

Après que le médicament **Myozyme** a été introduit dans la liste des spécialités (LS) dès le 1<sup>er</sup> novembre 2011, l'hôpital cantonal du canton de Saint-Gall a demandé à l'assureur-maladie qu'il **prenne en charge les coûts de ce médicament en faveur d'une assurée, née en 1940, souffrant de la maladie de Pompe**. Après avoir délivré dans un premier temps une garantie de prise en charge du traitement, libellée toutefois de manière peu compréhensible, l'assureur a ensuite refusé de le prendre en charge, en invoquant essentiellement le défaut du caractère économique des prestations. L'hôpital cantonal a alors saisi le tribunal arbitral, qui lui a donné raison, et condamné l'assureur-maladie à payer près de **CHF 370'000.- pour le traitement initial de douze mois** au moyen de ce médicament.

Le TF a rejeté le recours interjeté par l'assureur-maladie contre cette décision, au motif principalement que **le critère de l'économicité du traitement ne pouvait plus être remis en question dans le cas particulier, compte tenu du respect des limitations strictes prévues dans la LS**. L'éventuelle contestation du caractère efficace de ce traitement (utilité thérapeutique importante) ne pourra intervenir qu'après fourniture de la prestation initiale de 12 mois, selon la LS.

**Auteur : Guy Longchamp**

Beschwerde gegen den Entscheid des Versicherungsgerichts des Kantons St. Gallen vom 25. August 2015.

### Sachverhalt :

#### A.

**A.a.** Die 1940 geborene A. ist bei der Publisana Krankenkasse AG (Publisana) bzw. infolge Fusion per 1. Januar 2015 bei deren Rechtsnachfolgerin KPT Krankenkasse AG, Bern, obligatorisch krankpflegeversichert. Mitte 2007 wurde bei A. ein Morbus Pompe (eine seltene Stoffwechselkrankheit) diagnostiziert und in der Folge bis Mai 2008 mit dem Medikament Myozyme© behandelt. Nachdem die Publisana im Oktober 2008 die weitere Kostenübernahme abgelehnt und das auf Beschwerde von A. hin mit der Angelegenheit befasst gewesene Versicherungsgericht des Kantons Aargau am 23. Februar 2010 die Publisana zur Kostenübernahme für vorerst zwei Jahre verpflichtet hatte, entschied das Bundesgericht mit als BGE 136 V 395 publiziertem Urteil 9C\_334/2010 vom 23. November 2010, die Publisana habe die Kosten für das sich damals noch ausserhalb der Spezialitätenliste (nachfolgend: SL) befindliche Präparat Myozyme© nicht zu übernehmen.

**A.b.** Per 1. November 2011 wurde Myozyme© mit umfangreichen Limitationen in die Spezialitätenliste aufgenommen.

**A.c.** Das A. behandelnde Kantonsspital St. Gallen unterbreitete der Publisana Ende März 2012 ein Gesuch um weitere Kostengutsprache für die Therapie mit Myozyme©. Die Publisana führte daraufhin am 12. März 2013 insbesondere Folgendes aus:

"Nach nochmaliger Prüfung des Dossiers und der in der Spezialitätenliste aufgeführten Limitationen kommen wir zum Ergebnis, dass unsere Versicherte im Grundsatz Anspruch auf Bezug des besagten Medikamentes hat. Wir erteilen mit Gültigkeit ab 1. März 2013 und für die Dauer von 12 Monaten (gemäss SL) Kostengutsprache für die Therapie von Frau A. mit dem Arzneimittel Myozyme. Dies gemäss den in der SL aufgeführten Bedingungen und Limitationen. Diese Kostengutsprache gilt nicht für die Höhe des Preises des Medikamentes und unter dem Vorbehalt des Nachweises der Wirksamkeit des Medikamentes bei Frau A.."

