

L 11 SF 74/13 ER

Land
Nordrhein-Westfalen
Sozialgericht
LSG Nordrhein-Westfalen
Sachgebiet
Sonstige Angelegenheiten
Abteilung

11
1. Instanz
SG Duisburg (NRW)
Aktenzeichen
S 9 KN 200/08 KR

Datum
12.10.2012
2. Instanz
LSG Nordrhein-Westfalen
Aktenzeichen

L 11 SF 74/13 ER
Datum
28.06.2013

3. Instanz
Bundessozialgericht
Aktenzeichen

-
Datum

-
Kategorie
Beschluss

Der Antrag der Beklagten, die Vollstreckung aus dem angefochtenen Urteil des Sozialgerichts Duisburg vom 12.10.2012 durch einstweilige Anordnung auszusetzen, wird abgelehnt. Die Beklagte trägt die erstattungsfähigen außergerichtlichen Kosten des Klägers.

Gründe:

I.

Streitig ist, ob der Kläger Anspruch auf Kostenübernahme für das Arzneimittel Myozyme im Rahmen einer Enzyersatztherapie zur Behandlung eines "Morbus Pompe" hat. Hierbei handelt es sich um eine seltene progressive Muskelerkrankung, die mit einer exzessiven Speicherung von Glykogen in der gesamten Muskulatur einhergeht und mit Lähmungen bis hin zur Rollstuhlpflichtigkeit sowie späterer Beatmungsnotwendigkeit verbunden sein kann. Der durch diese Erkrankung hervorgerufene Enzymmangel führt zu Ansammlungen von Glykogen insbesondere im Herzmuskel, der Atem- und Skelettmuskulatur.

Das Arzneimittel Myozyme ist seit März 2006 durch die Europäische Zulassungsbehörde (EMA) für die Indikation "Morbus Pompe" ohne Beschränkung auf bestimmte Verlaufsformen zugelassen. Im europäischen Beurteilungsbericht heißt es: "Für die späte Verlaufsform der Krankheit wurde der Nutzen von Myozyme nicht nachgewiesen. Das Unternehmen wird die Wirkung von Myozyme bei Patienten mit Morbus Pompe in der späten Verlaufsform weiter untersuchen." Die Herstellerfirma Genzyme hat in der Folgezeit eine sogenannte LOT-Studie (Late-Onset-Treatment-Study) in Auftrag gegeben. Das Bundesinstitut für Arzneimittel und Medizinprodukte (BfArM) hat die Arzneimittelzulassung auf die späte (adulte) Form des Morbus Pompe erstreckt.

Der am 00.00.1967 geborene, an Morbus Pompe erkrankte Kläger ist bei der Beklagten pflichtversichert. Seinen erlernten Beruf als Schlosser kann er krankheitsbedingt nicht mehr ausüben; er arbeitet als Fahrer bei der S AG. Im Jahre 1997 wurde bei ihm ein Morbus Pompe der adulten Verlaufsform bioptisch und molekulargenetisch diagnostiziert. Der Kläger leidet unter einer progressiven Myopathie der proximalen Muskulatur im Becken- und Schultergürtelbereich sowie Beteiligung der Atemfunktion im Sinne einer zentralen Schlafapnoe. Zudem wurde ein Brugada-Syndrom festgestellt, eine seltene und meist autosomal-dominant, typischerweise mit unvollständiger Penetranz vererbte Krankheit des Herzens. Im Jahre 2003 wurde er mit einem BiPAP-Gerät versorgt. Im Jahre 2002 erfolgte die Implantation eines ICD (kardioverter Defibrillator).

Seit September 2006 erhält der Kläger auf Veranlassung von Prof. Dr. Z (Leitender Arzt der Abteilung für Ambulante Neurologie - Schlafmedizin des Medizinischen Versorgungszentrums am Universitätsklinikum M (UKM)) eine Enzymsubstitutionsbehandlung mit dem Medikament Myozyme. Die Enzymtherapie bewirkt eine Entspeicherung der pathologisch angelegten Überspeicherung von Glykogen und besteht in einer alle zwei Wochen, zunächst im UKM vorgenommenen Infusionsgabe. Die monatlichen Kosten für diese Behandlung belaufen sich auf rund 34.000 EUR, die die Beklagte zunächst übernahm.

Nachdem der Kläger sich in eine wohnortnahe Behandlung bei Dr. M (Arzt für Innere Medizin, Hämatologie, Onkologie, Spezielle Schmerztherapie, Palliativmedizin, Medizinisches Versorgungszentrum E-West) begeben hatte, wandte sich jener an die Beklagte (Schreiben vom 16.02.2007) und bat um Kostenübernahme für die seinen Ausführungen zufolge medizinisch notwendige und alternativlose Therapie. Die Beklagte teilte ihm daraufhin mit, sie beabsichtige ein Gutachten einzuholen; bis dahin könne die Therapie nach Verordnung auf einem Kassenrezept ambulant in der Praxis durchgeführt werden. In dem sodann erstellten Gutachten vom 03.07.2007 führte Dr. P (Medizinischen Dienst der Krankenversicherung - MDK -, Fachreferat Arzneimittel, Neue und Unkonventionelle Heilmethoden) unter anderem aus, nach Auskunft des BfArM sei die Zulassung für alle Verlaufsformen erteilt worden, so dass auch die späte Verlaufsform von der Indikation erfasst

sei. In Studien bei 15 Patienten habe jedoch kein eindeutiger Nutzen nachgewiesen werden können. Derzeit werde zur Evaluation der Wirksamkeit bei später Verlaufsform eine doppelblinde, randomisierte, placebokontrollierte Studie im Rahmen einer Phase-III-Studie durchgeführt, deren Ergebnisse noch nicht vorlägen. Insgesamt weise die Erkrankung eine sehr große Variabilität bezüglich des Erkrankungsbeginns, der Beteiligung der verschiedenen Organe, der klinischen Ausprägung sowie der Progressionsrate auf. Eine sichere Vorhersage zum individuellen Verlauf sei nicht möglich. Außer der beantragten Enzymtherapie gebe es keine Möglichkeit, die Progression und das Auftreten irreversibler muskulärer Funktionsdefizite zu verhindern. Weiter heißt es: "Angesichts des benannten individuellen Therapieerfolgs einer gewissen motorischen Verbesserung bzw. zumindest Stabilisierung, Myozyme als einziger Option mit kausalem Therapieansatz und der begrenzten Wirksamkeit anderer vertraglicher, symptomatischer Therapiemaßnahmen sowie des arzneimittelrechtlichen Zulassungsstatus auch für die vorliegende Spätform des Morbus Pompe ist angesichts der aktuellen Rechtsprechung mit dem Fokus auf Berücksichtigung auch des individuellen Verlaufs bei lebensbedrohlichen, regelmäßig tödlich verlaufenden Erkrankungen oder solchen Erkrankungen mit diesen gleichstellbaren Organfunktionsverlusten (z.B. Erblindung), eine gewisse Rationale zur beantragten Fortführung der Therapie dieses schwerwiegenden, u.U. lebensbedrohlichen Krankheitsbildes mit Myozyme aus medizinischer Sicht nachvollziehbar, wenngleich eine Nutzenbewertung im Sinne der Ziffer 13 der AMR aufgrund derzeit fehlender wissenschaftlicher Daten für die Spätform noch nicht zuverlässig möglich ist."

Die Beklagte holte Befundberichte der behandelnden Ärzte ein. In seiner Bescheinigung vom 14.05.2008 führt Prof. Dr. Z (UKM) unter anderem aus: Seit Beginn der Enzymtherapie mit Myozyme zeige sich der Krankheitsverlauf stabil. Auch die vorläufigen Ergebnisse der LOT-Studie schienen einen Therapieeffekt bei Morbus Pompe nachzuweisen. Er sehe daher die Enzyersatztherapie zur Erhaltung der vorhandenen Muskelfunktionen sowie zur Verhinderung einer weiteren Krankheitsprogression als dringend indiziert an. Dr. M gab im Schreiben vom 10.06.2008 an, er teile den Eindruck, dass die Erkrankung nicht weiter fortschreite; die Therapie werde gut vertragen. Ende des Jahres sei mit der Publikation der LOT-Studie zu rechnen.

Mit Bescheid vom 25.06.2008 eröffnete die Beklagte dem Kläger, die weitere Kostenübernahme von Myozyme könne derzeit nicht befürwortet werden. Eine Nutzenbewertung im Sinne von Ziffer 13 der Richtlinie über die Verordnung von Arzneimitteln in der vertragsärztlichen Versorgung (AMR) sei aufgrund fehlender wissenschaftlicher Daten für die Spätform nicht zuverlässig möglich. Die Evidenz aus den Zulassungsunterlagen und veröffentlichten Studien beziehe sich auf weniger als zehn Fälle mit uneinheitlichem Ansprechen. Soweit neue klinische Symptome nicht aufgetreten seien und die bestehende Symptomatik sich nicht verschärft habe, könne dies nicht gesichert der Enzyersatztherapie zugeschrieben werden. Verlässliche Angaben seien erst nach Abschluss der derzeit noch laufenden Studie möglich. Der Nutzen von Myozyme bei der späten Verlaufsform sei noch nicht belegt. Erprobungen von Arzneimitteln auf Kosten des Versicherungsträgers seien unzulässig. Der Vertragsarzt dürfe Arzneimittel mit nicht ausreichend gesichertem therapeutischen Nutzen nicht verordnen.

