaftlichkeit der Verordnung von TranslarnaTM (§ 130 Abs. 1 Satz 5 SGB V) werden wie in der Anlage 1 ausgewiesen vereinbart.

Anlage 1 zur Vereinbarung nach § 130b Abs. 1 SGB V zwischen dem GKV-Spitzenverband und PTC Therapeutics zum Arzneimittel TranslarnaTM (Wirkstoff: Ataluren) bezüglich der Anerkennung als Praxisbesonderheit:

TranslarnaTM (Wirkstoff: Ataluren) ist seit dem 01.12.2015 ab dem ersten Behandlungsfall im zugelassenen Anwendungsgebiet als Praxisbesonderheit nach § 106 Abs. 5a SGB V bzw. § 106b Abs. 5 SGB V anzuerkennen.

Das Anwendungsgebiet ist die Behandlung der Duchenne-Muskeldystrophie infolge einer Nonsense-Mutation im Dystrophin-Gen bei gehfähigen Patienten im Alter ab 5 Jahren. Das Vorliegen einer Nonsense-Mutation im Dystrophin-Gen ist durch Gentest nachzuweisen.

Die Einleitung und Überwachung der Behandlung mit Ataluren soll nur durch in der Therapie von Patienten mit Duchenne/Becker Muskeldystrophie erfahrene Fachärzte erfolgen.

Verordnungen von TranslarnaTM im zugelassenen Anwendungsgebiet gelten im Regelfall als wirtschaftlich im Sinne von § 12 SGB V.

- (2) Die Verordnung von TranslarnaTM ist von der Prüfungsstelle (§ 106 Abs. 4 SGB V) als Praxisbesonderheit im Sinne von § 106 Abs. 5a bzw. § 106b Abs. 5 SGB V anzuerkennen, wenn der Arzt bei der Verordnung im Einzelfall die in der Anlage 1 ausgewiesenen Anforderungen an die Verordnung von TranslarnaTM eingehalten hat. Verordnungen von TranslarnaTM gelten bei Einhaltung der in der Anlage 1 ausgewiesenen Anforderungen im Regelfall als wirtschaftlich im Sinne von § 12 SGB V.

- (3) Der GKV-Spitzenverband informiert nach Vertragsschluss zeitnah seine Mitglieder, die Prüfungsstellen nach § 106 Abs. 4 SGB V sowie die Kassenärztliche Bundesvereinigung und die Kassenärztlichen Vereinigungen über die Regelung nach Absatz 2. Zugleich informiert der GKV-Spitzenverband auf seiner Homepage über die Einzelheiten in der Anlage 1. § 6 findet keine Anwendung.
- (4) Abweichend von § 6 ist PTC Therapeutics berechtigt, Kassenärztliche Vereinigungen, Vertragsärzte und Krankenkassen über die Regelung nach Absatz 2 zu informieren. PTC Therapeutics sichert zu, diese Information nur zutreffend und vollständig weiterzugeben.“

d) § 7 Absatz 4 – neu –

In § 7 wird folgender Absatz angefügt:

- „(4) Entscheidet der G-BA über eine Änderung der Befristung des G-BA-Beschlusses, wird der frühestmögliche Kündigungszeitpunkt gemäß Absatz 1 um die Dauer der Fristverlängerung verschoben, soweit dieser Zeitpunkt vor dem 30.11.2018 liegt. Andernfalls gilt als frühester Kündigungstermin der 30.11.2018.“

3.

**Weitere Anträge der Beteiligten
während der Erörterung vor der Schiedsstelle**

Während der Schiedsstellenverhandlung hat der Spitzenverband Bund folgenden Hilfsantrag gestellt:

In § 7 Abs. 1 Satz 1 und Satz 2 wird die Datumsangabe „30.11.2016“ durch die Datumsangabe „31.01.2017“ ersetzt.

Während der Schiedsstellenverhandlung hat PTC den Antrag gestellt, dass eine Veröffentlichung der konkretisierenden Anträge im Rahmen der schriftlichen Entscheidung der Schiedsstelle gemäß § 23 Abs. 1 der GO weiterhin erfolgt.

