Bundesverwaltungsgericht
Tribunal administratif fédéral
Tribunale amministrativo federale
Tribunal administrativ federal



Abteilung III
C-5926/2008

Urteil vom 1. September 2011

Besetzung

Richter Stefan Mesmer (Vorsitz),
Richterin Franziska Schneider,
Richter Philippe Weissenberger,
Gerichtsschreiber Marc Wälti.

Parteien

X._____,
Beschwerdeführerin,

gegen

Bundesamt für Gesundheit BAG, Direktionsbereich,
Schwarzenburgstrasse 165, 3003 Bern,
Vorinstanz.

Gegenstand

Verfügung des BAG vom 14. Juli 2008,
Verweigerung der Aufnahme des Arzneimittels
A._____, in die Spezialitätenliste.

Sachverhalt:

A.
Das Arzneimittel A._____ (*im Folgenden:* A._____), wurde am 20. März 2007 vom Schweizerischen Heilmittelinstitut (Swissmedic, *im Folgenden:* Institut) unter der Zulassungsnummer _____ im vereinfachten, beschleunigten Zulassungsverfahren als Arzneimittel zur Behandlung seltener Krankheiten (Orphan Drug) für die X._____ (*im Folgenden:* Beschwerdeführerin) unter Auflagen zugelassen. Das Arzneimittel mit dem Wirkstoff B._____ dient als Enzymersatztherapie in der Langzeitbehandlung von Patienten mit Hunter-Syndrom (Mukopolysaccharidose II, MPS II), einer seltenen, X-chromosomal-rezessiv vererbbaren Stoffwechselerkrankung (lysosomale Speicherkrankheit). Diese zählt zu den Mukopolysaccharidosen (MPS), einer Gruppe von Erkrankungen, bei denen der lysosomale Abbau von Mukopolysacchariden gestört ist.

B.
Am 14. Februar 2007 stellte die Beschwerdeführerin beim Bundesamt für Gesundheit (BAG, *im Folgenden auch:* Vorinstanz) ein Gesuch um Aufnahme von A._____ in die Liste der pharmazeutischen Spezialitäten und konfektionierten Arzneimittel mit Preisen (Spezialitätenliste, *im Folgenden:* SL).

C.
Mit Schreiben vom 21. Mai 2007 teilte das BAG der Beschwerdeführerin mit, es beabsichtige, das Gesuch abzuweisen, da das fragliche Arzneimittel gemäss einer Stellungnahme der Eidgenössischen Arzneimittelkommission (EAK) nicht alle Voraussetzungen für die Aufnahme in die SL (Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit) erfülle. Der Beschwerdeführerin wurde rechtliches Gehör gewährt und die Möglichkeit geboten, eine Neuüberprüfung zu beantragen, für welche aber neue Tatsachen oder sonstige Gründe für die Aufnahme in die SL geltend zu machen seien.

D.
Mit Eingabe vom 1. Juni 2007 wandte sich die Beschwerdeführerin gegen die in Aussicht gestellte Abweisung ihres Gesuches und beantragte erneut die Aufnahme von A._____ als Orphan Drug in die SL – im beschleunigten Verfahren bis spätestens am 1. Juli 2007. Sie reichte ein berichtigtes und ergänztes Formular zum Auslandpreisvergleich ein und beantragte, der Fabrikabgabepreis für die Schweiz sei auf Fr. 4'700.-

festzulegen. Der Publikumspreis betrage – wie die Vorinstanz richtig festgestellt habe – Fr. 5'058.55.

Das BAG habe bereits andere Präparate zur Behandlung einer lysosomalen Speicherkrankheit in die SL aufgenommen. So finde sich das Arzneimittel D._____, (*im Folgenden:* D._____), welches am _____ vom Institut zur Behandlung von MPS Typ I zugelassen worden sei (Zulassungsnummer:_____), bereits seit dem _____ in der SL. Die Aufnahme sei offensichtlich ohne die vorherige Anhörung von Experten erfolgt.

E.
Nachdem die Beschwerdeführerin sich am 18. Juli 2007 nach dem Verfahrensstand erkundigt hatte, teilte die Vorinstanz mit Schreiben vom 15. August 2007 mit, sie beabsichtige nach Rücksprache und im Einverständnis mit den in der Schweiz betroffenen Spezialisten (Dres. E._____ und F._____) das Arzneimittel A._____ in die Geburtsgebrechenmedikamentenliste (*im Folgenden:* GGML, Teil IV der SL) aufzunehmen. Diese Liste enthalte jene aus der obligatorischen Krankenpflegeversicherung (OKP) zu bezahlenden Arzneimittel, die den Versicherten bis zu ihrem zwanzigsten Altersjahr durch die Invalidenversicherung vergütet würden und welche sie auch später weiterhin benötigten. Die Aufnahme in die GGML werde nicht verfügt und der Eintrag erfolge ohne konkrete Preisangaben. Mit der Aufnahme in die GGML sei das Aufnahmegesuch an sich hinfällig; die Beschwerdeführerin könne aber Mitteilung machen, wenn sie eine abweisende Verfügung betreffend Aufnahme in die SL wünsche.

F.
Am 14. Dezember 2007 beantragte die Beschwerdeführerin, dass ihr Arzneimittel nicht nur in der GGML gelistet, sondern auch in die SL aufgenommen werde. Sollte dem Antrag nicht stattgegeben werden, erwarte sie eine anfechtbare, begründete Abweisungsverfügung. Sie verwies auf ihre Schreiben, diverse telefonische Besprechungen, E-Mail-Korrespondenz sowie Sitzungen mit der EAK.

G.
Mit Verfügung vom 14. Juli 2008 wies die Vorinstanz das Gesuch um Aufnahme des Arzneimittels A._____ in die SL ab.

Zur Begründung hielt sie im Wesentlichen fest, gemäss Art. 27 des Bundesgesetzes vom 18. März 1994 über die Krankenversicherung (KVG, SR 832.10) übernehme die OKP die gleichen Leistungen wie bei Krankheit, wenn ein Geburtsgebrechen vorliege, das nicht durch die Invalidenversicherung (IV) gedeckt sei. Bei Krankheiten vergüte die OKP nur Arzneimittel, die in der SL aufgeführt seien. Gleiches gelte grundsätzlich auch bei Arzneimitteln zur Behandlung von Geburtsgebrechen. Zusätzlich vergüte die OKP diejenigen (medikamentösen) therapeutischen Massnahmen, die nach Art. 52 Abs. 2 KVG (in Verbindung mit Art. 35 der Verordnung vom 27. Juni 1995 über die Krankenversicherung [KVV, SR 832.102]) aus dem Leistungskatalog der IV in die GGML übernommen worden seien. Das BAG habe in diesem Zusammenhang die Aufgabe sicherzustellen, dass den Patienten auch nach dem zwanzigsten Altersjahr jene Leistungen weiter vergütet würden, die im IV-Leistungskatalog aufgeführt seien. Hierzu diene der Eintrag in die GGML. Es sei hingegen Aufgabe der zuständigen Stelle der IV und nicht des BAG, den Entscheid zu fällen, ob ein Arzneimittel zur Behandlung eines Geburtsgebrechens geeignet sei oder nicht. Dieses System verbiete die Aufnahme von jenen Arzneimitteln in die SL, die ausschliesslich der Behandlung eines durch die IV definierten Geburtsgebrechens dienten.

Das zu beurteilende Arzneimittel sei zur Behandlung von Mukopolysaccharidose Typ II indiziert, einer Enzymmangelkrankheit, die gemäss Ziffer 454 des Anhangs der Verordnung vom 9. Dezember 1985 über die Geburtsgebrechen (GgV, SR 831.232.21) als Geburtsgebrechen gelte. Damit erfülle A._____ die Bedingungen für die Aufnahme in die SL nicht. Das BAG befürworte jedoch im Einklang mit der Empfehlung der EAK eine Aufnahme in die GGML, um eine Vergütung der Therapie dieser sehr schweren Erkrankung durch die OKP in jenen Fällen sicherzustellen, in denen die IV nicht mehr vergütungspflichtig sei.

H.

Am 15. September 2008 reichte die Beschwerdeführerin beim Bundesverwaltungsgericht eine Beschwerde gegen die Verfügung vom 14. Juli 2008 ein. Sie beantragte, unter Kosten und Entschädigungsfolgen sei die angefochtene Verfügung aufzuheben und A._____ sei – zusätzlich zur Aufnahme in die GGML (Teil IV der SL) – wie folgt in die SL (Teil I, Spezialitäten der Schulmedizin) aufzunehmen:

Fabrikabgabepreis	Fr. 4'700.00
Publikumshöchstpreis	Fr. 5'058.55 (4'700.00 + 240.00 + 2.4%)

Limitation: Verordnung nach Evaluation durch die klinische Expertengruppe der Swiss Group for Inborn Errors of Metabolism (SGIEM); Jährliche Evaluation durch klinische Expertengruppe der SGIEM.