"Der in der Spezialitätenliste vom BAG festgelegte Preis von CHF 556.40 (Fabrikabgabepreis) bzw. CHF 587.75 (Publikumspreis) für 50 mg Trockensubstanz des Wirkstoffes Alglucosidasum alfa (Medikamentenmarke Myozyme) ist im Verhältnis zum Nutzen des Medikamentes offensichtlich in genereller Weise und auch für den hier vorliegenden individuellen Einzelfall Ihrer Patientin zu hoch. Diese Einschätzung steht im Einklang mit der höchstrichterlichen Rechtsprechung (BGE 136 V 395). Publisana wird deshalb die durch das Bundesamt für Gesundheit anlässlich der Aufnahme auf die SL vorgenommene Preisfestsetzung und Beurteilung des therapeutischen Nutzens von Myozyme® überprüfen und den angemessenen Preis unter Berücksichtigung der gesetzlichen Grundlagen wie Wirtschaftlichkeit und Zweckmässigkeit festlegen.

Die Kostengutsprache erfolgt daher explizit ohne Garantie der Preisübernahme bzw. erfolgt hinsichtlich des Preises unter Vorbehalt der noch erfolgenden Abklärungen. Wir empfehlen Ihnen dementsprechend allfällige Faktura Ihrer Medikamentenlieferanten nur unter Vorbehalt von Rückforderungen zu bezahlen."

Das Kantonsspital stellte der Publisana zwischen Juni 2013 und März 2014 sieben Rechnungen für die Behandlung von A. mit dem Präparat Myozyme® in der Zeit zwischen 10. April 2013 und 11. März 2014 im Gesamtbetrag von Fr. 368'992.80.

Mit Schreiben vom 27. Mai 2014 erteilte die Publisana ab 1. März 2014 eine Kostengutsprache mit identischem Wortlaut wie diejenige vom 12. März 2013. In der Folge lehnte sie es ab, die in Rechnung gestellten Behandlungskosten zu übernehmen.

#### **B.**

Die hierauf vom Kantonsspital St. Gallen gegen die Publisana erhobene Klage hiess das Versicherungsgericht des Kantons St. Gallen als Schiedsgericht mit Entscheid vom 25. August 2015 gut und verpflichtete die KPT Krankenkasse als Rechtsnachfolgerin der Publisana, die Kosten für die vom 10. April 2013 bis 11. März 2014 durchgeführte Behandlung mit dem Arzneimittel Myozyme® im Betrag von Fr. 368'992.80, nebst Zins, aus der obligatorischen Krankenversicherung zu erstatten.

#### **C.**

Die KPT Krankenkasse AG führt Beschwerde in öffentlich-rechtlichen Angelegenheiten mit dem Antrag, der angefochtene Entscheid sei aufzuheben und die Klage des Kantonsspitals sei abzuweisen. Eventualiter sei der angefochtene Entscheid aufzuheben und sie sei zu verpflichten, "einen angemessenen Preis von Fr. 1.00 pro Durchstechflasche mit einem Inhalt von 50 mg Trockensubstanz für längstens 24 Monate zu bezahlen". Subeventualiter sei die Sache in Aufhebung des vorinstanzlichen Entscheids an das kantonale Gericht zurückzuweisen.

Mit Eingabe vom 8. Oktober 2015 reicht die KPT Krankenkasse AG Belege über bereits erfolgte Teilzahlungen (insgesamt Fr. 6'741.40) nach und macht geltend, insoweit sei die vorinstanzliche Klage gegenstandslos geworden.

Das Kantonsspital St. Gallen beantragt, auf die Beschwerde sei nicht einzutreten, eventualiter sei die Beschwerde abzuweisen. Das Bundesamt für Gesundheit (BAG) schliesst auf Abweisung der

Beschwerde und Bestätigung des angefochtenen Entscheids.