Während der Schiedsstellenverhandlung hat PTC folgenden Hilfsantrag gestellt:

Für den Fall, dass der Antrag von PTC zu § 7 Abs. 4 der Vereinbarung von der Schiedsstelle abgelehnt wird, soll § 7 Abs. 4 wie folgt gefasst werden:

„(4) Entscheidet der G-BA über eine Änderung der Befristung des G-BA-Beschlusses wird der frühestmögliche Kündigungszeitpunkt gemäß Absatz 1 um die Dauer der Fristverlängerung verschoben, soweit dieser Zeitpunkt vor dem 30.11.2017 liegt. Andernfalls gilt als frühester Kündigungstermin der 30.11.2017.“

4.

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 Spitzenverbandes Bund als auch den Antrag von PTC zurückweisen.
- 2.** Die Schiedsstelle hat ihren Beschluss zur Festsetzung des Vertragsinhaltes bei Beachtung der gesetzlichen Vorgaben im Rahmen der pflichtgemäßen Ausübung des Schiedsgremien auch von der Rechtsprechung eingeräumten weiten Ermessensspielraum gefasst. Sie hat sich dabei ausgiebig mit den von beiden Seiten vorgetragenen Argumenten und vorgelegten Materialien befasst. In der mündlichen Verhandlung hat die Schiedsstelle umfassende Nachfragen gestellt, die ihr in Ergänzung der Unterlagen und Ausführungen der Parteien einen vertieften Einblick ermöglichten.
- 3.** Streitig war zwischen den Parteien insbesondere die Höhe des Erstattungsbetrages. 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 ist nach § 4 Abs. 1 der Rahmenvereinbarung der Erstattungsbetrag als Rabatt auf den bei Markteinführung zunächst festgesetzten Abgabepreis des pharmazeutischen Unternehmens zu vereinbaren. Nach § 5 Abs. 2 der Rahmenvereinbarung wird er bei Arzneimitteln mit vom G-BA zuerkanntem Zusatznutzen als Zuschlag auf die Jahrestherapiekosten der zweckmäßigen Vergleichstherapie vereinbart. Allerdings ist bei dem vorliegenden Arzneimittel zur Behandlung eines seltenen Leidens eine zweckmäßige Vergleichstherapie nicht vom G-BA definiert und die Zulassungsstudie ist gegen Placebo durchgeführt worden.

Der Spitzenverband Bund beantragte, den Erstattungsbetrag je Bezugsgröße ab dem 01.12.2015 auf 7,8600 EURO festzusetzen. Dies entspricht unter Ablösefiktion und bei Zugrundelegung der Annahmen des G-BA zum Gewicht der Patienten Jahrestherapiekosten von rd. 92.800 EURO; das vom Hersteller geltend gemachte geringere durchschnittliche Gewicht der Patienten, was aufgrund der gewichtsabhängigen Dosierung zu geringeren Jahrestherapiekosten führe, dürfe nicht berücksichtigt werden, da insoweit der G-BA-Beschluss bindend sei. Der Spitzenverband Bund begründete seinen Antrag insbesondere mit der von ihm vorgenommenen Monetarisierung des Zusatznutzens, die – wie der Spitzenverband Bund auf Nachfrage von Mitgliedern der Schiedsstelle ausführte – nicht Ergebnis der Anwendung eines Algorithmus sei. So habe der G-BA-Beschluss, mit dem ein geringer Zusatznutzen festgestellt worden sei, in den Tragenden Gründen herausarbeitet, dass die vorgelegten Studienergebnisse eine erhebliche Unsicherheit bezüglich der Wirksamkeit und Unbedenklichkeit von Ataluren aufwiesen. Auch habe die EMA Ataluren unter „besonderen Bedingungen“ zugelassen. Die statistisch signifikant niedrigere Rate von Patienten mit mindestens 10 % Verschlechterung der Gehstrecke und der statistisch signifikant längere Zeitraum bis zur Verschlechterung im 6-Minuten-Gehtest seien die einzigen beiden maßgeblichen Kriterien für die Monetarisierung des Zusatznutzens, da es sich laut G-BA-Beschluss ausschließlich bei diesen beiden supportiven Endpunkten um eine bisher nicht erreichte moderate Verbesserung des therapielevanten Nutzens handele. Außerdem berücksichtige der Spitzenverband Bund mit seinem Antrag die tatsächlichen Abgabepreise in anderen europäischen Ländern. Jahrestherapiekosten vergleichbarer Arzneimittel könnten nicht herangezogen werden, da es diese nicht gäbe. Allerdings würden im Therapieumfeld sehr preisgünstige Glukokortikoide als Arzneimittel eingesetzt.