Eventualiter beantragte sie, das Arzneimittel sei unter diesen Bedingungen in die Teil 1 der SL, nicht aber in die GGML aufzunehmen.

Weiter machte sie eine Verletzung des verfassungsmässigen Gleichbehandlungsgebots geltend (Art. 8 der Bundesverfassung der Schweizerischen Eidgenossenschaft vom 18. April 1999 [BV, SR 101]). Obwohl das Arzneimittel A._____ die gesetzlichen Voraussetzungen für die Aufnahme in die SL erfülle, habe die Vorinstanz eine Aufnahme verweigert. Demgegenüber seien verschiedene Arzneimittel, die ebenfalls zur Langzeit-Enzymersatztherapie bei Geburtsgebrechen eingestuft seien, in die Teil I der SL aufgenommen worden. Es lägen keine erheblichen tatsächlichen Unterschiede bzw. keine ernsthaften sachlichen Gründe für eine Ungleichbehandlung vor. Die Beschwerdeführerin warf der Vorinstanz zudem vor, sie verletze mit ihrer Verfügung das Willkürverbot gemäss Art. 9 BV und verstosse mit ihrem Verhalten gegen den Grundsatz von Treu und Glauben.

Zum Eventualantrag führte die Beschwerdeführerin aus, sie gehe davon aus, dass einer gleichzeitigen Listung eines Arzneimittels sowohl in der GGML als auch in der SL nichts entgegenstehen sollte, gebe es doch bereits andere Arzneimittel, welche in beiden Listen aufgeführt seien. Sollte dies jedoch aus rechtlichen Gründen nicht möglich sein, sei sie bereit, zu Gunsten der Aufnahme in die SL auf den Eintrag in der GGML zu verzichten.

I.
Mit Vernehmlassung vom 12. Dezember 2008 beantragte das BAG die Abweisung der Beschwerde.

Die Vorinstanz machte geltend, sie habe entgegen der Darstellung der Beschwerdeführerin nie zugesichert, dass das Arzneimittel A._____ in Teil I der SL aufgenommen werde. Vielmehr sei immer nur die Aufnahme in die GGML diskutiert worden. Es treffe zwar zu, dass A._____ vom Institut auf seine Wirksamkeit und Zweckmässigkeit geprüft worden sei und eine Zulassung erhalten habe. Damit sei aber nur eine der

Voraussetzungen für die Aufnahme in die SL erfüllt; der vorgeschlagene Preis sei jedoch nie als wirtschaftlich bezeichnet worden.

Weiter führt sie aus, beim Hunter-Syndrom handle es sich um eine sehr seltene, fast nur bei männlichen Kindern auftretende Krankheit, weshalb in der Schweiz praktisch keine Patienten betroffen seien, bei denen die medizinischen Leistungen nicht von der IV übernommen würden. Es sei auch auf Art. 27 KVG hinzuweisen, der gewährleiste, dass Leistungen bei Geburtsgebrechen, welche nicht von der IV übernommen würden, durch die OKP vergütet würden. Dies gelte auch für das Präparat A._____, das in der GGML aufgenommen sei.

Abschliessend legte die Vorinstanz dar, dass das Gebot der Gleichbehandlung nicht verletzt sei. Bei allen von der Beschwerdeführerin genannten Arzneimitteln lägen sachliche Gründe für eine Ungleichbehandlung mit dem vorliegend zu beurteilenden Arzneimittel vor.

J.
In ihrer Replik vom 4. März 2009 hielt die Beschwerdeführerin an den gestellten Rechtsbegehren und an deren Begründung fest und nahm zu den Vorbringen des BAG Stellung.

Sie habe – entgegen der Darstellung der Vorinstanz – stets die Aufnahme ihres Arzneimittels in die SL und nicht in die GGML beantragt und verhandelt. Die Vorinstanz habe in der Mitteilung vom 21. Mai 2007 zwar die Absicht geäussert, das Gesuch um Aufnahme in die SL abzuweisen; die Wirtschaftlichkeit des Präparates habe sie aber nicht umfassend geprüft.

In den gesetzlichen Bestimmungen und dem Handbuch betreffend die Spezialitätenliste (in der ab dem 1. Februar 2008 gültigen Fassung, *im Folgenden:* Handbuch SL) seien als einzige Voraussetzungen für eine Aufnahme in die SL die Erfüllung der Anforderungen der Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit genannt. Es fänden sich keine Hinweise darauf, dass Arzneimittel, die zur Behandlung einer gemäss GgV als Geburtsgebrechen zu qualifizierenden Erkrankung dienten, grundsätzlich nicht in die SL aufgenommen werden könnten. Im Weiteren hielt sie an der Rüge der Verletzung des Anspruchs auf rechtsgleiche Behandlung und des Willkürverbots fest. Die unterschiedliche Behandlung der in der Beschwerde genannten Arzneimittel ohne

nachvollziehbare Begründung führe zu einer Rechtsunsicherheit, welche für die Patienten schwere Folgen haben könne.

K.
Das BAG beantragte in ihrer Duplik vom 19. Mai 2009 erneut die Abweisung der Beschwerde und hielt im Wesentlichen an ihren bisherigen Vorbringen fest.

Die Vorinstanz führte ergänzend aus, der Beschwerdeführerin sei insoweit zuzustimmen, als der Umstand, dass ein Arzneimittel, welches zur Behandlung eines Geburtsgebrechens indiziert und in der GGML gelistet sei, grundsätzlich einer Aufnahme in die SL nicht entgegenstehe. Ein Präparat zur Behandlung eines Geburtsgebrechens, welches in der GGML aufgeführt sei, könne aber nur dann in die SL aufgenommen werden, wenn es einerseits die Kriterien der Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit erfülle, und andererseits das Gebrechen auch nach dem zwanzigsten Altersjahr erstmals auftreten könne. Für A._____ bedeute dies, dass eine Aufnahme in die SL nur in Frage käme, wenn mit klinischen Studien nachgewiesen würde, dass eine Behandlung auch bei der spät auftretenden, milden Form des Hunter-Syndroms (MPS IIB) wirksam sei.

L.
Mit Eingabe vom 26. Juni 2009 nahm die Beschwerdeführerin zur Duplik des BAG Stellung.

Sie machte geltend, die Duplik der Vorinstanz enthalte neue Vorbringen, welche nicht Bestandteil der angefochtenen Verfügung gewesen seien. Sie beantrage deshalb mit Verweis auf das Novenverbot, die diesbezüglichen Erwägungen als gegenstandslos aus den Akten zu weisen und bei der Beurteilung der Beschwerde nicht zu würdigen. Sollte das Bundesverwaltungsgericht dem Antrag nicht stattgeben, werde eine angemessene Fristerstreckung zur Stellungnahme beantragt.

M.
Die Vorinstanz verzichtete mit Schreiben vom 9. Juli 2009 auf eine Stellungnahme zu den Vorbringen der Beschwerdeführerin vom 26. Juni 2009.

N.
Mit Verfügung vom 14. Juli 2009 wies der Instruktionsrichter die Anträge

der Beschwerdeführerin vom 26. Juni 2009 ab und schloss den Schriftenwechsel.

O.
Am 29. Juli 2009 reichte die Beschwerdeführerin mit Verweis auf Art. 32 Abs. 2 des Bundesgesetzes vom 20. Dezember 1968 über das Verwaltungsverfahren (VwVG, SR 172.021) weitere Bemerkungen zur Duplik ein.

Sie führte im Weiteren einlässlich aus, entgegen der Ansicht des BAG sei das Arzneimittel A._____ zur Langzeitbehandlung von Patienten mit Hunter-Syndrom jeglichen Alters zugelassen und dessen Wirksamkeit nachgewiesen. Das Arzneimittel sei vom Institut im beschleunigten Verfahren unter aussergewöhnlichen Umständen zugelassen worden, da es sich um ein wichtiges Arzneimittel für seltene Krankheiten (Orphan Drug) handle. Es sei nach Massgabe der gesetzlichen Anforderungen auf Qualität, Sicherheit und Wirksamkeit geprüft worden, und es bestünden keine sachlichen Gründe dafür, A._____ anders als vergleichbare Arzneimittel zu behandeln.

P.
Nachdem der Instruktionsrichter den Schriftenwechsel mit Verfügung vom 6. August 2009 wieder eröffnet hatte, reichte das BAG am 9. Oktober 2009 eine weitere Stellungnahme ein.