### **Erwägungen:**

#### **1.**

Mit der Beschwerde in öffentlich-rechtlichen Angelegenheiten kann unter anderem die Verletzung von Bundesrecht gerügt werden (Art. 95 lit. a BGG). Die Feststellung des Sachverhalts kann nur gerügt werden, wenn sie offensichtlich unrichtig ist oder auf einer Rechtsverletzung im Sinne von Artikel 95 beruht und wenn die Behebung des Mangels für den Ausgang des Verfahrens entscheidend sein kann (Art. 97 Abs. 1 BGG). Das Bundesgericht legt seinem Urteil den Sachverhalt zugrunde, den die Vorinstanz festgestellt hat (Art. 105 Abs. 1 BGG). Es kann die Sachverhaltsfeststellung der Vorinstanz von Amtes wegen berichtigen oder ergänzen, wenn sie offensichtlich unrichtig ist oder auf einer Rechtsverletzung im Sinne von Artikel 95 beruht (Art. 105 Abs. 2 BGG).

#### **2.**

Streitig ist die Übernahme der Kosten für die Behandlung von A. mit dem Medikament Myozyme® für die Zeit zwischen 10. April 2013 und 11. März 2014 (in Höhe von Fr. 368'922.80 - abzüglich der erfolgten Teilzahlung von Fr. 6'741.40 - nebst Zins) durch die obligatorische Krankenpflegeversicherung.

Nach den zutreffenden Erwägungen des Schiedsgerichts übernimmt die obligatorische Krankenpflegeversicherung Kosten für Leistungen, die der Diagnose und Behandlung einer Krankheit und ihrer Folgen dienen. Diese Leistungen umfassen unter anderem die ärztlich verordneten Arzneimittel der Spezialitätenliste (Art. 52 Abs. 1 lit. b KVG; Art. 25 Abs. 1 und Abs. 2 lit. b KVG; Art. 34 und 64a ff. KVV; Art. 30 ff. KLV). Voraussetzung für eine Kostenübernahme im Einzelfall ist neben der Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit der Behandlung (Art. 32 Abs. 1 KVG), dass der Einsatz des Medikaments im Rahmen der von der Heilmittelbehörde (Swissmedic) genehmigten medizinischen Indikationen und Dosierungen (BGE 131 V 349) sowie gemäss den Limitierungen nach Art. 73 KVV (zu deren Bedeutung BGE 130 V 532 E. 3.1 S. 536) erfolgt (Urteil 9C\_785/2011 vom 25. April 2012 E. 2.1.1, in: SVR 2012 KV Nr. 20 S. 71, mit Hinweis auf BGE 136 V 395 E. 5.1 S. 398).

#### **3.**

**3.1.** Das Schiedsgericht erwog, auch wenn hinsichtlich des therapeutischen Nutzens und der Wirtschaftlichkeit von Myozyme® für die späte Verlaufsform von Morbus Pompe die Meinungen geteilt sein könnten, bewege sich der gesetzeskonform zustande gekommene Aufnahmeentscheid des BAG innerhalb des ihm zustehenden sehr weiten Ermessensspielraums. Der Wirtschaftlichkeit sei durch die ausführlichen Limitierungen und die erhebliche Reduktion des Maximalpreises besonders Rechnung getragen worden. Sodann seien die Krankenversicherer weder beschwerdelegitimiert gegen Entscheide betreffend Aufnahme eines Medikaments in die SL, noch befugt, bei den in der Liste enthaltenen Arzneimitteln über die Frage der Wirtschaftlichkeit individuell-konkret zu entscheiden. Die in den Kostengutsprachen vom 12. März 2013 und 27. Mai 2014 enthaltenen Vorbehalte seien unzulässig. Unbestritten erfülle die zu behandelnde A. sämtliche Anforderungen gemäss den in der Spezialitätenliste aufgeführten Limitationen, namentlich auch den erforderlichen "Therapieerfolg", der "im Sinne der Limitierungen eingetreten" sei. Mithin sei die Behandlung mit Myozyme® indiziert.