Hiergegen richtete sich der Widerspruch des Klägers. Die Fortsetzung der Behandlung mit Myozyme sei lebensnotwendig. Erstmalig seit Therapiebeginn im September 2006 habe der Krankheitsverlauf stabilisiert werden können. Eine Behandlungsalternative sei nicht vorhanden. Die vom BfArM erteilte Zulassung erstrecke sich ausdrücklich auch auf Patienten mit Morbus Pompe in der späten Verlaufsform. An die von der EMEA und dem BfArM erteilte Zulassung sei die Beklagte gebunden. Der Kläger hat ergänzend auf ein Attest von Dr. M vom 30.06.2008 verwiesen, wonach die vorliegende Erkrankung ohne Behandlung progredient tödlich verlaufe. Ferner hat er Stellungnahmen von Prof. Dr. Z (UKM) vom 14.05.2008 und 21.07.2008 vorgelegt, der insbesondere eine Stabilisierung des Krankheitsverlaufs, namentlich im Sinne einer stabilen Vitalkapazität bestätigt und dies auf die Enzyersatztherapie zurückführt. Ohne die kontinuierliche Weiterbehandlung sei eine Erkrankungsprogredienz höchstwahrscheinlich, eine zunehmende Behinderung des Patienten nahezu sicher sowie eine Reduktion der Leistungsfähigkeit und der Verlust des Arbeitsplatzes höchstwahrscheinlich. Die LOT-Studie sei zwischenzeitlich abgeschlossen; hierdurch werde eine Verbesserung der Gehfähigkeit und der Vitalkapazität belegt.

Mit Widerspruchsbescheid vom 30.07.2008 wies die Beklagte den Widerspruch aus den Gründen des Ausgangsbescheides zurück und führte ergänzend aus: Die Wirksamkeit von Myozyme bei Patienten mit später Verlaufsform sei bislang wissenschaftlich nicht mit hinreichender Sicherheit belegt, wie aus dem Bericht des Instituts für Klinische Pharmakologie des Klinikums Bremen-Mitte aus Februar 2007 sowie aus der Stellungnahme ihrer Pharmazeutischen Beratungs- und Prüfstelle vom 19.06.2008 hervorgehe. Eine Studie über die Sicherheit, Wirksamkeit und Pharmakokinetik von Myozyme bei Patienten mit später Verlaufsform des Morbus Pompe sei noch nicht abgeschlossen. Eine Nutzenbewertung im Sinne der Ziffer 13 AMR sei angesichts derzeit noch fehlender wissenschaftlicher Daten für die Spätform nicht zuverlässig möglich. Ein individueller Nutzen der seit August 2007 durchgeführten Therapie sei anhand der vorliegenden Arztberichte nicht erkennbar. Soweit sich die Symptomatik stabilisiert habe, könne dies angesichts der langsamen Progredienz nicht gesichert der Enzyersatztherapie zugeschrieben werden. Infolge der extrem hohen Kosten und des nicht nachgewiesenen Nutzens scheidet eine weitere Kostenübernahme aus.

Diesen Bescheid hat der Kläger am 15.08.2008 durch Klage beim Sozialgericht (SG) E angegriffen. Er trägt vor: Bei Myozyme handele es sich um ein verkehrsfähiges, apothekenpflichtiges, zugelassenes Arzneimittel, welches vom Sachleistungsanspruch nach § 31 des Sozialgesetzbuches Fünftes Buch (SGB V) umfasst sei. Die Beklagte sei an die Zulassung gebunden, zumal es sich bislang um die einzige kausale Behandlungsmöglichkeit für ihn handele. Wirtschaftlichere Alternativen stünden nicht zur Verfügung. Eine Kosten-Nutzen-Bewertung scheidet deswegen aus. Seit Beginn der Therapie habe sich sein Gesundheitszustand stabilisiert; insbesondere hätten die ansonsten zu erwartenden schwerwiegenden Krankheitsfolgen verhindert werden können. Zwischenzeitlich liege die vom Pharmahersteller in Auftrag gegebene LOT-Studie vor. Hieraus folge, dass Myozyme das nach dem anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse geforderte Ausmaß an Wirksamkeit aufweise. Mit der Enzyersatztherapie könne ein Behandlungserfolg erzielt werden. Die Ergebnisse der in den vergangenen Jahren durchgeführten 6-Minuten-Gehstrecken-Tests und der Lungenfunktionstests belegten, dass unter der Therapie mit Myozyme eine Stabilisierung, wenn nicht sogar eine leichtgradige Verbesserung seines Krankheitsverlaufs eingetreten sei. Soweit die Beklagte auf die Bewertung von Myozyme durch das Institut für Klinische Pharmakologie des Klinikums Bremen-Mitte hinweise, handele es sich um eine im Auftrag der AOK erstellte Studie. Aus dem MDK-Grundsatzgutachten zur Enzymtherapie gehe hervor, dass Myozyme zur langfristigen Behandlung von Patienten mit gesichertem Morbus Pompe aller Altersstufen und Schweregrade zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung ordnungsfähig sei. Soweit die Beklagte eine fehlende Befundverschlechterung nicht als Wirksamkeitsnachweis anerkenne, könne dem nicht gefolgt werden, da es sich um eine progredient verlaufende Erkrankung handele. Zur Zeit könne allein mittels Stabilisierung ein Therapieerfolg erzielt werden. Es sei ethisch nicht vertretbar, einem Patienten die Stabilisierung seiner Erkrankung vorzuenthalten, zumal eine Heilung oder Remission nicht das Ziel der Therapie sei.

Der Kläger hat beantragt,

die Beklagte unter Aufhebung des Bescheides vom 25.06.2008 in Gestalt des Widerspruchsbescheides vom 30.07.2008 zu verurteilen, weiterhin die Kosten für die Enzymtherapie mit dem Arzneimittel Myozyme nach entsprechender Verordnung zu übernehmen.

Die Beklagte hat beantragt,

die Klage abzuweisen.

Sie hat ausgeführt: Eine Verordnung von Myozyme zur Behandlung des beim Kläger vorliegenden Krankheitsbildes sei mit Ziffer 13 AMR nicht vereinbar (wird ausgeführt). Ein therapeutischer Nutzen zur Behandlung des bei dem Kläger vorliegenden Morbus Pompe in der späten Verlaufsform durch das Arzneimittel Myozyme sei derzeit nicht nachgewiesen. Zwar sei dieses Arzneimittel durch die EMEA zugelassen, indes sei nach der Bewertung des klinischen Nutzens durch das Institut für Klinische Pharmakologie des Klinikums Bremen-Mitte aus Februar 2007 sowie des MDK-Grundsatzgutachtens zur Enzymtherapie aus Mai 2007 bislang kein klarer Wirksamkeitsnachweis hinsichtlich einer signifikanten Verbesserung der Mobilitätsfunktionen und der beatmungsfreien Intervalle erbracht worden. Ferner sei weder nachgewiesen noch glaubhaft gemacht, dass ein zeitweiliges Aussetzen der medizinischen Behandlung zu einer irreversiblen Verschlechterung des Gesundheitszustandes führe. Die vorgelegten Messdaten zu Gehtests und Lungenvitalkapazität seien mangels Standardisierung nicht geeignet, eine Besserung oder Stabilisierung des Krankheitsverlaufs zu belegen. Die durch die Zulassung begründete arzneimittelrechtliche Verkehrsfähigkeit rechtfertige keinen Anspruch des Versicherten auf Versorgung. Die arzneimittelrechtliche Zulassung begründe nicht automatisch eine Leistungspflicht der Krankenkassen. Das SGB V normiere mit dem Wirtschaftlichkeitsgebot, aber auch mit den gesetzlich geregelten bzw. vom Gesetzgeber zugelassenen untergesetzlichen Leistungskonkretisierungen in Form von Beschränkungen und Ausschlüssen zusätzlich Anforderungen an die Versorgung auch mit zugelassenen Arzneimitteln. Dem Wirtschaftlichkeitsgebot entspreche es nicht, wenn Gelder für nicht wirksame Medikamente ausgegeben würden. Die Finanzierung des Medikaments verstoße gegen § 9 Abs. 1 Satz 4 AMR in der nunmehr geltenden Fassung, wonach eine Verordnung von Arzneimitteln zu Lasten der Krankenkassen unzulässig sei, soweit der therapeutische Nutzen - wie bei der späten Verlaufsform des Morbus Pompe - nicht nachgewiesen sei. Die Beklagte verweist überdies auf eine Stellungnahme ihrer Pharmazeutischen Beratungs- und Prüfstelle vom 17.03.2007 sowie ein von dem Arzt für Innere Medizin Dr. O vom MDK Westfalen-Lippe erstelltes Gutachten vom 28.01.2010. Darin wird ausgeführt, auch wenn die EMEA von einer statistisch ausreichend begründeten Wirksamkeit ausgehe, bleibe aus sozialmedizinischer Sicht die klinische Bedeutung und damit der klinische Nutzen für den Patienten mit später Verlaufsform des Morbus Pompe unklar und sei im Hinblick auf Krankheitsverlauf und -prognose nicht abschließend beurteilbar. Aus den Ergebnissen des 6-Minuten-Gehtests könne eine zunächst bestehende Verschlechterung und eine nachfolgende Besserung zwar nicht ausgeschlossen werden; eine zuverlässige Beurteilung im Sinne eines Kausalzusammenhangs mit der Enzymtherapie sei aber gleichwohl nicht möglich.

Das SG hat zur Frage des Behandlungsverlaufs unter der Gabe von Myozyme einen Befundbericht von Prof. Dr. Z vom 19.07.2011 beigezogen. Dieser hat ausgeführt, der Kläger stehe seit August 2006 in seiner fachneurologischen und schlafmedizinischen Behandlung. In diesem Zeitraum seien Vitalkapazität und Muskelkraft komplett stabilisiert worden. Zu einer weiteren Verschlechterung der Erkrankung sei es unter der Therapie mit Myozyme entgegen dem normalen klinischen Verlauf des Morbus Pompe nicht gekommen. Die Behandlung sei durchgehend fortgesetzt worden und nach dem derzeitigen Stand der wissenschaftlichen Erkenntnis erforderlich. Ebenfalls belege die Stabilität des jetzigen Krankheitsverlaufs, dass der Kläger von der Behandlung über einen Zeitraum von fast fünf Jahren profitiere. Angesichts derzeit fehlender anderer ursächlicher Therapien gebe es keine langfristigen Behandlungsalternativen.