Es machte geltend, falls in der Schweiz bei einer Person nach dem zwanzigsten Altersjahr MPS II diagnostiziert werde, könnte möglicherweise die OKP die Kosten übernehmen, obwohl das Präparat nicht auf der SL stehe. In diesem Falle wäre die Rechtsprechung zum „off-label-use“ massgebend. Jedoch sei darauf hinzuweisen, dass die (Therapie-)Kosten für A._____ sehr hoch seien, weshalb die Wirtschaftlichkeit des Präparates fraglich sei.

Mit Verfügung vom 12. Oktober 2009 stellte der Instruktionsrichter der Beschwerdeführerin die Eingabe der Vorinstanz vom 9. Oktober 2009 zu und schloss den Schriftenwechsel erneut.

Q.
Auf die weiteren Vorbringen der Parteien und die eingereichten Unterlagen wird – soweit für die Entscheidfindung erforderlich – im Rahmen der nachfolgenden Erwägungen näher eingegangen.

Das Bundesverwaltungsgericht zieht in Erwägung:

1.
Angefochten ist die Verfügung des BAG vom 14. Juli 2008, mit welcher das Gesuch um Aufnahme des Arzneimittels A._____ (Zulassungsnummer:_____; *im Folgenden:* A._____) in die SL (abgewiesen wurde.

1.1. Das Verfahren vor dem Bundesverwaltungsgericht richtet sich im Wesentlichen nach den Vorschriften des Bundesgesetzes vom 20. Dezember 1968 über das Verwaltungsverfahren (VwVG, SR 172.021) und des Bundesgesetzes vom 17. Juni 2005 über das Bundesverwaltungsgericht (VGG, SR 173.32, in Kraft seit dem 1. Januar 2007). Die Bestimmungen des Bundesgesetzes vom 6. Oktober 2000 über den Allgemeinen Teil des Sozialversicherungsrechts (ATSG, SR 830.1) sind vorliegend nicht anwendbar (Art. 1 Abs. 1 und 2 Bst. b KVG).

1.2. Die Zuständigkeit zur Beurteilung der vorliegenden Streitsache bestimmt sich nach Art. 31 ff. VGG. Danach beurteilt das Bundesverwaltungsgericht insbesondere Beschwerden gegen Verfügungen der Departemente und der ihnen unterstellten oder administrativ zugeordneten Dienststellen der Bundesverwaltung sowie der Anstalten und Betriebe des Bundes (Art. 33 Bst. d und e VGG).

Das BAG ist ein dem Eidgenössischen Departement des Innern (EDI) untergeordnetes Bundesamt (Art. 9 der Organisationsverordnung vom 28. Juni 2000 für das Eidgenössische Departement des Innern [OV-EDI, SR 172.212.1]) und für den Erlass von Verfügungen über die Aufnahme in die SL zuständig (Art. 52 Abs. 1 Bst. b des Bundesgesetzes vom 18. März 1994 über die Krankenversicherung [KVG, SR 832.10]).

Die angefochten Anordnung, die als Verfügung im Sinne von Art. 5 Abs. 1 VwVG zu qualifizieren ist, wurde damit von einer Vorinstanz des Bundesverwaltungsgerichts im Sinne von Art. 33 VGG erlassen. Es liegt keine Ausnahme gemäss Art. 32 VGG vor, so dass das Bundesverwaltungsgericht zur Beurteilung der vorliegenden Beschwerde zuständig ist.

1.3. Gemäss Art. 48 Abs. 1 VwVG ist zur Beschwerdeführung vor dem Bundesverwaltungsgericht legitimiert, wer vor der Vorinstanz am Verfahren teilgenommen hat, durch die angefochtene Verfügung besonders berührt ist und ein schützenswertes Interesse an deren Aufhebung oder Änderung hat.

Als Gesuchstellerin hat die Beschwerdeführerin am vorinstanzlichen Verfahren teilgenommen. Sie ist als Adressatin durch die angefochtene Verfügung ohne Zweifel besonders berührt und hat an deren Aufhebung bzw. Abänderung ein schutzwürdiges Interesse. Nachdem der einverlangte Verfahrenskostenvorschuss rechtzeitig geleistet wurde, ist auf die frist- und formgerecht eingereichte Beschwerde einzutreten (vgl. Art. 22*a* Abs. 1 Bst. b, 50 Abs. 1, 52 Abs. 1 und 63 Abs. 4 VwVG).

1.4. Gegenstand des vorliegenden Beschwerdeverfahrens ist einzig die Frage, ob das BAG zu Recht die Aufnahme des Arzneimittels A._____ in die SL (Teil I) abgewiesen hat. Nicht von der angefochtenen Verfügung umfasst und vorliegend nicht zu überprüfen ist dagegen die Aufnahme des Präparates in die GGML.

2.
Die Beschwerdeführerin kann im Rahmen des Beschwerdeverfahrens die Verletzung von Bundesrecht unter Einschluss des Missbrauchs oder der Überschreitung des Ermessens, die unrichtige oder unvollständige Feststellung des Sachverhalts sowie die Unangemessenheit des Entscheids beanstanden (Art. 49 VwVG).

2.1. Nach der Rechtsprechung hat auch eine Rechtsmittelbehörde, der volle Kognition zusteht, in Ermessensfragen einen Entscheidungsspielraum der Vorinstanz zu respektieren. Sie hat eine unangemessene Entscheidung zu korrigieren, kann aber der Vorinstanz die Wahl unter mehreren angemessenen Lösungen überlassen (BGE 133 II 35 E. 3). Das Bundesverwaltungsgericht hat daher nur den Entscheid der unteren Instanz zu überprüfen und sich nicht an deren Stelle zu setzen (vgl. BGE 126 V 75 E. 6). Insbesondere dann, wenn die Ermessensausübung, die Anwendung unbestimmter Rechtsbegriffe oder die Sachverhaltswürdigung hoch stehende, spezialisierte technische, wissenschaftliche oder wirtschaftliche Kenntnisse erfordert, ist eine Zurückhaltung des Gerichts bei der Überprüfung vorinstanzlicher Bewertungen angezeigt (vgl. BGE 135 II 296 E. 4.4.3, BGE 133 II 35 E. 3, BGE 128 V 159 E. 3b/cc). Es stellt daher keine unzulässige

Kognitionsbeschränkung dar, wenn das Gericht – das nicht als Fachgericht ausgestaltet ist – nicht ohne Not von der Auffassung der Vorinstanz abweicht, soweit es um die Beurteilung technischer, wissenschaftlicher oder wirtschaftlicher Spezialfragen geht, in denen die Vorinstanz über ein besonderes Fachwissen verfügt (vgl. BGE 135 II 296 E. 4.4.3, BGE 133 II 35 E. 3 mit Hinweisen; siehe zum Ganzen auch YVO HANGARTNER, Behördenrechtliche Kognitionsbeschränkungen in der Verwaltungsrechtspflege, *in:* Benoît Bovay/Minh Son Nguyen [Hrsg.], Mélanges en l'honneur de Pierre Moor, Bern 2005, S. 326 f.; RETO FELLER/MARKUS MÜLLER, Die Prüfungszuständigkeit des Bundesverwaltungsgerichts – Probleme der praktischen Umsetzung, *in:* Schweizerisches Zentralblatt für Staats- und Verwaltungsrecht [ZBl] 110/2009 S. 442 ff.).

2.2. Das Bundesverwaltungsgericht ist gemäss dem Grundsatz der Rechtsanwendung von Amtes wegen nicht an die Begründung der Begehren der Parteien gebunden (Art. 62 Abs. 4 VwVG). Es kann die Beschwerde auch aus anderen als den geltend gemachten Gründen gutheissen oder den angefochtenen Entscheid im Ergebnis mit einer Begründung bestätigen, die von jener der Vorinstanz abweicht (vgl. FRITZ GYGI, Bundesverwaltungsrechtspflege, 2. Aufl., Bern 1983, S. 212).