PTC beantragte demgegenüber, den Erstattungsbetrag je Bezugsgröße auf 30,80192 EURO festzusetzen. Unter Ablösefiktion und bei Berücksichtigung der Tatsache, dass in der Versorgungsrealität das durchschnittliche Gewicht der Patienten von dem des G-BA-Beschlusses abweiche (welches mit Schreiben vom 25.01.2016 gegenüber dem konkretisierenden Antrag vom 18.12.2015 weiter nach unten korrigiert wurde), ergäben sich laut PTC daraus Jahrestherapiekosten von rd. 297.600 EURO. Der verlangte Erstattungsbetrag folge einer europäischen Preisstrategie des Herstellers, die von den finanziellen Eckpunkten des Unternehmens und dem Nutzen des Arzneimittels geprägt sei. Aus einem Vergleich der Zahlungsbereitschaft der Erstattungssysteme in Europa anhand vergleichbarer Indikationen und Arzneimittel mit ähnlicher Prävalenz und Inzidenz ergäbe sich die Angemessenheit des geforderten Preises ebenso wie aus den

tatsächlichen Abgabepreisen in anderen europäischen Ländern. Soweit der G-BA-Beschluss auf eine geringe Ergebnissicherheit abstelle, sei zu berücksichtigen, dass die EMA das Arzneimittel im Wege des „conditional approval“ zugelassen habe, um so dem bestehenden „unmet medical need“ kurzfristig begegnen zu können. Auch sei der geringe Budget Impact aufgrund der geringen Patientenzahlen zu berücksichtigen. Dass der Preis angemessen sei, zeige auch die Preisvereinbarung zwischen dem Spitzenverband Bund und dem pharmazeutischen Hersteller des Produktes Elosulfase Alfa.

Die Monetarisierung des Ausmaßes des Zusatznutzens bedarf auf Basis des G-BA-Beschlusses zur Nutzenbewertung wertender Entscheidungen zur Zahlungsbereitschaft der gesetzlichen Krankenversicherung, die im Regelungsgefüge des AMNOG bei Nicht-Einigung der Vertragspartner der Schiedsstelle überantwortet sind. Hier sind arzneimittelindividuelle Wertentscheidungen zu treffen, die auch sozialgerichtlich materiell nicht nachzuprüfen sein dürften. Dass diese Wertentscheidungen nicht algorithmisch erfolgen, sondern den Besonderheiten des Einzelfalles Rechnung tragen sollen, hat der Gesetzgeber in den Gesetzesmaterialien explizit ausgeführt. Die Wertentscheidungen zur monetären Bewertung des Zusatznutzens müssen vor dem Hintergrund der europäischen Vergleichspreise getroffen werden, während vorliegend die Jahrestherapiekosten vergleichbarer Arzneimittel keine Rolle spielen können. Das Gewicht von Zusatznutzen und europäischen Vergleichspreisen wiederum kann ebenfalls nach Auffassung der Schiedsstelle nicht algorithmisch bestimmt sondern nur unter Berücksichtigung der Besonderheiten des Einzelfalles entschieden werden.

Die Schiedsstelle geht in Fortsetzung ihrer Spruchpraxis der jüngeren Zeit zudem davon aus, die Festsetzung des Erstattungsbetrages nicht nur im Rahmen des weiten Ermessens sachgerecht zu sein hat, sondern zugleich es der Intention des Gesetzgebers entspräche, dass auch ein fairer Interessenausgleich bewirkt werden solle: Einerseits soll das festzusetzende Reimbursement eine angemessene Würdigung der zu einem Arzneimittel mit Zusatznutzen geführt habenden Forschungs- und Entwicklungstätigkeit des pharmazeutischen Herstellers für Ataluren bewirken, andererseits ist den berechtigten Interessen der Versicherungsgemeinschaft nach bezahlbaren Arzneimittelpreisen Rechnung zu tragen.

Vor diesem Hintergrund hat die Schiedsstelle den Erstattungsbetrag so festgesetzt, dass sich für die Therapie mit TranslarnaTM unter der Fiktion der Ablösung der Herstellerrabatte durchschnittliche Jahrestherapiekosten von

rd. 165.000 EURO ergeben, wenn die Annahmen zum durchschnittlichen Patientengewicht des G-BA-Beschlusses zugrunde gelegt werden. Werden die Annahmen zum durchschnittlichen Patientengewicht des pharmazeutischen Herstellers zugrunde gelegt, ergeben sich unter Ablösefiktion durchschnittliche Jahrestherapiekosten von rd. 152.000 EURO. Die Schiedsstelle bleibt damit deutlich unter dem Antrag des pharmazeutischen Herstellers, allerdings bleibt sie zugleich deutlich oberhalb des Antrags des Spitzenverbandes Bund.