Hierzu hat die Beklagte eine Stellungnahme ihrer Pharmazeutischen Prüfstelle vom 19.08.2011 eingeholt, derzufolge die angegebene Stabilisierung nicht nachvollziehbar sei. Zumindest im Hinblick auf die proximale Kraft der Extremitäten sei ein Nutzen der Therapie nicht ersichtlich; dagegen sei die Vitalkapazität seit 2008 relativ konstant geblieben, was ggf. als Nutzen der Therapie ausgelegt werden könne.

Mit Urteil vom 12.10.2012 hat das SG die Beklagte antragsgemäß verurteilt. Die Entscheidung der Beklagten, dem Kläger die Versorgung mit dem Arzneimittel Myozyme zu versagen, sei rechtswidrig. Die arzneimittelrechtlichen Voraussetzungen für einen Versorgungsanspruch mit Myozyme lägen vor. Diese Medikation sei von den zuständigen Behörden wie der EMEA und dem BfArM europä- und bundesweit ohne Einschränkung für die Indikation Morbus Pompe zugelassen worden. Maßgebend für die Verordnungsfähigkeit sei der Umfang der Zulassung. Der indikationsgemäße Einsatz eines Arzneimittels könne nicht als Erprobung angesehen werden. Die Ergebnisse der LOT-Studie belegten, dass das Arzneimittel Myozyme das nach dem anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse geforderte Ausmaß an Wirksamkeit aufweise. Demzufolge profitierten auch erwachsene Morbus Pompe-Patienten von der Enzyersatzbehandlung im Sinne einer Verbesserung ihrer Gehfähigkeit und der Vitalfunktion. Die danach veröffentlichten und noch laufenden Studien zielten nicht auf den Nachweis der Wirksamkeit von Myozyme bei adulten Patienten mit Morbus Pompe, sondern erfüllten Zulassungsaufgaben, um Detailfragen der Therapie zu klären. Soweit die EMEA in die Fachinformation zu Myozyme aus 10/2009 den Zusatz aufgenommen habe, dass bei Patienten mit später Verlaufsform die Datenlage zur Wirksamkeit eingeschränkt sei, führe dies zu keiner anderen Beurteilung. Hiermit werde lediglich dem Umstand Rechnung getragen, dass es sich bei der Grunderkrankung Morbus Pompe um ein seltenes Leiden handle, welches sich weitgehend systematischer Forschung aufgrund der geringen Inzidenz entziehe. Ein Wirksamkeitsnachweis sei angesichts der eingeschränkten Zahl von Probanden und Vergleichsgruppen nur eingeschränkt möglich. Insoweit könnten in Seltenheitsfällen hinsichtlich eines Wirksamkeitsnachweises nicht diejenigen Kriterien Anwendung finden, die als Maßstab bei häufig auftretenden Erkrankungen angelegt würden. Dem Seltenheitsumstand sei dadurch Rechnung zu tragen, dass auch Studien zum Wirksamkeitsnachweis als ausreichend anzuerkennen seien, wenn die Datenlage aufgrund der vorgenannten Umstände eingeschränkt sei. Die Verordnungsfähigkeit von Myozyme werde auch nicht durch die AMR in den jeweils geltenden Fassungen bis zum 31.03.2009 sowie ab dem 01.04.2009 eingeschränkt. Soweit die Beklagte unter anderem Wirtschaftlichkeitsgesichtspunkte hinsichtlich der Höhe der für die Versorgung des Klägers mit Myozyme anfallenden Kosten anführe, sei darauf hinzuweisen, dass nach Ziffer 12 Satz 1 AMR alter Fassung (a.F.) für die Verordnung von Arzneimitteln der therapeutische Nutzen gewichtiger sei als die Kosten. Im Falle des Klägers sei nach Therapiebeginn eine anhand der von den behandelnden Ärzten erhobenen Befunde nachgewiesene Stabilisierung eingetreten, die nach den vorgenannten Vorschriften den erheblichen Kostenaufwand für die Behandlung rechtfertige. Schließlich sei zu beachten, dass die Enzyersatztherapie die bislang einzige kausale Behandlungsmöglichkeit für den Kläger darstelle, mithin alternativlos sei. Wirtschaftlichere Alternativen seien nicht ersichtlich, so dass unter diesem Gesichtspunkt eine Kosten-Nutzen-Bewertung von vornherein ausscheide. Die Vorschriften der Ziffer 13 Sätze 1 und 2 AMR (a. F.) sowie § 9 Abs. 1 der AMR in der ab dem 01.04.2009 geltenden Fassung stünden dem Anspruch ebenfalls nicht entgegen.

Hiernach setze der therapeutische Nutzen eine Nutzen-Risiko-Abwägung mit günstigem Ergebnis voraus, der in einem nach dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse relevanten Ausmaß der Wirksamkeit bei einer definierten Indikation bestehe. Diese Voraussetzungen lägen vor. Unter der Behandlung mit der Enzyersatztherapie sei zufolge Prof. Dr. Z eine Stabilisierung im Gesundheitszustand eingetreten, insbesondere habe ein Fortschreiten der ansonsten regelmäßig zu erwartenden schwerwiegenden Krankheitsfolgen verhindert werden können (wird ausgeführt). Soweit die Beklagte auf Arztberichte vom 24.02.2011 und 06.07.2011 verweise, wonach eine langsame Progredienz der Erkrankung mit Zunahme von Muskelschwäche, Gangstörung und Erschöpfung bestehe, die Wegstrecke abnehme und die Messwerte sich verschlechterten, werde hierdurch die grundsätzliche Wirksamkeit der Therapie nicht in Frage gestellt, zumal es sich um schwankende Werte handele, die auch von der jeweiligen Tagesform abhängig sein dürften. Eine Stabilisierung werde hierdurch nicht widerlegt. Im Übrigen rechtfertige auch eine Verlangsamung der ansonsten unaufhaltsam kontinuierlich fortschreitenden Grunderkrankung den weiteren Einsatz von Myozyme. Eine Zustandsverbesserung könne nicht Kriterium der Beurteilung des Nutzens der Therapie sein, da eine Verbesserung des Zustandes wegen der krankheitsbedingten irreversiblen Störung von Muskelgewebe nicht oder nur sehr eingeschränkt möglich erscheine. Neben dem individuellen Nutzen sei aufgrund der hinreichend gesicherten Datenlage davon auszugehen, dass die Behandlung des Morbus Pompe in der hier vorliegenden späten Verlaufsform mittels der Enzyersatztherapie das nach dem anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse geforderte Ausmaß an Wirksamkeit aufweise. Bei der LOT-Studie handele sich um eine zur Evaluation der Wirksamkeit von Arzneimitteln geforderte Studie, die den Anforderungen der Ziffer 13 AMR entspreche. Angesichts der konkreten Datenlage bestehe eine begründete Aussicht, dass mit der streitbefangenen Enzymtherapie ein Behandlungserfolg erzielt werden könne, wie er bei dem Kläger auch eingetreten sei. Entgegen der Rechtsauffassung der Beklagten vermögen die untergesetzlichen Regelungen in den AMR den Leistungsanspruch eines Versicherten auf Versorgung mit den für seine Indikation zugelassenen Arzneimitteln nicht auszuschließen (wird ausgeführt). Gänzliche Leistungsausschlüsse für zugelassene Arzneimittel nach Maßgabe der AMR unter Hinweis auf eine nicht nachgewiesene Wirksamkeit im Einzelfall seien nicht verbindlich, zumal nach den gesetzlichen Vorgaben die Wirksamkeit des konkret verordneten Arzneimittels auch in anderen Fällen nicht Voraussetzung für die Kostenübernahme sei. Sofern eine solche Leistungseinschränkung aus den AMR zu entnehmen sei, dürfte dies von der Ermächtigung des Gemeinsamen Bundesausschusses (GBA) zum Erlass von Richtlinien nicht gedeckt sein.