2.3. Im Verfahren vor dem Bundesverwaltungsgericht gilt entgegen der Auffassung der Beschwerdeführerin kein Novenverbot. Vielmehr sind neue Vorbringen, die entscheidwesentlich sein können, selbst dann noch zu berücksichtigen, wenn sie verspätet eingebracht werden (Art. 32 Abs. 2 und Art. 57 Abs. 2 VwVG). Das Gericht fällt seinen Entscheid in der Regel aufgrund der Sachlage, so wie sie sich im Urteilszeitpunkt darstellt – vorbehältlich spezialgesetzlicher Regelungen (vgl. MADELEINE CAMPRUBI, *in:* Christoph Auer/Markus Müller/Benjamin Schindler [Hrsg.], Kommentar zum Bundesgesetz über das Verwaltungsverfahren, Zürich/St. Gallen 2008, Rz. 10 zu Art. 62). Die von den Parteien im Beschwerdeverfahren vorgelegten Beweismittel und vorgebrachten Argumente sind daher zu berücksichtigen

2.4. Nach den allgemeinen intertemporalrechtlichen Grundsätzen (vgl. etwa BGE 125 II 598 mit weiteren Hinweisen) ist die Rechtmässigkeit einer Verfügung in der Regel nach der Rechtslage zur Zeit ihres Erlasses zu beurteilen; im Beschwerdeverfahren ist neues materielles Recht also grundsätzlich noch nicht anzuwenden. Dies gilt insbesondere dann, wenn das alte Recht für den Beschwerdeführenden im Ergebnis milder ist. Von

diesem Grundsatz ist allenfalls dann abzuweichen, wenn zwingende Gründe für die sofortige Anwendung des neuen Rechts sprechen (vgl. etwa BGE 125 II 598, BGE 120 Ib 319 f., BGE 112 Ib 42).

Am 26. April 2006 wurden die KVV und insbesondere die Regelungen betreffend die SL revidiert. Diese Bestimmungen sind am 10. Mai 2006 in Kraft getreten und vorliegend ohne Zweifel anzuwenden. Mit Verordnung vom 21. November 2007 wurden einzelne Bestimmungen betreffend die SL, insbesondere Art. 65 Abs. 5bis KVV, erneut revidiert. Es kann offen bleiben, ob im vorliegenden Beschwerdeverfahren diese neuen Bestimmungen, die am 1. Januar 2008 in Kraft traten, bereits anzuwenden sind, wurden doch die vorliegend relevanten Vorschriften materiell nicht geändert. Im Folgenden werden die gesetzlichen und verordnungsmässigen Bestimmungen in jener Fassung zitiert, die am 14. Juli 2008 in Kraft stand.

3.
Vorab sind die Bestimmungen und allgemeinen Grundsätze darzustellen, welche bei der Aufnahme von Arzneimitteln in die SL zu beachten sind.

3.1. Gemäss Art. 3 ATSG gilt als Krankheit jede Beeinträchtigung der körperlichen, geistigen oder psychischen Gesundheit, die nicht Folge eines Unfalls (vgl. dazu Art. 4 ATSG) ist und die eine medizinische Untersuchung oder Behandlung erfordert oder eine Arbeitsunfähigkeit zur Folge hat. Als Geburtsgebrechen gelten diejenigen Krankheiten, die bei vollendeter Geburt bestehen, wobei eine Krankheit jede Beeinträchtigung der körperlichen, geistigen oder psychischen Gesundheit ist, die nicht Folge eines Unfalls ist und die eine medizinische Untersuchung oder Behandlung erfordert oder eine Arbeitsunfähigkeit zur Folge hat.

3.2. Grundsätzlich übernimmt die OKP die Kosten für die Leistungen, die der Diagnose oder Behandlung von Krankheiten und ihren Folgen dienen (Art. 25 Abs. 1 KVG). Zu diesen Leistungen zählen insbesondere auch die ärztlich verordneten Arzneimittel (Art. 25 Abs. 2 lit. b KVG). Gemäss Art. 32 Abs. 1 KVG müssen die Leistungen nach Art. 25 KVG wirksam, zweckmässig und wirtschaftlich sein (Satz 1), wobei die Wirksamkeit nach wissenschaftlichen Methoden nachgewiesen sein muss (Satz 2).

Bei Geburtsgebrechen haben die bei der Invalidenversicherung Versicherten bis zum vollendeten 20. Altersjahr Anspruch auf die zur Behandlung notwendigen medizinischen Massnahmen (Art. 13 Abs. 1

des Bundesgesetzes vom 19. Juni 1959 über die Invalidenversicherung [IVG, SR 831.20]). Bei Geburtsgebrechen, die nicht durch die Invalidenversicherung gedeckt sind, übernimmt die Krankenversicherung bis zum 20. Altersjahr die Kosten für die gleichen Leistungen wie bei Krankheit (Art. 27 KVG, vgl. dazu BGE 126 V 103 mit Erläuterungen zu Art. 27 KVG und zum System der Abgrenzung zwischen Leistungen der Invaliden- und Krankenversicherung).

Der Bundesrat hat jene Geburtsgebrechen zu bezeichnen, für welche Leistungen (insbesondere auch die Abgabe von Arzneimitteln; vgl. Art. 14 Abs.1 Bst. b IVG) gewährt werden können. Er kann Leistungen ausschliessen, wenn das Gebrechen von geringfügiger Bedeutung ist (Art. 13 Abs. 2 IVG).

In Ausführung dieses Rechtsetzungsauftrags erliess der Bundesrat die GgV und stellte klar, dass die blosse Veranlagung zu einem Leiden nicht als Geburtsgebrechen gilt, wobei allerdings der Zeitpunkt, in dem ein Geburtsgebrechen als solches erkannt wird, unerheblich ist (Art. 1 GgV). Die anerkannten Geburtsgebrechen sind im Anhang der GgV aufgeführt.

3.3. Die nähere Bestimmung der Leistungen gemäss Art. 25 KVG obliegt dem Bundesrat (Art. 33 KVG). Er kann insbesondere jene ärztlichen Leistungen bezeichnen, deren Kosten von der OKP nicht oder nur unter bestimmten Bedingungen übernommen werden (Art. 33 Abs. 1 KVG). Zudem bezeichnet er insbesondere die nichtärztlichen Leistungen näher (Art. 33 Abs. 2 KVG) und bestimmt, in welchem Umfang die OKP die Kosten einer neuen oder umstrittenen Leistung übernimmt, deren Wirksamkeit, Zweckmässigkeit oder Wirtschaftlichkeit sich noch in Abklärung befindet (Art. 33 Abs. 3 KVG). Der Bundesrat setzt Kommissionen ein, die ihn bei der Bezeichnung der Leistungen beraten (Art. 33 Abs. 4 Satz 1 KVG). Die ihm in Art. 33 Abs. 1 bis 3 KVG (sowie Art. 96 KVG) delegierten Kompetenzen hat der Bundesrat durch Erlass von diesbezüglichen Bestimmungen in der KVV wahrgenommen.

Teilweise hat der Bundesrat seine Rechtsetzungskompetenzen in Anwendung von Art. 33 Abs. 5 KVG dem Eidgenössische Departement des Innern übertragen (vgl. Art. 48 Abs. 1 des Regierungs- und Verwaltungsorganisationsgesetz vom 21. März 1997 [RVOG, SR 172.010]; zur Subdelegationskompetenz des Bundesrates vgl. BGE 124 V 261 E. 6b; vgl. auch Art. 65 Abs. 3 und Art. 75 KVV). Dieses hat in Art. 30 ff. der Verordnung des EDI vom 29. September 1995 über Leistungen

in der obligatorischen Krankenpflegeversicherung (KLV, SR 832.112. 31) weitere Vorschriften über die SL aufgestellt.

3.4. Gemäss Art. 52 Abs. 1 lit. b KVG erstellt das Bundesamt eine Liste der pharmazeutischen Spezialitäten und konfektionierten Arzneimittel mit Preisen (Spezialitätenliste). Die Aufnahme eines Arzneimittels in diese abschliessende und verbindliche Liste ist grundsätzlich Voraussetzung für die Übernahme der Medikamentenkosten durch die OKP (BGE 134 V 83 E. 4.1, BGE 131 V 349 E. 2.2 mit Hinweis).

Für Geburtsgebrechen (Art. 3 Abs. 2 ATSG) werden die zum Leistungskatalog der Invalidenversicherung gehörenden therapeutischen Massnahmen in die Erlasse und Listen nach Art. 52 Abs. 1 KVG aufgenommen (Art. 52 Abs. 2 KVG). Das BSV hat in Umsetzung von Art. 52 Abs. 2 KVG per 1. Januar 2000 die GGML erlassen (heute wird die GGML durch das BAG geführt). Sie ist integraler Bestandteil der SL. Es ist nicht vorgesehen, dass Leistungen bei Geburtsgebrechen, die aufgrund des Alters der Patienten nicht mehr durch die Invalidenversicherung erbracht werden, durch die OKP weiterhin ausgerichtet werden. Das Gesetz verlangt vielmehr ausdrücklich die formelle Aufnahme von Medikamenten zur Behandlung von Geburtsgebrechen in die Listen nach Art. 52 Abs. 1 KVG (Art. 52 Abs. 2 KVG). In der GGML findet sich dazu – im Sinne einer generellen Limitation – folgender Einführungssatz: „Geburtsgebrechenmedikamente: Diejenigen Medikamente sind aus der OKP zu bezahlen, welche den Versicherten der Invalidenversicherung (IV) wegen ihres Geburtsgebrechens bis zu ihrem 20. Altersjahr vergütet worden sind und welche die Versicherte ab diesem Zeitpunkt weiterhin benötigt." Die Aufnahme eines Medikaments in die GGML hat damit nicht zur Folge, dass Arzneimittel zur Behandlung von Geburtsgebrechen, die erst nach dem 20. Altersjahr erstmals eingesetzt werden, von der OKP zu vergüten wären.