Werden die genannten Jahrestherapiekosten angesetzt und zudem berücksichtigt, dass die Herstellerrabatte nicht abgelöst werden sollen, ergibt sich ein Erstattungsbetrag je Bezugsgröße in Höhe von 14,00 €. Dieser Betrag findet sich entsprechend in § 2 Abs. 4 der Vereinbarung. Die Werte in der Tabelle in § 2 Abs. 6 der Vereinbarung ergeben sich entsprechend. Die Schiedsstelle geht davon aus, dass diese Festsetzung sachgerecht ist, dem Interessenausgleich Rechnung trägt und in jedem Falle durch ihren Ermessensspielraum abgedeckt und insoweit rechtlich nicht angreifbar ist.

4. Kein Konsens konnte in den Vertragsverhandlungen darüber erzielt werden, ob Praxisbesonderheiten vereinbart werden sollten. PTC hat eine solche Vereinbarung einer Praxisbesonderheit beantragt. Der Spitzenverband Bund hat sie in seinem Hauptantrag abgelehnt, allerdings in einem Hilfsantrag eine konkrete Ausgestaltung der Praxisbesonderheit für den Fall beantragt, dass sein Hauptantrag abgelehnt werden sollte.

Die Schiedsstelle geht davon aus, dass von der gesetzlichen Soll-Vorgabe, eine Praxisbesonderheit zu vereinbaren (§ 130b Abs. 2 SGB V) nur in gewichtigen Gründen abgewichen werden kann. Diese gewichtigen Gründe hat die Schiedsstelle vorliegend nicht gesehen. Sie hat daher eine Praxisvereinbarung vorgesehen und hierbei in der Ausgestaltung den Inhalt der Regelung des Hilfsantrags des GKV-Spitzenverbandes eingebunden.

5. Streitig war zwischen beiden Seiten die Laufzeit des Vertrages. Hierbei bestand grundsätzlich vor Beginn der Schiedsstellenverhandlung Einigkeit darüber, dass der Vertrag nach einem Jahr Mindestlaufzeit gekündigt werden könne. PTC beantragte allerdings, hiervon für den Fall abzuweichen, dass der G-BA über eine Änderung der Befristung seines Beschlusses zur Nutzenbewertung entscheidet. In diesem Falle solle der frühestmögliche Kündigungszeitpunkt um die Dauer der Fristverlängerung des G-BA-Beschlusses verschoben werden, soweit dieser Zeitpunkt vor dem 30.11.2018 läge; andernfalls sollte der 30.11.2018 als

frühestmöglicher Kündigungstermin gelten. Der Spitzenverband Bund hat diese Regelung abgelehnt.

Im Laufe der Schiedsstellenverhandlung hat der GKV-Spitzenverband als Hilfsantrag eine Mindestvertragslaufzeit von 14 Monaten beantragt. PTC hat hilfsweise beantragt, für den Fall einer Änderung der Befristung des G-BA-Beschlusses zur Nutzenbewertung den frühestmöglichen Zeitpunkt einer Kündigung auf den 30.11.2017 zu legen.

Die Schiedsstelle hat sich hier der Auffassung des Spitzenverbandes Bund in seinem Hilfsantrag angeschlossen. Beide Seiten sollten die Möglichkeit haben, den Vertrag nach der Mindestlaufzeit von einem Jahr zu kündigen, wobei vorliegend eine Verlängerung um zwei Monate wegen des zu erwartenden erneuten G-BA-Beschlusses sachgemäß erscheint.

6. Der Spitzenverband Bund hatte beantragt, die konkretisierenden Anträge nicht zu veröffentlichen. PTC hatte hierzu in der Sitzung den Antrag gestellt, eine Veröffentlichung weiterhin vorzusehen. Die Schiedsstelle ist dem Antrag von PTC gefolgt. Der Schiedsspruch kann in bewährter Weise entsprechend § 23 der Geschäftsordnung der Schiedsstelle in der Geschäftsstelle der Schiedsstelle eingesehen werden.

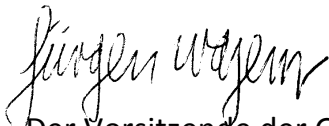
Rechtsbehelfsbelehrung:

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 25.02.2016



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