Diese Entscheidung greift die Beklagte mit der vor dem Senat seit dem 12.11.2012 zum Az. L 11 KN 692/12 anhängigen Berufung an. Mit Schriftsatz vom 04.05.2013 hat sie um einstweiligen Rechtsschutz nachgesucht. Sie trägt vor: Soweit das SG auf die arzneimittelrechtliche Zulassung des Medikaments Myozyme abstelle, seien die Besonderheiten des vorliegenden Falles nicht hinreichend berücksichtigt worden. Nach den Feststellungen seiner behandelnden Ärzte leide der Kläger unter der Erkrankung Morbus Pompe in der adulten Verlaufsform. Ausweislich der Dokumentation des Deutschen Instituts für medizinische Dokumentation und Information (DIMDI) sei im Rahmen eines zentralen Zulassungsverfahrens bei der Europäischen Union am 29.03.2006 die Genehmigung für das Inverkehrbringen für das Arzneimittel Myozyme erteilt und am 21.02.2011 verlängert worden. In den Angaben zu den Anwendungsgebieten dieses Arzneimittels enthalte die Dokumentation des DIMDI u.a. den Hinweis, "über die positive Wirkung des Arzneimittels bei Patienten mit Morbus Pompe später Verlaufsform liegen bisher keine Daten vor" (Stand: 29.03.2006). Im europäischen öffentlichen Beurteilungsbericht (EPAR) sei 2008 festgestellt worden, dass bei der adulten Verlaufsform des Morbus Pompe durch Studien kein eindeutiger Nutzen habe nachgewiesen werden können. Der Hersteller werde die Wirkung von Myozyme bei Patienten mit Morbus Pompe in der adulten Verlaufsform weiter untersuchen. In der Fassung des EPAR aus dem Jahre 2011 werde von zwei Hauptstudien berichtet, davon eine Hauptstudie an 90 Patienten, die an Morbus Pompe mit später Verlaufsform litten, und dazu u.a. mitgeteilt, "da Morbus Pompe mit später Verlaufsform jedoch langsamer fortschreitet als bei der infantilen Verlaufsform, wird der Nachweis des Nutzens von Myozyme aus dieser Studie als begrenzt erachtet." Die aktuelle Fachinformation zu dem Arzneimittel Myozyme enthalte den Hinweis, dass "bei Patienten mit später Verlaufsform des Morbus Pompe die Datenlage zur Wirksamkeit der Enzyersatztherapie mit Myozyme eingeschränkt ist." Deswegen könne nicht davon ausgegangen werden, dass sich ein Sachleistungsanspruch des Versicherten bereits aus der arzneimittelrechtlichen Zulassung für das betreffende Indikationsgebiet ergebe. Für eine solche Schlussfolgerung von der arzneimittelrechtlichen Zulassung auf die Verordnungsfähigkeit fehle dann die Grundlage, wenn der Zulassung keine oder eine strukturell nur unzureichende Überprüfung der Qualität, Wirksamkeit und Unbedenklichkeit zugrunde gelegen habe (wird ausgeführt). Der Ansicht des SG, die LOT-Studie entspreche den im Rahmen der Arzneimittelzulassung verlangten Anforderungen, sei nicht zu folgen (wird ausgeführt). Im Gutachten des MDK vom 17.01.2013 werde darauf hingewiesen, dass trotz des Nachweises einer statistisch ausreichenden, begrenzten Wirksamkeit die klinische Bedeutung und somit der klinische Nutzen für die behandelten Patienten mit später Verlaufsform des Morbus Pompe im Hinblick auf patientenrelevante Endpunkte wie Zeit bis zur Immobilität, Beatmungspflichtigkeit, Tod, Lebensqualität unklar und im Hinblick auf Krankheitsverlauf und Prognose nicht abschließbar beurteilbar seien. Die Auffassung des SG in "Seltenheitsfällen" seien hinsichtlich eines Wirksamkeitsnachweises nicht diejenigen Kriterien anzuwenden, die als Maßstab bei häufig auftretenden weit verbreiteten Erkrankungen anzulegen seien, widerspreche der Rechtsprechung des Bundessozialgerichts (BSG). Das SG hätte Beweis durch Einholung eines Sachverständigengutachtens erheben müssen. Der Umfang des Sachleistungsanspruchs des Klägers werde durch die Regelungen in Nr. 13 Satz 2 der AMR (a.F.) bzw. § 9 Abs. 1 Satz 4 AMR (n.F.) vorgegeben, nach denen Arzneimittel mit nicht ausreichend gesichertem therapeutischen Nutzen nicht zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung verordnet werden dürften. Es fehlten klare Hinweise auf eine eindeutige Verbesserung oder Stabilisierung im Sinne eines Therapieerfolges. Das SG habe übersehen, dass die Spätform des Morbus Pompe eine sehr große Variabilität bezüglich der klinischen Ausprägung sowie der Progressionsrate aufweise und dass es bei dieser Variante des Morbus Pompe über Jahre hinweg auch ohne Enzyersatztherapie spontan sehr protrahierte bzw. stabile oder sich stabilisierende Verläufe ohne weitere Progression gebe. Angesichts der sehr großen Variabilität der späten Verlaufsform könne der Auffassung des SG auch insoweit nicht gefolgt werden, als es davon ausgehe, bei der späten Verlaufsform des Morbus Pompe handele es sich um eine - ohne Enzyersatztherapie - "unaufhaltsam kontinuierlich fortschreitende" Grunderkrankung. Die Kosten für die Behandlung des Klägers mit dem Arzneimittel Myozyme beliefen sich auf ca. 34.000,00 EUR monatlich. Da die Enzyersatztherapie alle zwei Wochen stattfindet, erhöhe sich bei einer vorläufigen Kostenübernahme zur Abwendung der Zwangsvollstreckung der Rückforderungsanspruch, den sie - die Beklagte - im Falle ihres Obsiegens im Berufungsverfahren gegenüber dem Kläger geltend machen müsse, in jedem Monat um weitere 34.000,00 EUR. Angesichts einer solchen Größenordnung bestehe die Gefahr, dass sie ihren Rückforderungsanspruch nicht werde durchsetzen können. Ihr als Vollstreckungsschuldnerin und der Versichertengemeinschaft werde dadurch ein erheblicher, im nachhinein nicht mehr zu ersetzender finanzieller Schaden entstehen.

Die Beklagte beantragt,

die Vollstreckung aus dem angefochtenen Urteil des SG Duisburg vom 12.10.2012 durch einstweilige Anordnung gemäß [§ 199 Abs. 2 SGG](#) auszusetzen.

Der Kläger beantragt,

den Antrag abzulehnen.

Er meint, dass bereits bei der Erteilung der Zulassung des Arzneimittels die hinreichende Wirksamkeit geprüft werde. Die Beklagte übersehe, dass es sich bei der Erkrankung "Morbus Pompe" um eine seltene Erkrankung handle. Dem sei immanent, dass eine ausreichende Zahl an Behandlungsfällen im Sinne einer umfassenden Aussage zur Wirksamkeit des Arzneimittels zu keinem Zeitpunkt erreicht werden könne. Die Beklagte übersehe ferner, dass es für den an Morbus Pompe erkrankten Patienten keine Aussicht auf Heilung gebe. Das Arzneimittel Myozyme könne lediglich den Krankheitsverlauf verlangsamen. Soweit die Beklagte beantrage, die Vollstreckung aus dem Urteil des SG durch einstweilige Anordnung auszusetzen, sei dieser Antrag zurückzuweisen. Jede Therapieunterbrechung hätte nicht wiedergutzumachende Folgen.

Hinsichtlich des Sach- und Streitstandes im Übrigen nimmt der Senat Bezug auf den Inhalt der Streitakte, der beigezogenen Akte S 9 KN 193/08 KR ER sowie des Verwaltungsvorgangs der Beklagten.

II.

Der Antrag hat keinen Erfolg. Die Voraussetzungen des [§ 199 Abs. 2](#) Sozialgerichtsgesetz (SGG) sind nicht dargetan.

1. Der Antrag ist zulässig.

Gemäß [§ 199 Abs. 2 S. 1 SGG](#) kann, wenn ein Rechtsmittel keine aufschiebende Wirkung hat, der Vorsitzende des Gerichts, das über das Rechtsmittel zu entscheiden hat, die Vollstreckung durch einstweilige Anordnung aussetzen.

Nach [§ 199 Abs. 1 Nr. 1 SGG](#) stellen alle gerichtlichen Entscheidungen Vollstreckungstitel dar, wenn sie keine aufschiebende Wirkung haben. Eine Zwangsvollstreckung ist hiernach zulässig, wenn gegen eine Entscheidung kein Rechtsmittel eingelegt wird oder bei Durchführung des Rechtsmittelverfahrens keine aufschiebende Wirkung eintritt. Die Entscheidungen brauchen nicht rechtskräftig zu sein. Der Eintritt der aufschiebenden Wirkung stellt eine Ausnahme dar, er ist im SGG für Einzelfälle bei der Durchführung eines Rechtsmittelverfahrens angeordnet (vgl. [§§ 154, 165, 175 SGG](#)).

Die Beklagte hat Berufung eingelegt ([§ 143 SGG](#)). Dies bewirkt aufschiebende Wirkung, soweit die Klage nach [§ 86a SGG](#) Aufschub bewirkt ([§ 154 Abs. 1 SGG](#)). Klagen i.S.d. [§ 86a SGG](#) sind nur isolierte Anfechtungsklagen, weil der Anwendungsbereich des [§ 154 Abs. 1 SGG](#) hierauf beschränkt ist (LSG Bayern, Beschluss vom 16.12.2004 - [L 18 SB 132/04](#) -; Keller in: Meyer-Ladewig/Keller/Leitherer, SGG, 10. Auflage, 2012, § 154 Rdn. 3), denn diese Rechtsschutzform hat keinen vollstreckungsfähigen Inhalt, entfaltet ihre Gestaltungswirkung vielmehr ohne Vollstreckung aus sich heraus (Frehe in: Jansen, SGG, 4. Auflage, 2012, § 154 Rdn. 3). Der Kläger hat in der Hauptsache eine kombinierte Anfechtungs- und Verpflichtungsklage erhoben ([§ 54 Abs. 1 Satz 1 SGG](#)), so dass [§ 154 Abs. 1 SGG](#) nicht greift.

Die Regelung des [§ 154 Abs. 2 SGG](#) steht dem Antrag nicht entgegen. Hiernach bewirkt die Berufung eines Versicherungsträgers Aufschub, soweit es sich um Beträge handelt, die für die Zeit vor Erlass des angefochtenen Urteils nachgezahlt werden sollen. Darum geht es hier nicht. Der Kläger begehrt eine Sachleistung für (u.a.) die Zeit nach Erlass des angefochtenen Urteils.

2. Umstritten ist, nach Maßgabe welcher Kriterien die Entscheidung nach [§ 199 Abs. 2 SGG](#) zu treffen ist.

a) Nach überwiegender Auffassung ist eine Interessen- und Folgenabwägung vorzunehmen (BSG, Beschluss vom 05.09.2001 - [B 3 KR 47/01 R](#) - und 26.11.1991 - [1 RR 10/91](#) -; Leitherer in: Meyer-Ladewig/Keller/Leitherer, a.a.O., § 199 Rdn. 8 m.w.N.; Erkelenz in: Jansen, a.a.O., § 199 Rdn. 20 m.w.N.). Abzuwägen sind die Folgen, die eintreten, wenn der Vollstreckungsaussetzungsantrag abgelehnt, das Urteil anschließend aber aufgehoben wird, gegenüber den Folgen, die eintreten, wenn dem Vollstreckungsaussetzungsantrag stattgegeben, die Berufung später aber zurückgewiesen wird. Bei der Abwägung ist zu berücksichtigen, dass die Vollstreckbarkeit von nicht rechtskräftigen Entscheidungen ein Ausnahmefall von der Grundregel darstellt, wobei ein obsiegender Beteiligter ein gesetzlich geschütztes Interesse hat, die ihm zustehenden Leistungen umfassend und zügig zu erhalten ([§ 17 Abs. 1 Nr. 1](#) Erstes Buch Sozialgesetzbuch; vgl. BSG, Beschluss vom 28.10.2008 - [B 2 U 189/08](#) -). Die Einstellung der Zwangsvollstreckung erfolgt, wenn der Vollstreckungsschuldner einen nicht zu ersetzenden Nachteil erleiden würde und ein überwiegendes Interesse des Gläubigers nicht entgegensteht (BSG, Beschluss vom 28.10.2008 - [B 2 U 189/08](#) -; LSG Bayern, Beschluss vom 27.05.2009 - [L 18 R 178/09 ER](#) -).

Streitig ist weiter, inwieweit bei der Ermessensentscheidung die Erfolgsaussicht des Rechtsmittels zu berücksichtigen ist. Hierzu wird vertreten, dass der in [§ 154 Abs. 2 SGG](#) zum Ausdruck gekommene Wille des Gesetzgebers zu beachten ist, wonach Berufungen in der Regel keine aufschiebende Wirkung hinsichtlich der für die Zeit nach Erlass des Urteils zu zahlenden Beträge haben sollen. Eine Aussetzung komme daher nur in Ausnahmefällen in Betracht (Leitherer, a.a.O., § 199 Rdn. 8a; BSG, Beschluss vom 28.10.2008 - [B 2 U 189/08 B](#) -). Der Gesetzgeber habe ausdrücklich eine Regelung zur Vollstreckung in [§ 154 Abs. 2 SGG](#) getroffen und dabei auch das generelle Interesse des Leistungsträgers berücksichtigt, Leistungen erst bei endgültiger Klärung der Sach- und Rechtslage zu erbringen, indem nur die aufschiebende Wirkung der Berufung für Beträge, die für die Zeit vor Erlass des Urteils zu zahlen sind, angenommen wurde. Eine Aussetzung kommt danach z.B. nur in Betracht, wenn das Rechtsmittel offensichtlich Erfolg hat (LSG Bayern, Beschluss vom 28.04.2009 - [L 20 R 299/09 ER](#) -). Teilweise wird vertreten, eine Aussetzung der Vollstreckung könne auch angeordnet werden, wenn es nur überwiegend wahrscheinlich sei, dass der Vollstreckungsschuldner mit seinem Rechtsmittel in wesentlichem Umfang Erfolg haben werde (LSG Bayern, Beschluss v. 20.04.2009 - [L 13 R 57/09 ER](#) -).

Sind die Erfolgsaussichten des Rechtsmittels nicht überschaubar, kommt es auf die Abwägung der betroffenen Interessen unter Berücksichtigung ihrer Bedeutung und Dringlichkeit sowie der Möglichkeit oder Unmöglichkeit einer etwaigen späteren Rückgängigmachung des Ausspruchs an. Dazu gehört auch die Aussicht des Leistungsträgers, bei Aufhebung der angefochtenen Entscheidung die gewährten Leistungen zurückzuerhalten (LSG Baden-Württemberg, Beschlüsse vom 26.01.2006 - [L 8 AS 403/06 ER](#) - und 27.04.2007 - [L 8 AS 1503/07 ER](#) -; LSG Bayern, Beschluss vom 13.11.2008 - [L 18 U 392/08 ER](#) -). Maßgeblich sind dabei die Umstände des Einzelfalles, die vom

Vollstreckungsschuldner konkret und glaubhaft vorzutragen sind (LSG Bayern, Beschluss vom 27.05.2009 - [L 18 R 178/09 ER](#) -).

Teils wird die Auffassung vertreten, dass es sich bei der Entscheidung nach [§ 199 Abs. 2 SGG](#) um eine gebundene Entscheidung handelt (BSG, Urteil vom 09.08.1999 - [B 4 RA 25/98 B](#) -; offen gelassen von LSG Bayern, Beschlüsse vom 15.05.2009 - [L 2 U 60/09 ER](#) -; 08.02.2006 - [L 10 AS 17/06 ER](#) -, 29.08.2005 - [L 13 KN 6/05 ER](#) -). Dies wird damit begründet, dass [§ 199 Abs. 2 SGG](#) keine Regelungen darüber enthalte, unter welchen Voraussetzungen die Aussetzung der Zwangsvollstreckung bei Rechtsmitteln zu erfolgen habe. Deshalb sei auf [§§ 719, 707 Zivilprozessordnung \(ZPO\)](#) zurückzugreifen. Dies folge aus der in [§ 198 Abs. 1 SGG](#) angeordneten entsprechenden Anwendung des Achten Buches der ZPO. Nach [§§ 719, 707 ZPO](#) ordnet das Gericht die Einstellung der Zwangsvollstreckung an, wenn die Vollstreckung dem Schuldner einen nicht zu ersetzenden Nachteil bringen würde; und zwar gegebenenfalls auch dann, wenn ein überwiegendes Interesse des Gläubigers dem entgegen steht (hierzu Erkelenz in: Jansen, SGG, § 199 Rdn. 21).

Dem folgt der Senat nicht. Nach [§ 198 Abs. 1 SGG](#) gelten für die Vollstreckung die Vorschriften des Achten Buches der ZPO entsprechend, soweit sich aus dem SGG nichts anderes ergibt. Letzteres ist der Fall. Zutreffend ist zwar, dass [§ 199 Abs. 2 SGG](#) keine Kriterien für die Entscheidung des Gerichts festlegt. Indes ist dies keine Sonderheit. Eine vergleichbare Situation ergibt sich für [§ 86a Abs. 2 SGG](#) bzw. [§ 86b Abs. 1 Nr. 2 SGG](#). Auch dort sind die Abwägungsmaßstäbe nicht genannt (hierzu Frehse, in: Schnapp/Wigge, Handbuch des Vertragsarztrechts, 2. Auflage, 2006, § 23 Rdn. 101 und Rdn. 115). Dies bewirkt indes nur, dass auf vergleichbare Regelungen des SGG zurückgegriffen werden kann (z.B. von [§ 86a Abs. 2 Nr. 5 SGG](#) auf [§ 86b SGG](#) und von [§ 86b Abs. 1 Nr. 2 SGG](#) auf [§ 86b Abs. 2 SGG](#)). Einer Anwendung der [§§ 719, 707 ZPO](#) bedarf es nicht.

b) Die Entscheidung erfolgt nach summarischer Prüfung der Sach- und Rechtslage. Das Gericht entscheidet aufgrund präsenter Beweismittel. Die Beteiligten haben die für ihre Interessen bedeutsamen Umstände vorzutragen und glaubhaft zu machen (Erkelenz, a.a.O., § 199 Rdn. 22).

3. Wird mit dem LSG Bayern (Beschluss vom 28.04.2009 - [L 20 R 299/09 ER](#) -) angenommen, dass eine Aussetzung nur in Ausnahmefällen in Betracht kommt, etwa weil das Rechtsmittel der Beklagten offensichtlich Erfolg haben wird, so hat der Aussetzungsantrag schon deswegen keinen Erfolg. Die Beklagte verweist darauf, dass in "Seltenheitsfällen" ein Sachverständigengutachten eingeholt werden müsse und bezieht sich hierzu auf das BSG (Urteil vom 03.07.2012 - [B 1 KR 25/11 R](#) -). Darin hat das BSG ausgeführt, dass "die Besonderheiten seltener Erkrankungen es grundsätzlich nicht rechtfertigen, die Evidenzanforderungen an Qualität, Unbedenklichkeit und Wirksamkeit von Arzneimitteln für ihre Verordnungsfähigkeit zu Lasten der gesetzlichen Krankenversicherung abzusenken. Allein der anerkannte Status für seltene Leiden rechtfertigt nicht bereits für sich Einschränkungen der grundsätzlich bestehenden Notwendigkeit, umfassende Daten zur Wirksamkeit und Sicherheit des Arzneimittels vorzulegen." Ergänzend verweist die Beklagte auf das Urteil des BSG vom 19.10.2004 - [B 1 KR 27/02 R](#) -. Danach "kann aus den Angaben der Ärzte nicht schon ohne weiteres mit dem dafür erforderlichen Maß an Gewissheit abgeleitet werden, dass generelle wissenschaftliche Aussagen zur Therapie der Krankheit infolge der geringen Zahl an Patienten wirklich so gut wie ausgeschlossen seien. Eine entsprechende Feststellung müsste vielmehr durch aussagekräftige Beweismittel erhärtet werden, die den Forschungsstand der betreffenden Krankheit - auch im Sinne eines Negativ-Befundes - zuverlässig dokumentieren und nachvollziehbar wiedergeben. Dafür kommen etwa eine umfassende Recherche in medizinischen Fachveröffentlichungen bzw. Datenbanken und/oder die Auswertung einschlägigen Zahlenmaterials in Betracht, was die Einholung eines Sachverständigengutachtens erfordern dürfte".

Ausgehend hiervon müsste der Senat ein Sachverständigengutachten zur Frage einholen, ob nach dem bisherigen Forschungsstand generelle wissenschaftliche Aussagen zur Therapie der Erkrankung des "Morbus-Pompe" in der adulten Verlaufsform möglich sind. Dann aber hat die Berufung der Beklagten schon nach eigenem Vorbringen nicht offensichtlich Erfolg.

Soweit vertreten wird, dass eine Aussetzung der Vollstreckung auch angeordnet werden kann, wenn es nur überwiegend wahrscheinlich ist, dass der Vollstreckungsschuldner mit seinem Rechtsmittel in wesentlichem Umfang Erfolg haben wird (LSG Bayern, Beschluss vom 20.04.2009 - [L 13 R 57/09 ER](#) -), führt auch das aus den genannten Gründen nicht weiter. Die Erfolgsaussichten sind derzeit nicht überschaubar. Dies gilt insbesondere, falls sich der Senat auf Anregung des Beklagten dazu entscheiden sollte, ein Sachverständigengutachten einzuholen.