3.4.1. Ein Arzneimittel kann gemäss Art. 65 Abs. 1 KVV in die SL aufgenommen werden, wenn es über eine gültige Zulassung des Instituts verfügt (vgl. Art. 9 ff. des Bundesgesetzes vom 15. Dezember 2000 über Arzneimittel und Medizinprodukte [HMG, SR 812.21]). Das BAG kann die Aufnahme mit Bedingungen und Auflagen verbinden (Art. 65 Abs. 1bis KVV). Art. 65 Abs. 2 KVV wiederholt, dass die in die Liste aufzunehmenden Arzneimittel wirksam, zweckmässig und wirtschaftlich sein müssen. Für die Aufnahme eines Arzneimittels in die GGML müssen

diese allgemeinen Voraussetzungen ebenfalls erfüllt sein (vgl. Art. 32 Abs. 1, Art. 52 Abs. 1 und 2 KVG, Art. 65 Abs. 2 KVV), wobei allerdings die Besonderheiten der medikamentösen Behandlung von Geburtsgebrechen zu beachten sind.

3.4.2. Die Wirksamkeit von allopathischen Arzneimitteln ist durch klinisch kontrollierte Studien zu belegen (Art. 65 Abs. 3 KVV), wobei in der Regel auf jene Unterlagen zurückgegriffen werden kann, die für die Registrierung durch das Institut massgebend waren (Art. 32 KLV). Gemäss Art. 33 KLV wird die Zweckmässigkeit eines Arzneimittels in Bezug auf seine Wirkung und Zusammensetzung nach klinisch-pharmakologischen und galenischen Erwägungen, nach unerwünschten Wirkungen sowie nach der Gefahr missbräuchlicher Verwendung beurteilt. Auch in dieser Beziehung kann in der Regel auf die dem Institut vorgelegten Unterlagen abgestellt werden. Ein Arzneimittel gilt als wirtschaftlich, wenn es die indizierte Heilwirkung mit möglichst geringem finanziellem Aufwand gewährleistet (Art. 34 Abs. 1 KLV). Die Wirtschaftlichkeit wird aufgrund des Vergleichs mit anderen verwendungsfertigen Arzneimitteln und der Preisgestaltung im Ausland beurteilt (Art. 65 Abs. 3bis, 1. Satz KVV). In Art. 34 ff. KLV sind detaillierte Kriterien für die Beurteilung der Wirtschaftlichkeit festgelegt. Zu beachten ist allerdings, dass der verfassungsmässige Grundsatz der Verhältnismässigkeit (Art. 5 Abs. 2 BV) gebietet, bei Arzneimitteln mit einer Indikation, für die es nur eine einzige Behandlungsmöglichkeit gibt, die Aufnahme in die SL dann zu verweigern, wenn zwischen finanziellem Aufwand und Heilerfolg ein grobes Missverhältnis besteht (vgl. BGE 136 V 395 E. 7.4 mit Hinweisen).

3.4.3. Gesuche um Aufnahme von Arzneimitteln in die SL sind mit den zum Nachweis der Aufnahmevoraussetzungen erforderlichen, in Art. 30*a* KLV (nicht abschliessend) genannten Unterlagen beim BAG einzureichen (Art. 69 KVV). Dieses unterbreitet die Gesuche in der Regel der EAK, welche jedes Arzneimittel einer bestimmten Kategorie zuteilt (Art. 31 Abs. 1 und 2 KLV). Nicht der EAK unterbreitet werden dagegen insbesondere Gesuche um die Aufnahme von Generika und anderen Arzneimitteln, die beim Institut gestützt auf Art. 12 HMG zweitangemeldet wurden, sofern deren Originalpräparat bereits in die SL aufgenommen ist (Art. 31 Abs. 3 Bst. b KLV). Über die Aufnahme entscheidet das BAG, wobei es die Empfehlungen der EAK zu berücksichtigen hat (Art. 37*e* Abs. 1 KVV).

3.5. Gesetz- und Verordnungsgeber haben die Voraussetzungen zur Aufnahme von Arzneimitteln in die SL teilweise mit sehr unbestimmten Rechtsbegriffen umschrieben. Damit kommt dem BAG als rechtsanwendender Behörde ein relativ erheblicher Beurteilungsspielraum zu, den es in rechtmässiger, insbesondere verhältnismässiger, rechtsgleicher und willkürfreier Weise zu nutzen hat.

3.5.1. Zur Sicherstellung einer rechtmässigen Praxis hat das BAG das Handbuch SL erlassen, bei dem es sich um eine Verwaltungsverordnung handelt, also um eine generalisierte Dienstanweisung, welche der Gewährleistung einer einheitlichen, verhältnismässigen Verwaltungspraxis und der Sicherstellung der willkürfreien und rechtsgleichen Behandlung dient (vgl. ULRICH HÄFELIN/GEORG MÜLLER/FELIX UHLMANN, Allgemeines Verwaltungsrecht, 6. Aufl., Zürich/St. Gallen 2010, Rz. 123). Verwaltungsverordnungen müssen in jedem Fall durch ausreichende rechtssatzmässige Regelungen gedeckt sein. Sie sind zwar nicht als unmittelbar anwendbare Rechtssätze zu qualifizieren, können jedoch als Auslegungshilfen herangezogen werden – insbesondere dann, wenn es um die Anwendung unbestimmter Rechtsbegriffe im konkreten Einzelfall geht (vgl. Urteil des Bundesverwaltungsgerichts C-2263/2006 vom 7. November 2007 E. 5.1). Soweit die Bestimmungen des Handbuchs SL sich an den Rahmen des Gesetzes- und Verordnungsrechts halten und sich deren Anwendung auch im Einzelfall als recht- und insbesondere verhältnismässig erweist, ist das BAG aus Gründen der Rechtsgleichheit gehalten, diesen Bestimmungen zu folgen.

3.5.2. Das Handbuch SL enthält allerdings keine Vorschriften zur Beurteilung und Einteilung von Arzneimitteln zur Behandlung von Geburtsgebrechen. In seiner Ziff. 8 finden sich einzig einige Begriffsdefinitionen zum Thema Orphan Drugs, welche jedoch für das vorliegende Verfahren ohne Bedeutung sind. Aus dem Handbuch SL lassen sich daher keine Hinweise über die Praxis des BAG betreffend die Aufnahme von Arzneimitteln zur Behandlung von Geburtsgebrechen in die SL entnehmen.

4.

Das Arzneimittel A._____ enthält den Wirkstoff B._____. Es wurde vom Institut im vereinfachten Verfahren – insbesondere ohne Vorlage klinischer Studien mit heterozygoten weiblichen Patienten – nach Art. 14 Abs. 1 Bst. f HMG als Orphan Drug (vgl. www._____; alle

angegebenen Internetfundstellen zuletzt besucht am 27. Juli 2011) zur Enzymersatztherapie mit der Indikation "zur Langzeitbehandlung von Patienten mit Hunter-Syndrom (Mukopolysaccharidose II, MPS II)" unter Auflagen zugelassen. Eine Behandlung mit A._____ sollte von einem Arzt oder von anderem medizinischem Personal, das über Erfahrungen im Umgang mit Patienten mit MPS II Erkrankung oder anderen vererbbaren Stoffwechselerkrankungen verfügt, überwacht werden (vgl. zum Ganzen die Fachinformation zu A._____).

4.1. Das Hunter-Syndrom gehört zu den lysosomalen Speicherkrankheiten und wird X-chromosomal vererbt. Da das Enzym Iduronat-2-Sulfatase bei Patienten mit Hunter-Syndrom nicht oder nur in unzureichendem Masse vorhanden ist, sammeln sich zunehmend Glykosaminoglykane in den Zellen an. Dies führt zu Beschädigungen von Atemwegen, Herz, Leber, Milz, Knochen, Gelenken, Kopf, Hals und zentralem Nervensystem, zu psychomotorischer Regression und teilweise auch zu geistiger Retardierung. Das klinische Bild reicht von schweren Verläufen mit früher psychomotorischer Regression bis zu selteneren, leichten Ausprägungen, bei denen die Neugeborenen noch unauffällig sind und die Symptome erst allmählich auftreten.