**3.2.** Die Beschwerde führende Kasse rügt unrichtige Sachverhaltsfeststellungen, willkürliche Beweiswürdigungen und Gehörsverletzungen sowie eine Verletzung des Untersuchungsgrundsatzes. Über weite Strecken der zahlreiche Wiederholungen enthaltenden Beschwerdeschrift beanstandet

sie einerseits - wie bereits im vorinstanzlichen Verfahren - verschiedene Punkte in Zusammenhang mit der Aufnahme von Myozyme© in die SL und der Festsetzung des Listenpreises. Andererseits macht sie geltend, das kantonale Gericht habe bundesrechtswidrig den individuellen therapeutischen Nutzen des Medikaments nicht geprüft, obwohl sich im konkreten Fall keine messbaren Verbesserungen hätten feststellen lassen und das Lungenvolumen von A. sogar abgenommen habe. Die vorinstanzliche Feststellung, wonach sowohl die Wirksamkeit als auch die Wirtschaftlichkeit erstellt sei, sei unhaltbar.

**3.3.** Der Beschwerdegegner macht zunächst geltend, die Beschwerde sei rechtsmissbräuchlich. Zum einen habe die Beschwerdeführerin ihre grundsätzliche Leistungspflicht anerkannt und sich lediglich gegen die Höhe des Medikamentenpreises gewehrt, der indes nicht Gegenstand des Schiedsverfahrens gewesen sei. Zum andern sei sie nicht legitimiert, einen vom BAG festgesetzten Medikamentenpreis anzufechten. Ein solcher könne nicht Gegenstand eines Verfahrens nach Art. 89 KVG sein. Die in der SL festgesetzten Medikamentenpreise seien vielmehr für die Kassen verbindlich. Auf die Beschwerde sei somit gleich aus zwei Gründen (Klageanerkennung und fehlende Legitimation) nicht einzutreten.

Im Übrigen ergebe sich die Leistungspflicht der Beschwerdeführerin qualitativ und quantitativ aus der SL. Mit der Aufnahme in die Liste (und der vorgängigen Zulassung durch Swissmedic) sei die Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit geprüft worden, weshalb für die Prüfung der Wirtschaftlichkeit im Einzelfall kein Raum mehr bestehe. Was die konkrete Wirtschaftlichkeit der Behandlung betreffe, gehe bereits aus den in der SL aufgeführten Limitierungen klar hervor, dass ein - gerichtlich bestätigter - Therapieerfolg für ein Weiterführen der Therapie bzw. eine neue Kostengutsprache vorausgesetzt werde. Es sei "schleierhaft", wie die Beschwerdeführerin einerseits einen individuellen therapeutischen Nutzen in Abrede stellen könne und andererseits Kostengutsprachen erteile, wo doch die Limitatio weitere Kostengutsprachen von einem Therapieerfolg abhängig mache.

**3.4.** Das BAG weist darauf hin, dass es den Krankenversicherern in Zusammenhang mit der Vergütung von in die SL aufgenommenen Medikamenten nur sehr eingeschränkt möglich ist die Wirksamkeit, Zweckmässigkeit und Wirtschaftlichkeit in Frage zu stellen. Die beschwerdeführerische Ablehnung der Vergütung von Myozyme© verstosse im Grundsatz gegen die gesetzliche Leistungspflicht der Kasse. Die Beschwerdeführerin versuche, das vom Gesetzgeber vorgesehene System bezüglich Aufnahme von Arzneimitteln in die Liste, namentlich die fehlende Beschwerdelegitimation betreffend Aufnahmeentscheide, zu umgehen. Dieses Vorgehen sei nicht mit dem in Art. 43 Abs. 6 KVG verankerten Ziel einer qualitativ hochstehenden und zweckmässigen Versorgung zu möglichst günstigen Preisen zu rechtfertigen.

#### **4.**

**4.1.** Vorab einzugehen ist auf den Nichteintretensantrag des Beschwerdegegners. In ihrer vorinstanzlichen Klageantwort hielt die Beschwerdeführerin fest, sie anerkenne, "dass die versicherte Person initial zum Zeitpunkt des Kostengutsprache gesuchs gemäss Spezialitätenliste Anspruch auf die Kostenübernahme des Medikaments Myozyme© hätte, falls die Spezialitätenliste durch die zuständige Behörde gesetzteskonform erstellt worden wäre".

**4.2.** Das Schiedsgericht traf über diese "Anerkennung", die teilweise identisch ist mit diversen, von der Beschwerdeführerin als "Kostengutsprachen" bezeichneten Schreiben (namentlich vom 12. März und 3. April 2013 sowie vom 27. Mai 2014), weder eine Feststellung noch nahm es (explizit) eine rechtliche Würdigung vor. Indem es auf die Klage eintrat und diese materiell behandelte ging es indes offensichtlich nicht von einer Klageanerkennung aus. Dies verletzt Bundesrecht nicht (E. 1). Die Kostengutsprache des Krankenversicherers ist zunächst kein verbindliches Leistungsversprechen

gegenüber der versicherten Person (Urteil 9C\_61/2009 vom 16. Juli 2009, in: SVR 2009 KV Nr. 13 S. 47, E. 5.2.1 mit Hinweisen). Grundsätzlich kann der Versicherer eine Kostenübernahme trotz vorgängig erteilter Kostengutsprache später verweigern, wenn er die Behandlung als medizinisch nicht indiziert oder nicht wirksam, zweckmässig oder wirtschaftlich erachtet (Art. 32 KVG). Sodann ist die Formulierung der "Kostengutsprache" höchst unklar und widersprüchlich. Einerseits wird der Anspruch "auf den Bezug des besagten Medikaments" im Grundsatz bejaht und im Rahmen der Limitationen der SL "Kostengutsprache erteilt für die besagte Therapie für A.". Andererseits wird die Gutsprache mit Vorbehalten bezüglich der Höhe des Preises und der (konkreten) Wirksamkeit bei der Versicherten A. versehen. Angesichts des rechtlichen Gehalts einer üblichen Kostengutsprache eines Krankenversicherers der obligatorischen Krankenpflegeversicherung (hiezue auch das bereits zitierte Urteil 9C\_61/2009 vom 16. Juli 2009 E. 5.2.1) und unter Berücksichtigung der inhaltlichen Unklarheit und Widersprüchlichkeit der als Kostengutsprache bezeichneten Schreiben vom 12. März und 3. April 2013 sowie vom 27. Mai 2014 können diese ohnehin weder als verbindliche Schuldanererkennung noch als verlässliche Zusage für die Kostenübernahme der beantragten Behandlung zum verrechneten Tarif qualifiziert werden. Das Gleiche gilt für die vom Beschwerdegegner erwähnte Passage in der vorinstanzlichen Klageantwort, welche - gleichermassen widersprüchlich und unklar - offensichtlich nicht als eine (sich auf ein bestimmtes Rechtsbegehren des vorinstanzlichen Klägers beziehende; vgl. Urteil 4A\_187/2015 vom 29. September 2015 E. 9.3) Klageanererkennung qualifiziert werden kann. Beizufügen ist, dass für die geltend gemachte Forderung des Beschwerdegegners mangels gültigem provisorischem Rechtsöffnungstitel auch keine Rechtsöffnung erteilt wurde.

## **5.**

Was die schon vorinstanzlich vorgebrachten, weitschweifigen und vom Schiedsgericht rechtskonform behandelten Beanstandungen bezüglich des Listenpreises von Myozyme© sowie die - als Verfügung ergangene (GEBHARD EUGSTER, Krankenversicherung, in: Soziale Sicherheit, SBVR, Band XIV, 3. Aufl. 2016, Rz. 730 S. 633) - Aufnahme dieses Medikaments in die SL betrifft, kann auf die entsprechenden Vorbringen mangels Legitimation der Beschwerdeführerin in der Sache nicht eingetreten werden. Eine Änderung des Aufnahmeverfahrens in die Liste wie auch eine Ermächtigung der Krankenversicherer bzw. deren Verbände zur Beschwerde gegen Aufnahmeentscheide in die SL wäre allenfalls Sache des Gesetzgebers. Von der Möglichkeit, den Versicherern eine Rechtsmittelbefugnis gegen Aufnahmeentscheide in die Spezialitätenliste einzuräumen, hat sich dieser indes mit guten Gründen, insbesondere in Nachachtung des Sachziels der Sicherstellung einer qualitativ hochstehenden und zweckmässigen Gesundheitsversorgung zu möglichst günstigen Kosten, bislang nicht veranlasst gesehen (BGE 127 V 80 E. 3c/bb S. 86 f.).

## **6.**

**6.1.** Nachdem der Beschwerdeführerin die Legitimation zur Anfechtung des Aufnahmeentscheides von Myozyme© in die SL fehlt und es ihr somit insbesondere auch verwehrt ist, den gleichzeitig mit der Aufnahme in die Liste festgesetzten Höchstpreis in Frage zu stellen, ist zu prüfen, ob und allenfalls unter welchen Prämissen die Kasse ihre grundsätzliche Vergütungspflicht für das per 1. November 2011 in die SL aufgenommene Medikament Myozyme© im Einzelfall anfechten kann.

**6.2.** Was die hauptsächlich gerügte fehlende Wirtschaftlichkeit im konkreten Verschreibungsfall betrifft, ist zunächst festzuhalten, dass die Wirtschaftlichkeitsprüfung für gelistete und für nicht gelistete Medikamente grundlegend unterschiedlich erfolgt. Die gesetzliche Ordnung (Art. 52 Abs. 1 lit. b KVG; Art. 34 und 64a ff. KVV; Art. 30 ff. KLV) schliesst für nicht in der Spezialitätenliste aufgeführte Arzneimittel eine Kostenübernahme durch die obligatorische Krankenpflegeversicherung grundsätzlich aus. Ein sogenannter "Off-Label-Use" ist von der OKP nur ausnahmsweise und unter engen Voraussetzungen zu finanzieren (hiezue BGE 136 V 395 E. 5.1 S. 398 f.); namentlich muss ein hoher therapeutischer Nutzen ausgewiesen sein (BGE, a.a.O., E. 5.2 S. 399). Demgegenüber wird einem Medikament mit der Aufnahme in die Spezialitätenliste nebst der Wirksamkeit und der

Zweckmässigkeit insbesondere Wirtschaftlichkeit attestiert (Art. 65 Abs. 3 und 65b KVV, Art. 30 Abs. 1 lit. a KLV; THOMAS GÄCHTER/ARLETTE MEIENBERGER, Verfassungsmässigkeit von Wirtschaftlichkeitsüberlegungen, in: Riemer-Kafka, Wirtschaftlichkeitsüberlegungen in der Sozialversicherung, 2012, S. 32 f.). Ein Medikament kann mit anderen Worten zwingend nur dann in die Liste aufgenommen werden, wenn die Wirtschaftlichkeitsprüfung (Art. 32 KVG) ein positives Resultat ergeben hat (vgl. auch E. 2 hievore).

Wird ein Arzneimittel unter einer die Zulassung weiter einschränkenden Limitierung (die sich insbesondere auf die Menge oder die medizinischen Indikationen beziehen kann, wobei sie den Rahmen der heilmittelrechtlichen Begrenzung nicht erweitern darf; vgl. BGE 130 V 532 E. 5.2 S. 541 f.) in die Spezialitätenliste aufgenommen, ist die Einhaltung dieser Limitatio weitere Voraussetzung für eine Kostenvergütung durch die obligatorische Krankenpflegeversicherung. Dabei handelt es sich um ein zusätzliches Instrument zur Wirtschaftlichkeitskontrolle (vgl. EUGSTER, a.a.O., Rz. 702 S. 622).

**6.3.** Myozyme® wurde - im Nachgang zum dasselbe Arzneimittel betreffenden BGE 136 V 395 - mit umfangreicher Limitation bezüglich Indikation und Kontrolle für Patienten mit der späten Verlaufsform von Morbus Pompe per 1. November 2011 (zunächst befristet) in die abschliessende und verbindliche Spezialitätenliste aufgenommen. Die Limitierung von Myozyme® gilt als die längste und komplexeste, die jemals in die Spezialitätenliste Eingang fand (vgl. Valérie Junod/Jean-Blaise Wasserfallen, Le Myozyme: quoi de neuf depuis 2010?, in: HAVE 2012, S. 177). So muss vor der Einleitung der Therapie eine schriftliche Kostengutsprache des Krankenversicherers über den Vertrauensarzt eingeholt werden, die nur erteilt wird, wenn die im Einzelnen aufgelisteten Einschlussbedingungen erfüllt sind und (gesundheitliche) Ausschlusskriterien fehlen. Die Evaluation für den Therapiebeginn darf nur von besonders qualifizierten Ärzten durchgeführt werden. Die Weitertherapie (Verlängerung der Kostengutsprache um weitere zwölf Monate, um die es hier nicht geht; nachfolgende E. 6.5.1) bedingt einen anhand zahlreicher ebenfalls in der Limitatio enthaltenen Beurteilungsparameter zu messenden Therapieerfolg. Diese Ausführungen zeigen, dass die Behandlungskosten mit Myozyme® für die späte Verlaufsform von Morbus Pompe nur unter strengen Voraussetzungen von der OKP zu übernehmen sind. Ob die Aufnahme von Myozyme® in die SL angesichts der E. 7.4 von BGE 136 V 395 (S. 406) zu Recht erfolgte, hat das Bundesgericht nicht zu prüfen. Bemerkenswert ist immerhin die Zurückhaltung selbst des Medikamentenherstellers für die späte Verlaufsform der Krankheit ("chez les patients atteints par la forme tardive de la maladie, les données concernant l'efficacité sont limitées"). Darüber hinaus erfolgte die Aufnahme von Myozyme® in die Spezialitätenliste nach den verbindlichen Feststellungen der Vorinstanz mit einem gegenüber der Ausgangslage stark reduzierten, nahezu halbierten Preis pro Durchstechflasche (von Fr. 587.75; im Jahr 2008 betragen die Kosten pro Durchstechflasche noch Fr. 1'138.70).

**6.4.** Mit diesen eng einschränkenden Limitierungen und den gegenüber dem ursprünglichen Preis massiv gesenkten Kosten pro Durchstechflasche wurde dem Aspekt der Wirtschaftlichkeit im Aufnahmeverfahren offenkundig in besonderem Mass Rechnung getragen. Für eine Wirtschaftlichkeitsprüfung des Listenmedikaments Myozyme® im Einzelfall bleibt vor diesem Hintergrund kein Raum. Ob den Krankenversicherern grundsätzlich die Möglichkeit offen steht, den Einsatz eines gelisteten Medikaments im konkreten Behandlungsfall wegen fehlender Wirtschaftlichkeit rechtmittelweise in Frage zu stellen (vgl. dazu EUGSTER, SBVR, S. 530 Rz. 409 mit Hinweisen) braucht nicht weiter geprüft zu werden.

**6.5.** Die Beschwerdeführerin macht, wenn auch untergeordnet, geltend, es fehle am individuellen Therapieerfolg.

**6.5.1.** Im Rahmen des hier streitigen Leistungsgesuchs vom 20. März 2012 (für die Therapie zwischen 10. April 2013 und 11. März 2014; vgl. Sachverhalt lit. B) stellte sich die Frage nach der Kostenübernahme von Myozyme® als nunmehr gelistetes Medikament erstmals. Unter diesen

Voraussetzungen sind, entgegen der Auffassung der Beschwerdeführerin, nicht die Evaluationskriterien für die Weitertherapie mit Myozyme© nach einem Jahr und somit insbesondere auch nicht ein an den einschlägigen Beurteilungsparametern zu messender Therapieerfolg für eine Kostenvergütung massgebend. Entscheidend ist vielmehr, ob die (Anfangs-) Indikation zur Therapie gegeben ist, was dann zutrifft, wenn die initial zu erfüllenden Einschlusskriterien zu bejahen sind und Ausschlusskriterien fehlen. Anders zu entscheiden hiesse, Patienten mit einer späten Verlaufsform von Morbus Pompe, welche unter dem Regime des "Off-Label-Use" zwar keinen Anspruch auf Vergütung von Myozyme© durch die OKP hatten, die entsprechenden Kosten aber selbst trugen, von vornherein die Möglichkeit zu verwehren, ihren Vergütungsanspruch jemals gestützt auf die weniger restriktiv limitierten Voraussetzungen für die initiale Therapie mit dem nunmehr gelisteten Arzneimittel Myozyme© geltend zu machen.

**6.5.2.** Dass die in der Limitation aufgelisteten Einschlusskriterien erfüllt und keine Ausschlusskriterien vorhanden sind, wird weder von der Beschwerdeführerin rechtsgenügend in Frage gestellt, noch ergeben sich Anhaltspunkte aus den Akten, die eine andere Einschätzung nahelegen würden. Nachdem in der Limitierung ausdrücklich - und für den Beschwerdegegner nicht anfechtbar - festgehalten wurde, bei rechtskonform diagnostizierter später Verlaufsform von Morbus Pompe und erfüllter Limitatio bestehe Anspruch auf eine initiale Vergütung der Therapie durch die OKP während eines Jahres (vgl. auch Valérie Junod/Jean-Blaise Wasserfallen, a.a.O., S. 117 f.), sind sämtliche Rügen, die sich auf den fehlenden Therapieerfolg im konkreten Fall beziehen, in diesem Verfahren von vornherein nicht stichhaltig. Sollte die Kostenübernahme für die strikt reglementierte Weitertherapie nach einem Jahr wegen fehlendem Therapieerfolg ebenfalls streitig werden, wären entsprechende Einwände allenfalls in jenem Verfahren vorzubringen und zu prüfen.

**6.6.** Zusammenfassend ist festzuhalten, dass der Beschwerdegegner die Wirtschaftlichkeit der initialen Therapie von Myozyme© unter keinem Titel rechtsmittelweise in Frage stellen kann und ein Therapieerfolg erst für die Weitertherapie mit Myozyme© nach einem Jahr nachweisbar sein muss. Dies führt zur Abweisung der Beschwerde.

## **7.**

Entsprechend dem Ausgang des Verfahrens hat die Beschwerdeführerin die Gerichtskosten zu tragen (Art. 66 Abs. 1 BGG) und den Beschwerdegegner für das bundesgerichtliche Verfahren zu entschädigen (Art. 68 Abs. 2 BGG).

### **Demnach erkennt das Bundesgericht:**

1. Die Beschwerde wird abgewiesen, soweit darauf eingetreten werden kann.
2. Die Gerichtskosten von Fr. 9'000.- werden der Beschwerdeführerin auferlegt.
3. Die Beschwerdeführerin hat den Beschwerdegegner für das bundesgerichtliche Verfahren mit Fr. 11'000.- zu entschädigen.
4. Dieses Urteil wird den Parteien, dem Versicherungsgericht des Kantons St. Gallen und dem Bundesamt für Gesundheit schriftlich mitgeteilt.