Demzufolge sind die betroffenen Interessen unter Berücksichtigung ihrer Bedeutung und Dringlichkeit sowie der Möglichkeit oder Unmöglichkeit einer etwaigen späteren Rückgängigmachung des Ausspruchs abzuwägen.

Dann gilt:

a) Der Anspruch eines Versicherten auf Behandlung nach [§ 27 Abs. 1 Satz 2 Nr. 2 SGB V](#) unterliegt den sich aus [§ 2 Abs. 1](#) und [§ 12 Abs. 1 SGB V](#) ergebenden Einschränkungen. Er umfasst folglich nur solche Leistungen, die zweckmäßig und wirtschaftlich sind und deren Qualität und Wirksamkeit dem allgemein anerkannten Stand der medizinischen Erkenntnisse entsprechen. Dies ist bei neuen Untersuchungs- und Behandlungsmethoden in der vertragsärztlichen Versorgung gemäß [§ 135 Abs. 1 Satz 1 SGB V](#) nur dann der Fall, wenn der Gemeinsame Bundesausschuss (GBA) in Richtlinien gemäß [§ 92 Abs. 1 Satz 2 Nr. 5 SGB V](#) eine positive Empfehlung über den diagnostischen und therapeutischen Nutzen der Methode abgeben hat. Hierdurch wird nicht nur geregelt, unter welchen Voraussetzungen die zur vertragsärztlichen Versorgung zugelassenen Leistungserbringer (Ärzte, Zahnärzte usw.) neue Untersuchungs- und Behandlungsmethoden zu Lasten der Krankenkassen erbringen und abrechnen dürfen. Vielmehr wird durch die Richtlinien auch der Umfang der den Versicherungen von den Krankenkassen geschuldeten ambulanten Leistungen verbindlich festgelegt (BSG, Urteil vom 05.05.2009 - [B 1 KR 15/08 R](#) - m.w.N.). "Neu" ist eine Methode, wenn sie nicht als abrechnungsfähige ärztliche Leistungen im Einheitlichen Bewertungsmaßstab für vertragsärztliche Behandlungen (EBM) enthalten ist (BSG, Urteil vom 23.07.1998 - [B 1 KR 3/97 R](#) -). Die Enzyersatztherapie ist im EBM nicht enthalten.

aa) Es könnten die Grundsätze zum Seltenheitsfall greifen. Zuzufolge der Rechtsprechung des BSG gilt (Urteil vom 03.07.2012 - [B 1 KR 25/11 R](#) -):

" ... dass ein Einzelimport eines Arzneimittels nach [§ 73 Abs 3 AMG](#) ausnahmsweise zur Leistungspflicht der GKV führen kann, wenn das Mittel zur Behandlung einer einzigartigen Krankheit in einer außergewöhnlichen medizinischen Situation auf diesem Wege legal zu

beschaffen ist ([BSGE 93, 236](#) = [SozR 4-2500 § 27 Nr 1](#), RdNr 23 ff - Visudyne). Hierzu darf das festgestellte Krankheitsbild aufgrund seiner Singularität medizinisch nicht erforschbar sein (vgl auch BSG Urteil vom 8.11.2011 - [B 1 KR 20/10 R](#) - juris RdNr 14 - zur Veröffentlichung in BSGE und SozR vorgesehen - Leucinoase). Allein geringe Patientenzahlen stehen einer wissenschaftlichen Erforschung nicht entgegen, wenn etwa die Ähnlichkeit zu weit verbreiteten Erkrankungen eine wissenschaftliche Erforschung ermöglicht ([BSGE 93, 236](#) = [SozR 4-2500 § 27 Nr 1](#), RdNr 31 - Visudyne). Das gilt erst recht, wenn - trotz der Seltenheit der Erkrankung - die Krankheitsursache oder Wirkmechanismen der bei ihr auftretenden Symptomatik wissenschaftlich klärungsfähig sind, deren Kenntnis der Verwirklichung eines der in [§ 27 Abs 1 S 1 SGB V](#) genannten Ziele der Krankenbehandlung dienen kann. Die Art möglicher wissenschaftlicher Studien über den Nutzen eines Arzneimittels spiegelt sich ua wider - geordnet nach den Stufen erreichbarer Evidenz im Rahmen der heute gesetzlich gebotenen Bewertung des therapeutischen Nutzens - im 4. Kapitel in § 7 Verfahrensordnung des GBA (VerfO vom 18.12.2008, BAnz Nr 84a (Beilage) vom 10.06.2009, zuletzt geändert am 19.1.2012, BAnz Nr 36 S 915 vom 2.3.2012, in Kraft getreten am 1.2.2012)."

Allerdings ist es ausgeschlossen, für die Seltenheitsfälle allein auf die Häufigkeit einer Erkrankung abzustellen. Die Besonderheiten seltener Erkrankungen rechtfertigen es grundsätzlich nicht, die Evidenzanforderungen an Qualität, Unbedenklichkeit und Wirksamkeit von Arzneimitteln für ihre Verordnungsfähigkeit zu Lasten der GKV abzusenken. Es bestünde andernfalls die Gefahr, dass das für die Besonderheiten seltener Erkrankungen geschaffene differenzierte Zulassungssystem umgangen wird. Arzneimittelverwendung außerhalb der zugelassenen Indikationen bedeutet, Arzneimittel ohne die arzneimittelrechtlich vorgesehene Kontrolle der Sicherheit und Qualität einzusetzen. Diese Kontrolle soll in erster Linie Patienten vor inakzeptablen unkalkulierbaren Risiken für die Gesundheit schützen. Ausnahmen kommen nur in engen Grenzen aufgrund einer Güterabwägung in Betracht, die der Gefahr einer krankenversicherungsrechtlichen Umgehung arzneimittelrechtlicher Zulassungserfordernisse entgegenwirkt (BSG, Urteil vom 03.07.2012 - [B 1 KR 25/11 R](#) - ; Urteil vom 27.3.2007 - [B 1 KR 17/06 R](#) -).

Ausweislich der Fachinformation Ziff. 5.1 (pharmakologische Eigenschaften) ist Morbus Pompe eine seltene, progressive und tödlich verlaufende muskuläre Stoffwechselerkrankung, deren Häufigkeit auf 1 pro 40.000 Geburten geschätzt wird. In der Literatur wird dies bestätigt, wenn ausgeführt wird, "der M. Pompe ist in der hier zu berücksichtigenden Ausprägung eine lebensbedrohliche oder sogar regelmäßig tödliche Erkrankung" (Raspe, MedR 2012, 291, 294; hierzu auch Gutachten des MDK vom 03.07.2007). Die Fachinformation verweist unter Ziffer 5.1 (S. 6 f.) auf Folgendes:

"Morbus Pompe, späte Verlaufsform Die Sicherheit und Wirksamkeit von Myozyme wurde in einer randomisierten doppel-blinden plazebo-kontrollierten Studie an 90 Patienten mit Morbus Pompe mit später Verlaufsform untersucht, die bei Aufnahme der Behandlung zwischen 10 und 70 Jahre alt und nicht vorher mit Enzyersatztherapie behandelt worden waren. Die Patienten wurden im Verhältnis von 2:1 randomisiert und erhielten einmal alle zwei Wochen 20 mg/kg Körpergewicht Myozyme (n = 60) oder Plazebo (n = 30) über einen Zeitraum von 78 Wochen (18 Monaten). Die Untersuchungen zur Feststellung der co-primären Wirksamkeit waren die innerhalb von 6 Minuten zurückgelegte Gehstrecke (in Metern; 6-minütiger Gehstest, 6MWT) und die FVC (forcierte Vitalkapazität) in % des vorhergesagten Normalwerts in sitzender Position. Nach 78 Wochen zeigte sich bei den mit Myozyme behandelten Patienten eine Verbesserung der zurückgelegten Gehstrecke, gemessen durch den 6MWT, und eine Stabilisierung der Lungenfunktion, gemessen als FVC in % des vorhergesagten Normalwerts, im Vergleich zu den mit Plazebo behandelten Patienten. Die in 6 Minuten zurückgelegte Gehstrecke erhöhte sich um einen Median von 15,0 Metern bei den mit Myozyme behandelten Patienten und verminderte sich um einen Median von 7,5 Metern bei den mit Plazebo behandelten Patienten, was einen statistisch signifikanten Effekt der Myozyme-Behandlung im Vergleich zum Plazebo anzeigt (p = 0,0283). Die FVC in % des vorhergesagten Normalwerts veränderte sich um einen Median von 0,0 bei den mit Myozyme behandelten Patienten und verminderte sich um einen Median von 3 % bei den mit Plazebo behandelten Patienten, was einen statistisch signifikanten Behandlungseffekt anzeigt (p=0,0026). () Die Open-Label-Studie an 5 Morbus-Pompe-Patienten mit später Verlaufsform, die zu Beginn der Behandlung zwischen 5 und 15 Jahren alt waren, untersuchte die Sicherheit und Wirksamkeit von Myozyme. Die Patienten erhielten einmal alle zwei Wochen über einen Zeitraum von 26 Wochen Myozyme in einer Dosierung von 20 mg/kg Körpergewicht. Alle Patienten konnten zu Beginn der Studie ohne fremde Hilfe gehen und alle bis auf einen Patienten benötigten keinerlei künstliche Beatmung (1 Patient wurde nachts nicht-invasiv beatmet). Zwei der 3 Patienten mit erheblicher Lungenbeteiligung zu Studienbeginn (Bandbreite der forcierten Vitalkapazität in sitzender Position von 58-67%) zeigten in Woche 26 eine deutliche klinische Verbesserung der FVC in sitzender Position (+11,5% und +16%). Die Auswertung der motorischen Funktion ergab unterschiedliche Ergebnisse. Zehn Patienten im Alter von 9-54 Jahren mit fortgeschrittenem Morbus Pompe der späten Verlaufsform (10/10 rollstuhlabhängig, 9/10 auf Beatmung angewiesen) wurden in Expanded-Access-Programmen mit Alglu-cosidase alfa 20-40 mg/kg Körpergewicht einmal alle zwei Wochen unterschiedlich lange zwischen 6 Monaten und 2,5 Jahren behandelt. Die bei den Patienten beobachtete positive Wirkung auf die Lungenfunktion beinhaltete eine klinisch bedeutsame Verbesserung der FVC von 35% bei einer Patientin und eine erhebliche Reduzierung der Beatmungsstunden bei zwei Patienten. Bei manchen Patienten wurde eine positive Wirkung auf die motorische Funktion beobachtet, darunter die Wiedererlangung verloren gegangener motorischer Fähigkeiten. Nur ein Patient konnte ganz auf den Rollstuhl verzichten. In dieser Patientengruppe wurde ein unterschiedliches Ansprechen bezüglich der motorischen Funktionen beobachtet."

Mit dieser Fachinformation korrespondiert der Bericht von Prof. Dr. Z vom 19.07.2011, wonach seit Beginn der Behandlung am 29.08.2006 eine "komplette Stabilisierung der Vitalkapazität sowie der Muskelkraft eingetreten" ist, wengleich es in seinem Bericht vom 06.07.2001 heißt, "es besteht eine langsame Progredienz der Erkrankung mit Zunahme der Muskelschwäche." Die Einzelheiten sind zwischen den Beteiligten strittig (hierzu auch die Stellungnahme des MDK vom 19.08.2011) und im einstweiligen Rechtsschutzverfahren nicht aufzuklären. Die Wertung des MDK bleibt letztlich offen; hierzu auch die Stellungnahme vom 17.01.2013:

"Folgt man Stabilisierung oder Verlangsamung des Fortschreitens von Funktionsdefiziten unter Enzyersatztherapie als minimalen Anforderungen für einen Behandlungseffekt, was bei zuvor belegter, relevanter, erkrankungsbedingter Verschlechterung nachvollziehbar wäre, und nicht auf eine Verbesserung funktioneller Parameter abstellt, ist auch dies anhand aussagekräftiger Verlaufsdokumentation zu belegen. Aus sozialmedizinischer Sicht wäre es nicht ausreichend lediglich Verlaufsbefunde unter Enzyersatztherapie zu werten sondern notwendig auch über einen möglichst gleichlangen Zeitraum eine in vergleichbarerweise erhobene Befunddokumentation für die maßgeblichen Parameter heranzuziehen, um überhaupt Veränderungen vor und nach Beginn der Enzyersatztherapie und deren Dynamik einschätzen zu können. In wie weit sich dies inhaltlich aus den im Sozial-gerichtsurteil zitierten Berichten ergibt ist gutachterlicherseits nicht beurteilbar. Ohne substanziell neue befundgestützte medizinische Informationen kann aus sozialmedizinischer Sicht zum Verlauf vor und unter der Enzyersatztherapie konkret bei dem Versicherten weiterhin keine zuverlässige Beurteilung erfolgen. Weder ergeben sich klare Hinweise auf eine Verschlechterung vor noch auf eine eindeutige Verbesserung oder Stabilisierung unter Enzyersatztherapie im Sinne

eines der Behandlung kausal zuschreibenden Therapieerfolges. In wie weit also der richterlich angenommene "Beweis" für eine unter Enzymersatztherapie eingetretene Krankheitsstabilisierung tatsächlich mit medizinischen Befunden gestützt werden kann erscheint offen und ist aus medizinischer Sicht im Hinblick auf Anforderungen anderer Gerichte an die notwendige Beweiskraft und Befundlage bei diesem Krankheitsbild nicht einschätzbar."

Dem entsprechen die Ausführungen der Beklagten im Schriftsatz vom 14.05.2013. Danach sei der Nutzen der Enzymtherapie mit dem Arzneimittel Myozyme bei Patienten, die wie der Kläger an der adulten Verlaufsform des Morbus Pompe leiden, nicht hinreichend belegt. Auch im konkreten Behandlungsfall fehlten nach wie vor klare Hinweise auf eine eindeutige Verbesserung und Stabilisierung im Sinne eines Therapieerfolges, der der Behandlung mit dem Arzneimittel Myozyme kausal zugeschrieben werden könne. Dem mag zugestimmt werden können. An "klaren" Hinweisen auf eine "eindeutige" Verbesserung und Stabilisierung dürfte es in der Tat fehlen. Allerdings: "Für den Morbus Pompe gibt es (...) keine andere (und dabei sogar schulmedizinische) Behandlungsmöglichkeit als die Enzymsubstitution und dies kann sich - bezogen auf ihr präventives Potential - auf mehr als nur Indizien für eine nicht ganz fern liegende Aussicht auf Heilung oder wenigstens auf eine spürbare positive Entwicklung auf den Krankheitsverlauf stützen" (so Raspe, MedR 2012, 291, 294; vgl. auch schweizerisches Bundesgericht, Urteil vom 23.11.2010 - 9C 334/2010 - MedR 2012, 324 ff. = <http://www.bger.ch/index/jurisdiction/jurisdiction-inherit-template/jurisdiction-recht/jurisdiction-recht-urteile2000.htm> unter Ziff. 3: "Unbestritten ist, dass die Beschwerdegegnerin an Morbus Pompe leidet, dass es sich dabei um eine seltene Krankheit (Orphan Disease) handelt, dass das streitige Medikament Myozyme nicht auf der Spezialitätenliste steht und dass es kein alternatives Arzneimittel zur Behandlung der Krankheit gibt."). Auch der aktenkundige Sachverhalt enthält Hinweise auf eine Stabilisierung und damit auf einen individuellen Nutzen (hierzu auch Raspe, MedR 2012, 291, 293).

All dies deutet darauf hin, dass Sachverständigenbeweis zu erheben ist (hierzu BSG, Urteile vom 24.02.2011 - [B 14 AS 49/10 R](#) -; 19.10.2004 - [B 1 KR 27/02 R](#) -; 17.02.1998 - [B 2 U 22/97 R](#) -; vgl. auch Raspe, MedR 2012, 291, 293), dessen Ergebnis derzeit - naturgemäß - nicht verlässlich abgeschätzt werden kann.

bb) Auf eine weitere Beweiserhebung könnte verzichtet werden, wenn eine Kosten-Nutzen-Abwägung dazu führt, dass aus Kostengründen ein therapeutischer Zusatznutzen zu versagen ist. M.a.W.: Auch wenn es nur eine einzige Therapie gäbe, wäre diese nicht unabhängig von den Kosten als wirtschaftlich anzusehen, vielmehr zu verweigern, "wenn zwischen Aufwand und Heilerfolg ein grobes Mißverhältnis besteht" (zitiert nach Huster, MedR 2012, 289 unter Bezugnahme auf Bundesgericht, Urteil vom 23.11.2010 - 9C 334/2010 -). Die erhebliche Kostenbelastung der Beklagten mit ca. 34.000,00 EUR/mtl. einerseits und der derzeit nicht klare therapeutische Nutzen andererseits wären in Relation zu setzen. Das Bundesgericht verfiel einen solchen Ansatz (Urteil vom 23.11.2010 - 9C 334/2010 -, Ziff. 7.4):

Das Wirtschaftlichkeitserfordernis im Sinne von Art. 32 Abs. 1 KVG bezieht sich nach der Rechtsprechung auf die Wahl unter mehreren zweckmässigen Behandlungsalternativen: Bei vergleichbarem medizinischem Nutzen ist die kostengünstigste Variante bzw. diejenige mit dem besten Kosten-/Nutzen-Verhältnis zu wählen (BGE 130 V 532 E. 2.2 S. 535 f.; 127 V 43 E. 2b S. 46 f.; 124 V 196 E. 3 S. 200 f.; 121 V 216 E. 2a/bb S. 220 f.). Das bedeutet aber nicht, dass dort, wo es nur eine einzige Behandlungsmöglichkeit gibt, diese ungeachtet der Kosten in jedem Fall als wirtschaftlich zu betrachten wäre. Unter dem allgemeinen Gesichtspunkt der Verhältnismässigkeit, die für das gesamte Staatshandeln gilt (Art. 5 Abs. 2 BV), ist eine Leistung zu verweigern, wenn zwischen Aufwand und Heilerfolg ein grobes Missverhältnis besteht (BGE 109 V 41 E. 3 S. 44 f.; 118 V 107 E. 7b S. 115; 120 V 121 E. 4b S. 125; RKUV 2004 Nr. KV 272 S. 109, K 156/01 E. 3.1.2; RKUV 2000 Nr. KV 132 S. 279, K 151/99 E. 2d; Ulrich Meyer-Blaser, Zum Verhältnismässigkeitsgrundsatz im staatlichen Leistungsrecht, 1985, S. 77; Sibylle Schürch, Rationierung in der Medizin als Straftat, 2000, S. 199), was eine Beurteilung des Verhältnisses von Kosten und Nutzen voraussetzt (Eugster, KVG, N. 12 zu Art. 32 KVG; Gabrielle Steffen, Droit aux soins et rationnement, 2002, S. 156). Es können somit weder die hohe therapeutische Wirksamkeit noch die Wirtschaftlichkeit je getrennt voneinander betrachtet werden in dem Sinne, dass die Frage nach dem hohen therapeutischen Nutzen mit einem kategorialen Ja oder Nein beantwortet werden könnte und bejahendenfalls die Kosten in beliebiger Höhe zu übernehmen wären. Vielmehr ist die Frage nach dem hohen therapeutischen Nutzen graduell und in Relation zu den Behandlungskosten zu beurteilen: Je höher der Nutzen ist, desto höhere Kosten sind gerechtfertigt. Das Verhältnis von Preis und Nutzen ist auch zu beachten für den Entscheid über die Listenaufnahme von Medikamenten (Art. 34 Abs. 1 KLV [in Kraft bis 30. September 2009]; BGE 127 V 275 E. 2b S. 279; 109 V 207 E. 4c S. 214 f.; SVR 2007 KV Nr. 13 S. 50, K 148/06 E. 6.1; RKUV 2001 Nr. KV 158 S. 155, K 43/99 E. 2c und 5; Pfiffner Rauber, a.a.O., S. 162 f.). Es kann nicht unberücksichtigt bleiben, wenn der ausnahmsweise Einsatz von Medikamenten, die nicht auf der Liste aufgeführt sind, stattdessen einzelfallweise beurteilt wird (vorne E. 5.2; SVR 2010 KV Nr. 3 S. 9, 9C 397/2009 E. 4.3).

Das heißt: Die schweizerische Krankenversicherung ist infolge inadäquaten Nutzens nicht verpflichtet, eine Enzymersatztherapie bei adultem Morbus Pompe infolge jährlicher Therapiekosten von mehr als 500.000,00 Sfr. zu finanzieren (hierzu Raspe, MedR 2012, 291).

Dem Ansatz des Bundesgerichts ist nach summarischer Prüfung nicht zu folgen.

Der Anspruch auf Krankenbehandlung hat sich gem. [§ 27 Abs. 1 S. 1 SGB V](#) i.V.m. [§ 2 Abs. 1 S. 3](#), [§ 2 Abs. 4](#), [§ 12 Abs. 1 SGB V](#) daran auszurichten, welche Behandlung unter Beachtung des umfassenden Grundsatzes der Wirtschaftlichkeit notwendig und ausreichend ist, um das angestrebte, in [§ 27 Abs. 1 S. 1 SGB V](#) bezeichnete Behandlungsziel zu erreichen. Die dem Versicherten zu diesem Zweck zur Verfügung gestellten Leistungen müssen ausreichend, zweckmässig und wirtschaftlich sein; sie dürfen das Maß des Notwendigen nicht überschreiten ([§ 12 Abs. 1 SGB V](#)).

Ausreichend ist die Leistung, wenn sie den Grad des Genügenden weder über- noch unterschreitet, nicht qualitativ mangelhaft ist und nach Umfang und Qualität hinreichende Chancen für einen Heilerfolg bietet (Scholz in: Becker/Kingreen, § 12 Rdn. 7; vgl. auch Peters in: Peters, SGB V, § 12 Rdn. 30). Zweckmässig bedeutet Effektivität, d.h. ex ante betrachtet objektive medizinische Eignung der Leistung zur Erreichung des therapeutischen oder diagnostischen Ziels (Scholz, a.a.O., § 12 Rdn. 7; vgl. auch Peters, a.a.O., § 12 Rdn. 31). Erst wenn im Einzelfall beide Begriff erfüllt sind, kann geprüft werden, ob die fragliche Leistung "notwendig" ist (Peters, a.a.O., § 12 Rdn. 28).

Ob die Enzymersatztherapie objektiv medizinisch geeignet ist, um jedenfalls eine Verschlimmerung (hierzu [§ 27 Abs. 1 Satz 1 SGB V](#)) des Morbus Pompe zu verhindern, steht derzeit nicht fest. Verkürzt: Der Kläger behauptet dies unter Bezugnahme auf die Äußerungen der ihn behandelnden Ärzte, die Beklagte tritt dem mittels von ihr vorgelegter MDK-Gutachten entgegen. Hierzu wird ggf. im Hauptsacheverfahren Beweis zu erheben sein. Sollte sich sodann herausstellen, dass die Enzymersatztherapie die einzige Behandlungsmethode ist, um den

Krankheitsverlauf des Morbus Pompe zumindest zu stabilisieren, wäre sie zweckmäßig i.S.d. [§ 12 Abs. 1 SGB V](#). Die Leistung wäre auch ausreichend, wenn sie hinreichende Chancen böte, einer Verschlimmerung entgegenzuwirken. Notwendig wäre die Enzyersatztherapie, wenn sie unvermeidlich, zwangsläufig, unentbehrlich, erforderlich wäre, um im Einzelfall ausreichend und zweckmäßig zu sein (Peters, a.a.O., § 12 Rdn. 32; vgl. auch Scholz, a.a.O., § 12 Rdn. 7). Letzteres wiederum wäre dann der Fall, wenn sie alternativlos wäre, was nach Aktenlage der Fall zu sein scheint. Insoweit würden sich vorliegend "Zweckmäßigkeit" und Notwendigkeit" inhaltlich decken. All dies kann nur nach weiterer Sachaufklärung beantwortet werden.

Demgegenüber bestimmt Art. 32 des Bundesgesetzes über die Krankenversicherung vom 18.03.1994 (KVG), abrufbar unter <http://www.admin.ch/opc/de/classifiedcompilation-/19940073/index.html>:

(1) Die Leistungen nach den Artikeln 25-31 müssen wirksam, zweckmässig und wirtschaftlich sein. Die Wirksamkeit muss nach wissenschaftlichen Methoden nachgewiesen sein.

(2) Die Wirksamkeit, die Zweckmässigkeit und die Wirtschaftlichkeit der Leistungen werden periodisch überprüft.

Schon dieser von [§ 12 Abs. 1 SGB V](#) abweichende Text könnte zu einem abweichenden Ergebnis führen. Art. 32 Abs. 1 KVG fehlt das Tatbestandsmerkmal "Maß des Notwendigen". Das kann hier letztlich dahinstehen, denn das Bundesgericht stellt auf einen anderen Aspekt ab. Es verlässt gleichsam das Krankenversicherungsrecht und rekurriert auf den für alles Staatshandeln geltenden Grundsatz der Verhältnismässigkeit (a.a.O., Ziff. 7.4). Hiernach soll das Verhältnismässigkeitsgebot zur Leistungsversagung führen, wenn zwischen Aufwand und Ertrag ein grobes Missverhältnis besteht. Das lässt sich auf deutsches Recht schwerlich übertragen. Eine Kosten-Nutzen-Relation ist nur bei Alternativität relevant (hierzu auch [§ 35b Abs. 1 Satz 3 SGB V](#); zur Alternativität vgl. Scholz, a.a.O., § 12 Rdn. 8; hierzu auch Huster, MedR 2012, 289). Kosten-Nutzen-Bewertungen kennt das SGB V nur mit Blick auf Preisregulierungen ([§§ 35b, 139b SGB V](#)), nicht jedoch hinsichtlich von Leistungsausschlüssen (Huster, MedR 2012, 289, 290) Bei dieser Sachlage mit dem Bundesgericht auf das Verhältnismässigkeitsprinzip abzustellen, dürfte spätestens am Beschluss des BVerfG vom 06.12.2005 - [1 BvR 347/98](#) - scheitern. Ist der Morbus Pompe, was nach Aktenlage der Fall zu sein scheint, in der konkreten Variante eine "lebensbedrohende oder sogar regelmäßig tödliche Erkrankung", für die es keine andere Behandlungsmöglichkeit als die Enzymsubstitution gibt und kann sich diese - bezogen auf ihr präventives Potential - auf mehr als nur "Indizien" für eine "nicht ganz fern liegende Aussicht auf Heilung oder wenigstens auf eine spürbare positive Einwirkung auf den Krankheitsverlauf" stützen, wird die Leistung ungeachtet der erheblichen Kosten ggf. gewährt werden müssen (hierzu Raspe, MedR 2012, 291, 294). Sofern es im Übrigen auf die Vorgaben des BVerfG im Beschluss vom 06.12.2005 - [1 BvR 347/98](#) - ankommen sollte, werden die nachgängigen Restriktionen des BSG zu erwägen sein. Danach muss eine "notstandsähnliche Situation" im Sinne einer mit einem gewissen Zeitdruck zum Ausdruck kommenden Problematik vorliegen, wie sie für einen zur Lebenserhaltung bestehenden akuten Behandlungsbedarf typisch ist, was bedeutet, dass sich nach den konkreten Umständen des Falles der voraussichtlich tödliche Krankheitsverlauf innerhalb eines kürzeren, überschaubaren Zeitraums mit großer Wahrscheinlichkeit verwirklichen wird (hierzu BSG, Urteil vom 08.11.2011 - [B 1 KR 19/10 R](#) - und 14.12.2006 - [B 1 KR 12/06 R](#) -). Andererseits hat das BVerfG seine Rechtsprechung bestätigt und im Fall einer Apheresebehandlung ausreichen lassen, dass die Erkrankung voraussichtlich erst in einigen Jahren zum Tod führt (BVerfG, Beschluss vom 06.02.2007 - [1 BvR 3101/06](#) -; hierzu BSG, Urteil vom 13.10.2010 - [B 6 KA 48/09 R](#) -). Dies bedarf hier keiner Entscheidung. Wesentlich ist, dass der Gesetzgeber finanzielle Leistungsobergrenzen im hier interessierenden Zusammenhang weder absolut noch relativ normiert hat und solche - bezogen auf den Einzelfall - auch dem Beschluss des BVerfG vom 06.12.2005 - [1 BvR 347/98](#) - nicht zu entnehmen sind.

b) Angesichts dieser Rechtslage und unter Berücksichtigung eines möglichen Nutzen dahin, dass der anderenfalls (wohl) in ein lebensbedrohliches Stadium hinübergleitende Krankheitsverlauf stabilisiert werden kann, erachtet der Senat das finanzielle Risiko für die Beklagte derzeit als hinnehmbar.

Von einer Sicherheitsleistung ([§ 199 Abs. 2 Satz 2 SGG](#)) war abzusehen.

Nach alledem konnte der Antrag keinen Erfolg haben.

III.

Die Kostenentscheidung folgt aus [§ 193 Abs. 1 SGG](#). Sie berücksichtigt, dass der Kläger sich am Verfahren auf Aussetzung der Vollstreckung beteiligt hat.

Dieser Beschluss kann mit der Beschwerde nicht angefochten werden ([§ 177 SGG](#)); er ist jederzeit abänderbar.

Rechtskraft

Aus

Login

NRW

Saved

2013-08-13