Der Wirkstoff B._____ ist eine gereinigte Form des lysosomalen Enzyms Iduronat-2-Sulfatase. Durch die Behandlung von Patienten mit A._____ sollen exogene Enzyme zur Aufnahme in die zellulären Lysosomen zur Verfügung gestellt werden. Dieses Arzneimittel wurde vom Institut unter aussergewöhnlichen Umständen zugelassen, war es doch aufgrund der Seltenheit der Erkrankung nicht möglich, vollständige klinische Informationen erhältlich zu machen. Das Institut bewertet daher jährlich alle neuen Informationen, die verfügbar werden (vgl. zum Ganzen etwa www._____).

4.2. In den im vorliegenden Verfahren eingereichten Unterlagen wird grundsätzlich übereinstimmend zwischen einer schweren und einer leichten Form von MPS II unterschieden, wobei darauf hingewiesen wird, dass dazwischen eine grosse Vielfalt der Manifestationen festzustellen sei (vgl. dazu die Eingabe der Beschwerdeführerin vom 29. Juli 2009, Beilage 46: ELISABETH F. NEUFELD/JOSEPH MUENZER, The Mucopolysaccaridoses, *in:* Scriver CR, Beaudet AL, Sly WS, Valle D [Hrsg.], The Metabolic and Molecular Bases on Inherited Diseases, 8. Aufl., New York 2001, S. 3421 ff.). Die ersten Symptome der Krankheit zeigen sich oft bereits ab dem zweiten Lebensjahr, und Hunter-Patienten

sterben in der Regel schon vor Vollendung des 20. Altersjahrs an den Folgen der Krankheit; es sind jedoch auch Fälle bekannt, in denen Betroffene ein weit höheres Alter erreicht haben (vgl. dazu auch die „Scientific discussion“ der European Medicines Agency [EMEA], 2007, Duplikbeilage 1).

4.3. Angeborene Störungen des Mucopolysaccharid- und Glykoprotein-Stoffwechsels gehören gemäss Ziff XVIII Anhang I zur GgV zu den Geburtsgebrechen in Sinne der GgV (Nr. 454 des Anhangs), weshalb MPS II zu den anerkannten Geburtsgebrechen der Invalidenversicherung zu zählen ist.

5.
Da das Arzneimittel A._____ bereits am _____ in die GGML aufgenommen wurde, ist im vorliegenden Verfahren einzig zu beurteilen, ob es – wie hauptsächlich beantragt – auch in Teil I der SL (Spezialitäten der Schulmedizin) aufgenommen werden kann.

5.1. Die Vorinstanz hat die Aufnahme des zu beurteilenden Präparates in die SL vorerst mit dem Argument abgelehnt, es diene einzig der Behandlung eines durch die IV definierten Geburtsgebrechens. Derartige Präparate könnten zwar bei Erfüllung der Aufnahmebedingungen in die GGML aufgenommen werden, grundsätzlich aber nicht in Teil I der SL. Im Rahmen des Beschwerdeverfahrens räumte die Vorinstanz ein, die Aufnahme von Arzneimitteln zur Behandlung von Geburtsgebrechen in Teil I der SL komme in Frage, wenn die üblichen Aufnahmevoraussetzungen nach Art. 32 und 52 KVG erfüllt seien. Dies treffe für das zu beurteilende Präparat aber allein schon deshalb nicht zu, weil seine Wirksamkeit bei der milden, spät auftretenden Form des Hunter-Syndroms (MPS IIB) nicht durch klinische Studien belegt sei, und für schwerere, vor Erreichen des Erwachsenenalters auftretende Formen der Krankheit (MPS IIA) durch die Aufnahme des Präparats in die GGML eine Kostenübernahme durch die IV und deren Weiterführung durch die OKP sichergestellt sei. Die Wirtschaftlichkeit des Präparates bezüglich einer Aufnahme in Teil I der SL sei im vorinstanzlichen Verfahren nie bejaht worden und angesichts seines hohen Preises zu verneinen.

Die Beschwerdeführerin macht geltend, das zu beurteilende Präparat diene zwar der Behandlung eines durch die IV anerkannten Geburtsgebrechens. Dieses könne aber auch erst nach dem 20. Altesjahr diagnostiziert werden. Dabei sei es aus wissenschaftlicher Sicht nicht

haltbar, zwischen den Formen des Hunter-Syndroms MPS IIA und MPS IIB zu differenzieren. Die Studien, auf welche sich die Zulassung durch das Institut stütze, habe Patienten mit beiden Formen umfasst, die zu einem Viertel älter als 19 jährig gewesen seien, teilweise gar älter als 26 jährig. Der älteste von der Studie erfasste Patient sei *im Zeitpunkt der Diagnose* 23 jährig gewesen. Die Wirksamkeit des Präparates sei generell für Patienten mit Hunter-Syndrom belegt. Zudem sei es zweckmässig und wirtschaftlich.

5.2. Bei der IV versicherte Personen, die unter einem Geburtsgebrechen gemäss dem Anhang zur GgV leiden, haben bis zum Erreichen des 20. Altersjahr grundsätzlich Anspruch auf die Übernahme von Medikamentenkosten durch die IV. Nach dem 20. Altersjahr werden diese Kosten von der OLK übernommen, sofern das fragliche Medikament in die GGML aufgenommen und die Behandlung zuvor bereits von der IV vergütet worden ist. Die beantragte Aufnahme von A._____ in Teil I der SL könnte damit nur Personen betreffen, deren Behandlung mit diesem Arzneimittel bis zum 20. Altersjahr nicht von der IV übernommen worden ist, weil sie nicht bei der IV versichert waren, oder weil bei ihnen, insbesondere wegen später Diagnose, die Behandlung erst nach dem 20. Altersjahr begonnen hat.

Zu Recht betont die Vorinstanz mit Verweis auf Art. 27 KVG sowie die Lehre und die bundesgerichtliche Rechtsprechung (BGE 126 V 103), dass bei geburtsgebrechlichen Personen bis zum 20. Altersjahr, die bei der IV nicht versichert sind und daher keine Leistungen der IV beanspruchen können, eine Leistungspflicht der OKP besteht. Entgegen der Auffassung der Beschwerdeführerin könnte sich daher eine Aufnahme des zu beurteilenden Präparates in Teil I der SL mit Rücksicht auf ausländische Kinder mit Geburtsgebrechen, die in die Schweiz einreisen und die regelmässig nicht bei der IV versichert sind (Art. 9 Abs. 3 Bst. b i.V.m. Art. 6 Abs. 2 IVG), nicht rechtfertigen.

Wie die Beschwerdeführerin aber zu Recht festhält und von der Vorinstanz zuletzt auch nicht mehr bestritten worden ist, sind seltene Fälle bekannt, in denen das Hunter-Syndrom erst im Erwachsenenalter (nach Erreichen des 19. Altersjahres, vgl. PSCHYREMBEL, Klinisches Wörterbuch, 261. Auflage, Stichwort Lebensabschnitte) diagnostiziert wurde und eine Behandlung mit A._____ angezeigt ist – was sich aus der klinischen Studie H._____ ergibt, die in der "Scientific Discussion" der EMEA (S. 24 und 25, Duplikbeilage 1) zusammengefasst wird. Die im

Erwachsenenalter auftretende und zu diagnostizierende Form des Hunter-Syndroms verläuft in der Regel milder (MPS IIB [late onset], vgl. die zusammenfassende Darstellung der I._____ vom 9. August 2008 [Duplikbeilage 3], die zwar keine wissenschaftliche Studie darstellt, die aber als Meinungsäusserung einer ausserordentlich renommierten Klinik entgegen der Auffassung der Beschwerdeführerin durchaus zu beachten ist).

Damit kann sich die Prüfung des Nachweises der Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit auf die Anwendung des Präparates bei Patienten beschränken, bei denen erst im Erwachsenenalter das Hunter-Syndrom erkannt worden ist.

5.3. Bei der Beurteilung der Wirksamkeit ist von den Abklärungen des Instituts im Rahmen des Zulassungsverfahrens auszugehen. Zudem sind im Einzelfall die krankenversicherungsrechtlichen Besonderheiten zu beachten.

5.3.1. Das Arzneimittel A._____ wurde vom Institut für die Anwendung bei allen Formen von MPS II – ohne Beschränkung auf einzelne Formen der Krankheit oder bestimmte Patientengruppen – unter Auflagen zugelassen (vgl. allerdings den Hinweis auf fehlende klinische Studien mit heterozygoten weiblichen Patienten und fehlenden Erfahrungen mit Kindern unter 5 Jahren und Erwachsenen über 65 Jahren). Die Zulassung umfasst mithin auch die Behandlung von jüngeren Erwachsenen, die unter der Spätform MPS IIB leiden.

5.3.2. Zu beachten ist allerdings, dass die heilmittelrechtliche Zulassung für die Kassenpflichtigkeit eines Arzneimittels – und damit seine Aufnahme in die SL – zwar vorausgesetzt, aber letztlich nicht ausschlaggebend ist (vgl. BGE 136 V 395 E. 4.2 und 5.1, BGE 130 V 532 E. 3.2.2 und 3.4). Die Wirksamkeit einer Leistung im Sinne von Art. 32 Abs. 1 KVG ist gegeben, wenn die betreffende Behandlung geeignet ist, das angestrebte diagnostische oder therapeutische Ziel zu erreichen. Ob ein Arzneimittel wirksam ist, hängt somit entscheidend davon ab, welcher medizinische Erfolg damit erzielt werden kann (vgl. GEBHARD EUGSTER, Krankenversicherung, *in:* Ulrich Meyer [Hrsg.], Schweizerisches Bundesverwaltungsrecht – Soziale Sicherheit, 2. Aufl., Basel/Genf/München 2007, Rz. 286; vgl. auch BGE 123 V 63 E. 2c/bb).

5.3.3. Umstritten ist in erster Linie, ob es der Beschwerdeführerin gelungen ist, die Wirksamkeit des zu beurteilenden Arzneimittels bei der Behandlung von Patienten, bei denen erst im Erwachsenenalter das Hunter-Syndrom erkannt worden ist (MPS IIB-Fälle), zu belegen. Im Rahmen des beschleunigten und vereinfachten Zulassungsverfahrens vor dem Institut wurden keine speziellen klinischen Studien vorgelegt, mit welchen die Wirksamkeit bei dieser Patientengruppe geprüft worden wäre. Die Beschwerdeführerin weist zwar zu Recht darauf hin, dass in der von der EMEA diskutierten Studie H._____ insgesamt 96 Patienten im Alter von 5 bis 30.9 Jahren untersucht worden sind, von denen 25% älter als 19 Jahre waren (vgl. "Scientific Discussion" der EMEA, 2007, S. 24 und 25 [Duplikbeilage 1]). Eine auf MPS IIB-Fälle bezogene Auswertung der Studienergebnisse liegt aber nicht vor. Obwohl nicht zu bestreiten ist, dass die Zahl von MPS IIB-Fällen äusserst gering sein dürfte, was die Durchführung aussagekräftiger klinischer Studien wesentlich erschwert oder gar verunmöglicht, bleibt es damit wissenschaftlich unbelegt, dass das Arzneimittel A._____ auch bei der milden Form des Hunter-Syndroms MPS IIB ausreichend wirksam ist. Auch wenn die klinische Wirksamkeit bei der Behandlung des Hunter-Syndroms an sich als wissenschaftlich ausreichend bewiesen zu gelten hat, was sich aus der Beurteilung durch das Institut im Rahmen des Zulassungsverfahrens ergibt, kann daraus nicht geschlossen werden, dass die Wirksamkeit bei jeder Form der Krankheit in gleicher Weise gegeben ist. Hierzu fehlen differenzierende Untersuchungen. Der Beschwerdeführerin ist es damit nicht gelungen, die Wirksamkeit des zu beurteilenden Arzneimittels im Sinne von Art. 32 Abs. 1 KVG für die hier interessierende Patientengruppe zu beweisen.

5.3.4. Mit dem Arzneimittel A._____ kann das Hunter-Syndrom nicht geheilt werden ("Scientific Discussion" der EMEA, 2007, S. 42 [Duplikbeilage 1]). In der Studie H._____, auf welche sich die Zulassung von A._____ durch das Institut und die genehmigte Fachinformation im Wesentlichen stützen, wurden folgende Wirksamkeitsendpunkte untersucht: Primär – als Mass für die Ausdauer – die Entfernung in Metern, die in sechsminütigen Gehtests zurückgelegt wurde, und – als Mass für die Lungenfunktion – die Veränderungen der forcierten Vitalkapazität in Prozent vom Sollwert. Zusätzliche Analysen des klinischen Nutzens wurden für einzelne Komponenten der zusammengesetzten Bewertungsziffer für den primären Endpunkt durchgeführt: absolute Veränderungen in der forcierten Vitalkapazität, Veränderungen der GAG-Spiegel im Harn, Veränderungen der Leber-

und Milzvolumina, Messung der Sekundenkapazität und Veränderungen der linksventrikulären Masse. Die Studie ergab nach 52-wöchiger Behandlung mit A._____ gegenüber Placebo statistisch signifikante Verbesserungen. So konnte im Gehtest eine Verlängerung der Gehstrecke unter A._____ von 43,3 m gegenüber 8,2 m unter Placebo ermittelt werden und ergab sich eine Zunahme der forcierten Vitalkapazität unter A._____ von 4,2 % des Sollwerts gegenüber -0,04 % unter Placebo. Auch bei den übrigen, sekundären Endpunkten zeigten sich statistisch signifikante Verbesserungen. Die klinischen Daten lassen jedoch keinen Nutzen hinsichtlich der neurologischen Manifestationen des Hunter-Syndroms erkennen (vgl. zum Ganzen die Fachinformation von A._____, "Klinische Wirksamkeit"). Festzuhalten ist darüber hinaus, dass sich in den medizinisch-wissenschaftlichen Akten keine Hinweise auf eine lebensverlängernde Wirkung der Therapie finden.

Die vom Institut im Rahmen der Zulassung als Orphan Drug als ausreichend akzeptierte klinische Dokumentation weist damit eine Besserung der gesundheitlichen Situation von Hunter-Syndrom-Patienten unter A._____ nach, die zwar nicht einer Heilung entspricht und bei der keine lebensverlängernde Wirkung nachgewiesen ist, welche aber das Leiden der Patienten vermindern und allgemein ihre Lebensqualität erhöhen kann. Die Wirksamkeit und der therapeutische Nutzen bei der Behandlung des Hunter-Syndroms ist daher zwar grundsätzlich belegt. Mangels spezifischer klinischer Studien mit MPS IIB-Patienten und einer auf diese Patienten bezogenen Auswertung der Studie H._____ ist aber wissenschaftlich nicht nachgewiesen, ob und allenfalls in welchem Ausmass dieser therapeutische Nutzen auch bei der hier interessierenden Patientengruppe mit der milden Spätform des Hunter-Syndroms eintritt.

5.4. Zusammenfassend ist festzuhalten, dass die Wirksamkeit des zu beurteilenden Arzneimittels bei der Behandlung von Patienten mit erst im Erwachsenenalter erkanntem Hunter-Syndrom (MPS IIB) nicht rechtsgenüglich nachgewiesen wurde. Eine Aufnahme des Arzneimittels in Teil I der SL ist allein schon aus diesem Grunde nicht möglich.

Unter diesen Umständen kann offen bleiben, ob es der Beschwerdeführerin gelungen ist, die Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit des Einsatzes von A._____ bei MPS IIB-Patienten zu belegen – und auf die Rüge der Beschwerdeführerin ist nicht weiter einzugehen, das BAG habe im vorinstanzlichen Verfahren einem

Fabrikabgabepreis von Fr. 4'700.- zugestimmt, so dass es Treu und Glauben verletze und willkürlich sei, wenn sie nun die Wirtschaftlichkeit in Frage stelle.

6.
Die Beschwerdeführerin macht allerdings geltend, mit der Nichtaufnahme des Arzneimittels A._____ in Teil I der SL verletze die Vorinstanz ihren Anspruch auf Gleichbehandlung, seien doch im Teil I der SL verschiedene Arzneimittel aufgenommen, welche ebenfalls zur Behandlung erblich bedingter lysosomaler Speicherkrankheiten indiziert und als Geburtsgebrechen im Sinne der GgV anerkannt seien.

6.1. Der Anspruch auf Gleichbehandlung (Art. 8 Abs. 1 BV) verlangt, dass Rechte und Pflichten der Betroffenen nach dem gleichen Massstab festzusetzen sind. Gleiches ist nach der Massgabe seiner Gleichheit gleich, Ungleiches nach Massgabe seiner Ungleichheit ungleich zu behandeln. Das Gleichheitsprinzip verbietet einerseits unterschiedliche Regelungen, denen keine rechtlich erheblichen Unterscheidungen zu Grunde liegen. Andererseits untersagt es aber auch die rechtliche Gleichbehandlung von Fällen, die sich in tatsächlicher Hinsicht wesentlich unterscheiden. Die Gleichbehandlung ist allerdings nicht nur dann geboten, wenn zwei Tatbestände in allen ihren tatsächlichen Elementen absolut identisch sind, sondern auch, wenn die im Hinblick auf die anzuwendende Norm relevanten Tatsachen gleich sind (BGE 131 I 377 E. 3, 123 I 1 E. 2; vgl. HÄFELIN/MÜLLER/UHLMANN, a.a.O., Rz. 495 ff.). Bei der Rechtsanwendung ist zu beachten, dass die Rechtsgleichheit teilweise bereits durch die Bindung der rechtsanwendenden Behörden an generell-abstrakte Rechtsnormen gewährleistet wird. Sofern jedoch der Rechtssatz durch das Verwenden unbestimmter Rechtsbegriffe oder das Einräumen von Ermessen einen Spielraum offen lässt, hat die rechtsanwendende Behörde davon in allen gleich gelagerten Fällen gleichen Gebrauch zu machen. Eine rechtsanwendende Behörde verletzt dann den Gleichheitsgrundsatz, wenn sie zwei tatsächliche Situationen ohne sachlichen Grund unterschiedlich beurteilt (HÄFELIN/MÜLLER/UHLMANN, a.a.O. Rz. 507 f.).

Der Grundsatz der Gesetzmässigkeit der Verwaltung geht dem Rechtsgleichheitsprinzip im Konfliktfall in der Regel vor. Trifft eine Behörde in einem Fall eine vom Gesetz abweichende Entscheidung, gibt das Privaten, die sich in der gleichen Lage befinden, grundsätzlich keinen Anspruch darauf, ebenfalls abweichend von der Norm behandelt zu

werden (Gleichbehandlung im Unrecht; BGE 135 IV 191 E. 3.3, 126 V 390 E. 6, 124 IV 44 E. 2c, 122 II 446 E. 4). Dies gilt allerdings nur, wenn die abweichende Behandlung lediglich in einem einzigen oder in einigen wenigen Fällen erfolgt. Besteht hingegen eine eigentliche gesetzeswidrige Praxis und lehnt es die Behörde ab, diese aufzugeben, so können Private verlangen, dass die widerrechtliche Begünstigung, die Dritten zuteil wurde, auch ihnen gewährt wird (BGE 136 I 65 E. 5.6, BGE 127 I 1 E. 3a, BGE 123 II 248 E. 3c; VPB 69.96 E. 5.2, VPB 67.58 E.3.2.1 f., vgl. auch PIERRE TSCHANNEN, Zur Gleichheit im Unrecht: Gerichtsstrafe im Grundrechtskleid, *in:* ZBl 2011, S. 57).

6.2. Wie bereits dargestellt wurde, ist es der Beschwerdeführerin nicht gelungen, die Wirksamkeit des zu beurteilenden Arzneimittels bei der vorliegend interessierenden Behandlung von Patienten mit erst im Erwachsenenalter erkanntem Hunter-Syndrom (MPS IIB) zu belegen. Die Beschwerdeführerin macht nicht geltend, die Wirksamkeit anderer als Orphan Drugs zugelassener Arzneimittel zur Langzeit-Enzymersatztherapie angeborener lysosomalen Speicherkrankheiten, die in Teil I der SL aufgenommen sind, sei ebenfalls nicht oder ungenügend bewiesen. Aufgrund der Akten und insbesondere der Zulassung durch das Institut und die Aufnahme dieser Präparate in Teil 1 der SL ist vielmehr davon auszugehen, dass deren Wirksamkeit im Sinne von Art. 32 Abs. 1 KVG nachgewiesen ist.

In tatsächlicher Hinsicht unterscheidet sich damit das zu beurteilende Arzneimittel wesentlich von andern für gleichartige Krankheiten zugelassenen Präparaten, die in Teil 1 der SL aufgenommen sind. Damit ist eine unterschiedliche, differenzierende Behandlung angezeigt. Eine Verletzung des Gleichbehandlungsgebotes liegt allein schon aus dieser Sicht nicht vor.

6.3. Wenn davon ausgegangen würde, dass die Wirksamkeit auch der anderen zur Behandlung angeborener lysosomalen Speicherkrankheiten zugelassenen, in Teil I der SL aufgenommenen Arzneimittel nicht belegt wäre – wofür sich keine Hinweise finden –, müsste die Rüge der rechtsungleichen Behandlung unter dem Gesichtswinkel der Gleichbehandlung im Unrecht geprüft werden.

Die Praxis der Vorinstanz bei der Aufnahme von Arzneimitteln in die SL, die ausschliesslich zur Behandlung von Geburtsgebrechen indiziert sind, ist nicht einheitlich. Neben den erwähnten, in Teil I der SL aufgenommenen Präparaten zur Langzeit-Enzymersatztherapie angeborener lysosomalen Speicherkrankheiten finden sich auch solche, die nur in der GGML zu finden sind (z.B. Naglazyme). Es finden sich zudem keine Anhaltspunkte dafür, dass die Vorinstanz künftighin entgegen der gesetzlichen Regelung Arzneimittel in Teil I der SL aufnehmen will, deren Wirksamkeit nicht belegt ist. Unter diesen Umständen vermag die Berufung der Beschwerdeführerin auf die Rechtsgleichheit keine Aufnahme des zu beurteilenden Präparates in Teil I der SL zu rechtfertigen.

7.
Damit steht fest, dass die Vorinstanz zu Recht das Gesuch der Beschwerdeführerin um Aufnahme des Arzneimittels A._____, in Teil I der SL abgewiesen hat. Die vorliegende Beschwerde ist daher abzuweisen.

8.
Zu befinden bleibt noch über die Verfahrenskosten und eine allfällige Parteientschädigung.

8.1. Als unterliegende Partei hat die Beschwerdeführerin die Verfahrenskosten zu tragen (Art. 63 Abs. 1 VwVG). Diese setzen sich zusammen aus der Gerichtsgebühr und den Auslagen (Art. 1 des Reglements vom 21. Februar 2008 über die Kosten und Entschädigungen vor dem Bundesverwaltungsgericht [VGKE, SR 173. 320.2]). Die Gerichtsgebühr bemisst sich nach Umfang und Schwierigkeit der Streitsache, Art der Prozessführung und finanzieller Lage der Parteien (Art. 63 Abs. 4bis VwVG und Art. 2 Abs. 1 VGKE). Für das vorliegende Verfahren sind die Verfahrenskosten auf Fr. 4'000.- festzusetzen und mit dem bereits geleisteten Verfahrenskostenvorschuss von gleicher Höhe zu verrechnen.

8.2. Der obsiegenden Partei kann von Amtes wegen oder auf Begehren eine Entschädigung für ihr erwachsene notwendige und verhältnismässig hohe Kosten zugesprochen werden (Art. 64 Abs. 1 VwVG). Als

Bundesbehörde hat das obsiegende BAG jedoch keinen Anspruch auf Parteientschädigung (Art. 7 Abs. 3 VGKE).

Demnach erkennt das Bundesverwaltungsgericht:

1.
Die Beschwerde wird abgewiesen.

2.
Die Verfahrenskosten von Fr. 4'000.- werden der Beschwerdeführerin auferlegt. Sie werden mit dem bereits geleisteten Kostenvorschuss von Fr. 4'000.- verrechnet.

3.
Es wird keine Parteientschädigung zugesprochen.

4.
Dieses Urteil geht an:

– die Beschwerdeführerin (Gerichtsurkunde)
– die Vorinstanz (Ref-Nr._____)
– das Eidgenössische Departement des Innern

Der vorsitzende Richter: Der Gerichtsschreiber:

Stefan Mesmer Marc Wälti

Rechtsmittelbelehrung:

Gegen diesen Entscheid kann innert 30 Tagen nach Eröffnung beim Bundesgericht, Schweizerhofquai 6, 6004 Luzern, Beschwerde in

öffentlich-rechtlichen Angelegenheiten geführt werden (Art. 82 ff., 90 ff. und 100 des Bundesgerichtsgesetzes vom 17. Juni 2005 [BGG, SR 173.110]). Die Rechtsschrift ist in einer Amtssprache abzufassen, hat die Begehren, deren Begründung mit Angabe der Beweismittel und die Unterschrift zu enthalten. Der angefochtene Entscheid und die Beweismittel sind, soweit sie der Beschwerdeführer in Händen hat, beizulegen (Art. 42 BGG).

Versand: