

nicht verallgemeinert werden können, verletzt die Rechtsgleichheit (BGE 136 V 413 Erw. 7.7 mit Hinweisen). Dabei leitete das Bundesgericht aus der Rechtsprechung ab, dass Kosten von um die Fr. 100'000.-- pro gerettetes Menschenlebensjahr als verhältnismässig beurteilt würden (BGE 136 V 412 Erw. 7.6.3; vgl. auch FELIX KESSELRING, a.a.O., S. 574). Somit hat sich das Bundesgericht – entgegen den Ausführungen in der Beschwerde (S. 10 Ziff. 14) – dazu geäussert, wie hoch die Kosten selbst bei einem hohen therapeutischen Nutzen der Behandlung sein dürfen.

Verwaltungsgericht des Kantons Bern
Sozialversicherungsrechtliche Abteilung

Urteil vom 12. Januar 2012

Verwaltungsrichter Scheidegger, Kammerpräsident
Verwaltungsrichter Matti, Verwaltungsrichterin Fuhrer
Gerichtsschreiberin Benguerel-dit-Perroud

Z.____
vertreten durch Rechtsanwalt Dr. iur. Y.____
Beschwerdeführerin

gegen

Krankenkasse X.____
Beschwerdegegnerin

betreffend Einspracheentscheid vom 20. Januar 2010



Sachverhalt:

A.

Die 1984 geborene Z.____ (Versicherte bzw. Beschwerdeführerin) ist bei der X.____ (X.____ resp. Beschwerdegegnerin) obligatorisch krankenpflegeversichert. Am 30. Januar 2008 ersuchte ihre behandelnde Ärztin Dr. med. W.____, Fachärztin für Allgemeine Innere Medizin und Hämatologie FMH, die X.____ um Kostengutsprache für die Therapie der bei der Versicherten diagnostizierten paroxysmalen nächtlichen Hämoglobinurie (PNH) mit dem Wirkstoff Eculizumab (Medikament Soliris). Dabei schätzte sie die anfallenden Kosten auf € 360'000.-- pro Jahr (Akten der X.____ [act. IIA] 1). Nach Rücksprache mit ihrem Vertrauensarzt lehnte die X.____ am 15. Februar 2008 die Kostenübernahme ab, da Soliris weder auf der Spezialitätenliste (SL) aufgeführt noch bei der Swissmedic registriert sei. Zudem bestehe keine lebensbedrohliche Situation und es seien alternative Therapiemöglichkeiten vorhanden (act. IIA 2).

Im weiteren Verlauf ersuchte Dr. med. W.____ am 18. April 2008 erneut um Kostengutsprache für die Behandlung der Versicherten mit dem Medikament Soliris (act. IIA 3). Sie legte dar, dass es sich im Rahmen der diagnostizierten PNH um eine lebensbedrohliche Situation handle und dass neben dem Medikament Soliris keine anderen Therapiemöglichkeiten bekannt seien. Ferner gab sie an, dass der Nutzen von Soliris durch klinische Studien nachgewiesen sei und dass Soliris auf der Liste der sogenannten „Orphan Drugs“ (Arzneimittel für die Behandlung seltener Krankheiten; vgl. act. IIA 6) von Swissmedic aufgeführt sei (act. IIA 3 S. 2 Ziff. 1 bis 4). Daraufhin führte die X.____ insbesondere Abklärungen beim Bundesamt für Gesundheit (BAG) durch (vgl. u.a. act. IIA 10 und 14). Gestützt darauf erklärte sie Dr. med. W.____ im Schreiben vom 24. April 2009 (act. IIA 25), dass eine Kostenübernahme von Soliris zulasten der obligatorischen Krankenpflegeversicherung erfolge, sobald das Präparat auf der SL aufgeführt sei. Diese Beurteilung wurde durch den Vertrauensarzt der X.____ Dr. med. V.____, Facharzt für Herz- und thorakale Gefässchirurgie FMH, im Schreiben vom 30. Juni 2009 (act. IIA 27) bestätigt.

Am 1. Februar 2010 ersuchte Dr. med. W.____ wiederum um Kostengutsprache für die Behandlung mit Eculizumab, da das Medikament Soliris neu als Arzneimittel in der Schweiz zugelassen sei und es für die Versicherte unzumutbar sei, die Kosten für die Therapie selber zu tragen. Ferner führte sie aus, dass unter bestimmten Voraussetzungen auch diejenigen Arzneimittel von der Krankenversicherung zu vergüten seien, die nicht auf der SL aufgeführt seien (act. IIA 28). Daraufhin lehnte die X.____ die Kostenübernahme mit Schreiben vom 9. April 2010 (act. IIA 30) erneut ab, da das Medikament Soliris nach wie vor nicht in die SL aufgenommen worden sei und damit eine Preisfixierung fehle. Dies seien jedoch die Hauptvoraussetzungen für die Kostenübernahme durch die obligatorische Krankenpflegeversicherung. Daneben habe die Entwicklung der letzten Jahre gezeigt, dass die Behandlung mit ATG und Ciclosporin eine alternative und wirksame Behandlungsmöglichkeit darstelle.

Am 3. Juni 2010 ersuchte Dr. med. W.____ ein weiteres Mal um Kostengutsprache für die Behandlung der Versicherten mit dem Medikament Soliris, da die Krankheit PNH nur mit diesem Medikament behandelt werden könne (act. IIA 31). Mit Schreiben vom 17. Juni 2010 (act. IIA 32) lehnte die X.____ diese Kostengutsprache wiederum ab.

In der Folge erliess die X.____ auf Ersuchen der Versicherten hin (vgl. act. IIA 34) am 21. Juli 2010 eine Verfügung, in welcher sie das Kostengutsprachege such für die Behandlung mit Soliris ablehnte (act. IIA 35). Die gegen diese Verfügung erhobene Einsprache der Versicherten (act. IIA 36 und 41) wies die X.____ mit Entscheid vom 20. Januar 2011 (act. IIA 42) ab. Sie erwog hauptsächlich, dass neben dem Medikament Soliris auch andere Behandlungsmöglichkeiten bestünden, welche bei der Versicherten bereits angewendet würden und zu einer gewissen Stabilisierung des Zustandes geführt hätten (S. 7 Ziff. 16). Ferner sei die Wirtschaftlichkeit zu verneinen, da kein angemessenes Verhältnis zwischen den anfallenden Kosten von mindestens Fr. 500'000.-- pro Jahr und dem Nutzen des Medikaments Soliris bestehe (S. 8 Ziff. 20 und S. 10 f. Ziff. 27).

B.

Hiergegen erhob die Versicherte, nunmehr vertreten durch Rechtsanwalt Dr. iur. Y.____, am 17. Februar 2011 beim Verwaltungsgericht Beschwerde und beantragte die kostenfällige Aufhebung des Entscheides und die Kostenübernahme durch die Beschwerdegegnerin für die Behandlung mit dem Medikament Soliris aus der obligatorischen Krankenpflegeversicherung. Eventualiter wurde beantragt, die Sache sei zur Festsetzung des massgebenden Preises des Medikaments Soliris und zur anschliessenden sofortigen Kostenvergütung an die Beschwerdegegnerin zurückzuweisen.

In ihrer Beschwerdeantwort vom 29. April 2011 beantragte die Beschwerdegegnerin die Abweisung der Beschwerde.

In einem zweiten Schriftenwechsel hielten die Parteien an ihren Standpunkten sowie an den gestellten Anträgen fest.

Mit prozessleitender Verfügung vom 8. September 2011 wies der Instruktionsrichter den Beweisantrag der Beschwerdeführerin, es sei der Hersteller des Medikaments Soliris aufzufordern, den Fabrikabgabepreis zu nennen, ab. Gleichentags holte er einen Amtsbericht beim BAG zur Frage ein, ob ein Verfahren zur Aufnahme des Medikaments Soliris in die SL im Gange sei. Eine entsprechende Stellungnahme des BAG ging am 16. September 2011 beim Gericht ein.

In den Schlussbemerkungen vom 3. Oktober 2011 beantragte die Beschwerdeführerin bei der behandelnden Ärztin Dr. med. W.____ einen aktuellen Bericht einzuholen.

Am 7. Oktober 2011 reichte die Beschwerdegegnerin ihre Schlussbemerkungen ein.

Erwägungen:

1.

1.1 Der angefochtene Entscheid ist in Anwendung von Sozialversicherungsrecht ergangen. Die Sozialversicherungsrechtliche Abteilung des Verwaltungsgerichts beurteilt gemäss Art. 57 des Bundesgesetzes über den Allgemeinen Teil des Sozialversicherungsrechts vom 6. Oktober 2000 (ATSG; SR 830.1) i.V.m. Art. 54 Abs. 1 lit. a des kantonalen Gesetzes vom 11. Juni 2009 über die Organisation der Gerichtsbehörden und der Staatsanwaltschaft (GSOG; BSG 161.1) Beschwerden gegen solche Entscheide. Die Beschwerdeführerin ist im vorinstanzlichen Verfahren mit ihren Anträgen nicht durchgedrungen, durch den angefochtenen Entscheid berührt und hat ein schutzwürdiges Interesse an dessen Aufhebung, weshalb sie zur Beschwerde befugt ist (Art. 59 ATSG). Die örtliche Zuständigkeit ist gegeben (Art. 58 ATSG; Art. 87 des Bundesgesetzes über die Krankenversicherung vom 18. März 1994 [KVG; SR 832.10]). Da auch die Bestimmungen über Frist (Art. 60 ATSG) sowie Form (Art. 61 lit. b ATSG; Art. 81 Abs. 1 i.V.m. Art. 32 des kantonalen Gesetzes über die Verwaltungsrechtspflege vom 23. Mai 1989 [VRPG; BSG 155.21]) eingehalten sind, ist auf die Beschwerde einzutreten.

1.2 Anfechtungsgegenstand bildet der Einspracheentscheid vom 20. Januar 2011 (act. IIA 42). Streitig und zu prüfen ist die Kostenübernahme durch die Beschwerdegegnerin für die Behandlung der Beschwerdeführerin mit dem Medikament Soliris aus der obligatorische Krankenpflegeversicherung.

1.3 Die Abteilungen urteilen gewöhnlich in einer Kammer bestehend aus drei Richterinnen oder Richtern (Art. 56 Abs. 1 GSOG).

1.4 Das Gericht überprüft den angefochtenen Entscheid frei und ist an die Begehren der Parteien nicht gebunden (Art. 61 lit. c und d ATSG; Art. 80 lit. c Ziff. 1 und Art. 84 Abs. 3 VRPG).

2.

2.1 Die obligatorische Krankenpflegeversicherung übernimmt nach Art. 24 KVG die Kosten für die Leistungen gemäss den Art. 25 bis 31 KVG nach Massgabe der in Art. 32 bis 34 KVG festgelegten Voraussetzungen. Insbesondere übernommen werden die Kosten für die Leistungen, die der Diagnose oder Behandlung einer Krankheit und ihrer Folgen dienen (Art. 25 Abs. 1 KVG). Gemäss Art. 3 Abs. 1 ATSG ist Krankheit jede Beeinträchtigung der körperlichen, geistigen oder psychischen Gesundheit, die nicht Folge eines Unfalles ist und die eine medizinische Untersuchung oder Behandlung erfordert oder eine Arbeitsunfähigkeit zur Folge hat.

2.2 Die gesetzliche Ordnung (Art. 52 Abs. 1 lit. b KVG; Art. 34 und 64 ff. der Verordnung über die Krankenversicherung vom 27. Juni 1995 [KVV, SR 832.102]; Art. 30 ff. der Verordnung des EDI vom 29. September 1995 über Leistungen in der obligatorischen Krankenpflegeversicherung [Krankenpflege-Leistungsverordnung, KLV; SR 832.112.31]) schliesst die Übernahme der Kosten von nicht auf der – abschliessenden und verbindlichen – Spezialitätenliste aufgeführten Arzneimitteln durch die obligatorische Krankenpflegeversicherung grundsätzlich aus (BGE 136 V 398 Erw. 5.1; 134 V 85 ff. Erw. 4.1; 131 V 351 Erw. 2.2 mit Hinweis).

Nach der Rechtsprechung sind ausnahmsweise die Kosten für ein Arzneimittel auch zu übernehmen, wenn es für eine Indikation abgegeben wird, für welche es keine Zulassung besitzt (sog. Off-Label-Use); Voraussetzung ist, dass ein sogenannter Behandlungskomplex vorliegt oder dass für eine Krankheit, die für die versicherte Person tödlich verlaufen oder schwere und chronische gesundheitliche Probleme nach sich ziehen kann, wegen fehlender therapeutischer Alternativen keine andere wirksame Behandlungsmethode verfügbar ist; diesfalls muss das Arzneimittel einen hohen therapeutischen (kurativen oder palliativen) Nutzen haben. Ein wichtiger Anwendungsbereich für Ausnahmen von der Listenpflicht sind Medikamente gegen Krankheiten, die so selten sind, dass sich für die Hersteller das Zulassungsverfahren nicht lohnt (sog. Orphan Use bzw. Orphan Diseases). Für die Zulassung eines Off-Label-Use kann aber nicht jeglicher therapeutische Nutzen genügen, könnte doch sonst in jedem Einzelfall die Beurteilung des Nutzens an die Stelle des gesetzlichen Listensystems treten und

dieses unterwandern. Da das gesetzliche System auch der Wirtschaftlichkeit dient, muss insbesondere vermieden werden, dass durch eine extensive Praxis der ordentliche Weg der Listenaufnahme durch Einzelfallbeurteilungen ersetzt und dadurch die mit der Spezialitätenliste verbundene Wirtschaftlichkeitskontrolle umgangen wird (BGE 136 V 399 f. Erw. 5.2 mit zahlreichen Hinweisen).

2.3 Art. 32 Abs. 1 KVG setzt für eine Übernahme der Kosten bei sämtlichen der im Rahmen der obligatorischen Krankenpflegeversicherung zu erbringenden Leistungen (Art. 25 bis 31 KVG) voraus, dass diese wirksam, zweckmässig und wirtschaftlich sind (Satz 1). Die Wirksamkeit muss nach wissenschaftlichen Methoden nachgewiesen werden (Satz 2). Diese allgemeinen Voraussetzungen nach Art. 32 KVG gelten auch für sogenannte „Orphan Drugs“ (BGE 136 V 401 f. Erw. 6.5).

2.4 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. 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, was eine Beurteilung des Verhältnisses von Kosten und Nutzen voraussetzt. 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 (BGE 136 V 407 f. Erw. 7.4 mit zahlreichen Hinweisen).

3.

3.1 Vorab ist zu Recht unbestritten, dass das Medikament Soliris nicht auf der SL eingetragen ist. Dagegen ist es am 4. Januar 2010 vom Schweizerischen Heilmittelinstitut zur Behandlung der PNH zugelassen worden (Angaben zur Zulassung unter: www.swissmedic.ch). Diese arzneimittelrechtliche Zulassung ist jedoch für die Kassenpflichtigkeit des Medikaments nicht ausschlaggebend (BGE 136 V 398 Erw. 4.2 mit Hinweis). Somit hat die Beschwerdegegnerin die Kosten für die Behandlung der Beschwerdeführerin mit dem Medikament Soliris nur dann ausnahmsweise zu übernehmen, wenn es sich bei der PNH um eine Krankheit handelt, die tödlich verläuft oder schwere und chronische gesundheitliche Probleme nach sich ziehen kann und wegen fehlender therapeutischer Alternativen keine andere wirksame Behandlungsmethode verfügbar ist. Schliesslich muss das Medikament Soliris einen hohen therapeutischen (kurativen oder palliativen) Nutzen haben (vgl. Erw. 2.2 hiervor). Diese Rechtsprechung zum sogenannten „Off-Label-Use“ ist – entgegen den Ausführungen der Beschwerdegegnerin (Beschwerdeantwort S. 3 Ziff. II 5 und Einspracheentscheid [act. IIA 42] S. 6 f. Ziff. 13 ff.) – auch auf diejenigen Fälle anzuwenden, in welchen – wie hier – die Anwendung des Medikaments zwar innerhalb der arzneimittelrechtlichen Indikation erfolgt, das Medikament jedoch nicht in der SL verzeichnet ist (vgl. BGE 136 V 399 ff. Erw. 5.2, 5.3 und 6; vgl. diesbezüglich auch FELIX KESSELRING, Kosten-/Nutzen-Beziehung im Bereich der menschlichen Gesundheit, in: AJP 4/2011 S. 575).

3.2 Aufgrund der vorliegenden Akten ist (unbestrittenermassen) erstellt, dass die Beschwerdeführerin an einer Krankheit leidet, die schwere und chronische Probleme nach sich ziehen und sogar tödlich verlaufen kann. Denn gemäss den Angaben der behandelnden Ärztin Dr. med. W.____ leidet die heute 27-jährige Beschwerdeführerin seit Juli 2006 an einer aplastischen Anämie und im März 2007 wurde zum ersten Mal eine PNH festgestellt (act. IIA 1 S. 1). Letztere stellt eine seltene, lebensbedrohliche Erbkrankheit dar, bei der die roten Blutkörperchen zu schnell abgebaut werden (Stellungnahme des BAG vom 11. Dezember 2008, act. IIA 14 S. 2 unten). Da die Zahl der Neuerkrankungen zwischen 1 : 100'000 und 1 : 500'000 pro Jahr liegt (vgl. PSCHYREMBEL, Klinisches

Wörterbuch, 262. Aufl., S. 812; vgl. diesbezüglich auch die Ausführungen zur PNH unter www.wikipedia.org), gehört diese zu den „Orphan Diseases“ (seltene Krankheiten). Bezüglich der bei der Beschwerdeführerin festgestellten PNH gab Dr. med. W.____ an, dass diese seit März 2007 zugenommen habe. Dabei sei einerseits der PNH-Klon grösser geworden und andererseits sei die Beschwerdeführerin aufgrund der zunehmenden Hämolysen, der Müdigkeit, der Astenie sowie der seit Herbst 2007 rezidivierenden und zum Teil invalidisierenden Bauchschmerzen zunehmend eingeschränkt (act. IIA 1 S. 1). Ferner hat Dr. med. W.____ nachvollziehbar dargelegt, dass es sich im Rahmen der diagnostizierten PNH um eine lebensbedrohliche Situation handelt (act. IIA 3 S. 1 f. Ziff. 1). Die Beschwerdeführerin habe schon viszerale Thrombosen erlitten, leide an einer Eisenüberladung und nehme eine chronische Anämie in Kauf, um Letztere nicht noch zu verstärken. Die Nierenfunktion sei mässig eingeschränkt. Aufgrund der Anämie und der chronischen Müdigkeit bestehe insbesondere eine eingeschränkte Arbeitsfähigkeit (maximal 40%; vgl. act. IIA 3 S. 2 Ziff. 1). Der Schaden durch diese chronische Erkrankung, die Verschlechterung der Nierenfunktion sowie das weiterbestehende hohe Thrombolierisiko würden im Laufe der Zeit zu weiteren irreversiblen Organschäden führen (insbesondere Herz und Leber; act. IIA 40 S. 1 f. Ziff. 2).

Zwar liegen in medizinischer Hinsicht einzig die Angaben der behandelnden Ärztin vor. Zu Gunsten der Beschwerdeführerin ist vorliegend auf diese abzustellen, zumal die Beschwerde – wie nachfolgend dargelegt wird – so oder anders aufgrund fehlender Wirtschaftlichkeit abzuweisen ist. Damit erübrigt sich die von der Beschwerdeführerin beantragte Einholung einer aktuellen Stellungnahme von Dr. med. W.____, da hiervon keine zusätzlichen Erkenntnisse zu erwarten sind (Schlussbemerkungen S. 2; antizipierte Beweiswürdigung; vgl. BGE 122 V 162 Erw. 1d; SVR 2010 ALV Nr. 2 S. 4 Erw. 2.2 mit Hinweisen, 2005 IV Nr. 8 S. 37 Erw. 6.2, 2003 AHV Nr. 4 S. 11 Erw. 4.2.1).

Somit ist der gemäss höchstrichterlicher Rechtsprechung erforderliche Schweregrad der Krankheit vorliegend (unbestrittenermassen) erfüllt (vgl. Erw. 2.2 hiervor).

3.3 Bezüglich der therapeutischen Alternativen (vgl. Erw. 2.2 hiavor) ist vorab festzuhalten, dass es neben Soliris kein alternatives Medikament für die Behandlung einer PNH gibt. Dies wird von den Parteien und insbesondere von der Beschwerdegegnerin auch nicht bestritten (act. IIA 42 S. 7 Ziff. 16). Ferner stellen die anderen zur Verfügung stehenden, therapeutischen Massnahmen (Cyclosporin-Therapie, Eisenchelierung, orale Antikoagulation, Folsäure Substitution und regelmässige Transfusionen), welche bei der Beschwerdeführerin bereits angewandt werden, gemäss den schlüssigen Ausführungen der behandelnden Ärztin eine blossе Symptombekämpfung dar und führen zu keiner wesentlichen Verbesserung des Gesundheitszustandes (act. IIA 40 S. 2 Ziff. 3). Denn gemäss Dr. med. W.____ dienen diese lediglich dazu, die Komplikationen der Erkrankung einzudämmen, ohne kausal an der PNH etwas zu bewirken (act. IIA 19 S. 1 unten; vgl. auch 31 S. 1 Ziff. 1 und 2). Zwar konnte dadurch in den letzten Jahren eine gewisse Stabilisierung des Gesundheitszustandes der Beschwerdeführerin erreicht werden. Jedoch haben diese Behandlungen – gemäss der behandelnden Ärztin – erhebliche Nebenwirkungen, wie insbesondere eine chronische Niereninsuffizienz (act. IIA 39 S. 2 oben). Ferner bestehe das Risiko von irreversiblen Organschäden (insbesondere Herz und Leber; act. IIA 40 S. 2 Ziff. 2). Dagegen vermöge Soliris einerseits die Hämolyse deutlich zu reduzieren, womit bessere Hämoglobinwerte erreicht werden könnten. Andererseits werde eine eindruckliche Besserung des Allgemeinzustandes, der chronischen Müdigkeit, der abdominalen Beschwerden sowie der Thromboseneigung festgestellt (act. IIA 1 S. 2).

Folglich steht vorliegend anstelle von Soliris keine wirksame, alternative Behandlungsmöglichkeit für eine PNH zur Verfügung.

3.4 Weiter muss das streitige Medikament Soliris einen hohen therapeutischen (kurativen oder palliativen) Nutzen aufweisen (vgl. Erw. 2.2 hiavor). Dabei ist eine Gesamtbeurteilung vorzunehmen, wobei neben den konkreten Umständen auch die allgemein beschriebenen Wirkungen des Arzneimittels zu berücksichtigen sind (BGE 136 V 402 Erw. 6.5). Somit hat der hohe therapeutische Nutzen nicht nur im konkreten Einzelfall vorzuliegen, sondern er hat sich auch in allgemeiner Weise zu manifestieren (FELIX KESSELRING, a.a.O., S. 575).

Die Sicherheit und Wirksamkeit von Soliris wurde in zwei Zulassungsstudien untersucht. In der „Triumph“-Studie zeigten die mit Soliris behandelten Patienten eine signifikante Verminderung der Hämolyse, was eine Verbesserung der Anämie bewirkte und sich durch eine erhöhte Hämoglobin-Stabilisierung und einen verminderten Bedarf an Erythrozyten-Transfusionen im Vergleich zu den mit Placebo behandelten Patienten äusserte. Nach drei Wochen Soliris-Therapie zeigten die Patienten eine Verminderung der Fatigue und eine verbesserte Quality of Life (gesundheitsbezogene Lebensqualität). In der „Shepherd“-Studie hielt die Reduktion intravaskulärer Hämolyse während des Behandlungszeitraums an und führte zu einer erhöhten Transfusionsvermeidung, einem verringerten Bedarf an Erythrozyten-Transfusion und zu geringerer Fatigue (vgl. zum Ganzen insbesondere die Fachinformationen des Arzneimittel-Kompodiums der Schweiz zur klinischen Wirksamkeit von Soliris unter: www.kompodium.ch). Aufgrund dieser beiden Studien ist der Nachweis für die Wirksamkeit von Soliris grundsätzlich erbracht. Daran ändert der Einwand der Beschwerdeführerin resp. deren Vertrauensarztes nichts, dass (noch) kein wissenschaftlicher Beweis für eine Reduktion der Sterblichkeit bei PNH-Patienten bestehe (Duplik S. 3 ad. Ziff. 7). Denn ein therapeutischer Nutzen ist nicht erst dann zu bejahen, wenn die Sterblichkeit eines Patienten reduziert wird.

Dagegen kann die Wirksamkeit von Soliris bezogen auf den hier zu beurteilenden Fall nicht ohne weiteres beurteilt werden. Denn vorliegend wurde das streitige Medikament Soliris bei der Beschwerdeführerin noch nicht eingesetzt, so dass über eine mögliche Verbesserung der gesundheitlichen Situation nach dem Einsatz von Soliris nur Annahmen getroffen werden können. So spricht denn auch die behandelnde Ärztin lediglich von einer wahrscheinlichen entscheidenden Verbesserung der Lebensqualität der Beschwerdeführerin durch Soliris (act. IIA 39 S. 3). Ob die Beschwerdeführerin – wie sie selbst geltend macht (Beschwerde S. 10 Ziff. 12) – durch die Einnahme von Soliris ihre Arbeitsfähigkeit auf bis zu 100% steigern könnte und keine weiteren gesundheitlichen Risiken mehr zu tragen hätte, ist aufgrund der vorliegenden Akten somit nicht erstellt. Ferner ist auch nicht erstellt, ob und wenn ja in welchem Ausmass sie ihre zweifellos eingeschränkte Lebensqualität steigern könnte. Dabei ist zu berücksichtigen,

dass bereits mit den bei der Beschwerdeführerin heute angewendeten therapeutischen Massnahmen ein einigermaßen stabiler Zustand erreicht werden konnte. So ist sie insbesondere seit Jahren zu 40% arbeitsfähig (act. IIA 3 S. 2 Ziff. 1, 29 sowie Beschwerde S. 9 Ziff. 12). Ferner ist sie – soweit ersichtlich – auch noch in der Lage, selbstständig zu wohnen (act. IIA 3 S. 2 Ziff. 1). Und schliesslich ist nicht erstellt, dass sich die möglichen Risiken der aktuell durchgeführten Therapien bis zum hier massgeblichen Zeitpunkt des angefochtenen Einspracheentscheides bereits realisiert haben.

Nach dem Dargelegten lässt sich aufgrund der vorliegenden Akten nicht schlüssig beantworten, ob der therapeutische Nutzen im vorliegenden Fall als hoch im Sinne der Rechtsprechung (vgl. Erw. 2.2 hiervor) gelten kann. Die Einholung eines unabhängigen Gutachtens könnte diesbezüglich zusätzliche Erkenntnisse bringen. Davon kann indessen abgesehen werden, da die Beschwerde – wie nachfolgend dargelegt wird – auch dann abzuweisen ist, wenn ein hoher therapeutischer Nutzen erstellt wäre. Deshalb kann diese Frage offen gelassen werden.

3.5 Letztlich muss – entgegen den Ausführungen der Beschwerdeführerin (Beschwerde S. 10 f. Ziff. 14) – selbst beim Vorliegen eines hohen therapeutischen Nutzens die Wirtschaftlichkeit der Behandlung mit Soliris geprüft werden (vgl. Erw. 2.2 und 2.4 hiervor).

Eine Beurteilung der Verhältnismässigkeit bzw. Kosten-Wirksamkeit anhand verallgemeinerungsfähiger Kriterien drängt sich gemäss höchstgerichtlicher Rechtsprechung insbesondere aus Gründen der Rechtsgleichheit auf (Art. 8 Abs. 1 BV): Wie für die Beschaffung staatlicher Mittel stellt sich auch für die Erbringung staatlicher Leistungen die Frage nach der Verteilungsgerechtigkeit. Wo staatlich administrierte Güter nicht unbegrenzt zur Verfügung stehen, ist eine möglichst rechtsgleiche Verteilung anzustreben; es soll vermieden werden, dass die einen alles oder sehr viel und die anderen nichts oder fast nichts erhalten. Umgekehrt formuliert folgt daraus, dass in rechtsgleicher Anwendung des Verhältnismässigkeitsprinzips für einzelne Versicherte nur so hohe Leistungen erbracht werden dürfen, wie sie in verallgemeinerungsfähiger Weise für alle anderen Personen in vergleichbarer Situation auch erbracht werden könnten. Leistungen zu erbringen, die

nicht verallgemeinert werden können, verletzt die Rechtsgleichheit (BGE 136 V 413 Erw. 7.7 mit Hinweisen). Dabei leitete das Bundesgericht aus der Rechtsprechung ab, dass Kosten von um die Fr. 100'000.-- pro gerettetes Menschenlebensjahr als verhältnismässig beurteilt würden (BGE 136 V 412 Erw. 7.6.3; vgl. auch FELIX KESSELRING, a.a.O., S. 574). Somit hat sich das Bundesgericht – entgegen den Ausführungen in der Beschwerde (S. 10 Ziff. 14) – dazu geäußert, wie hoch die Kosten selbst bei einem hohen therapeutischen Nutzen der Behandlung sein dürfen.

Aufgrund der Akten ist erstellt, dass die Behandlung mit Soliris mindestens Fr. 500'000.-- pro Jahr kostet (vgl. act. IIA 42 S. 8 Ziff. 20; vgl. auch prozessleitende Verfügung vom 8. September 2011 S. 2 Ziff. 4). Gegenteiliges wird von der Beschwerdeführerin denn auch nicht geltend gemacht. Da die Behandlung mit Soliris eine Dauerbehandlung darstellt (vgl. act. IIA 39 S. 2 unten) und insbesondere gestützt auf die beiden Zulassungsstudien davon auszugehen ist, dass selbst bei Anwendung von Soliris die PNH der Beschwerdeführerin nicht (vollständig) geheilt werden kann, fällt dieser finanzielle Aufwand auf unabsehbare Zeit an. Somit überschreiten die Kosten für die Behandlung der Beschwerdeführerin mit dem Medikament Soliris von mindestens Fr. 500'000.-- pro Jahr die vom Bundesgericht ermittelte Grenze von Fr. 100'000.-- um ein Vielfaches. Eine entsprechende Leistungspflicht der Beschwerdegegnerin ist deshalb aus Wirtschaftlichkeitsgründen, d.h. mangels eines angemessenen Verhältnisses zwischen den Kosten und dem Nutzen, zu verneinen (vgl. BGE 136 V 413 f. Erw. 7.8).

4.

Nach dem Dargelegten erweist sich der angefochtene Einspracheentscheid vom 20. Januar 2011 als rechters. Die dagegen erhobene Beschwerde ist unbegründet und deshalb abzuweisen.

5.

5.1 Verfahrenskosten sind keine zu erheben (Art. 1 Abs. 1 KVG i.V.m. Art. 61 lit. a ATSG).

5.2 Bei diesem Ausgang des Verfahrens besteht kein Anspruch auf eine Parteientschädigung (Art. 1 Abs. 1 KVG i.V.m. Art. 61 lit. g ATSG [Umkehrschluss]).

Demnach entscheidet das Verwaltungsgericht:

1. Die Beschwerde wird abgewiesen.
2. Es werden weder Verfahrenskosten erhoben noch eine Parteientschädigung zugesprochen.
3. Zu eröffnen (R):
 - Rechtsanwalt Dr. iur. Y.____ z.H. der Beschwerdeführerin
 - X.____
 - Bundesamt für Gesundheit

Der Kammerpräsident:

Die Gerichtsschreiberin:

Rechtsmittelbelehrung

Gegen dieses Urteil kann innert 30 Tagen seit Zustellung der schriftlichen Begründung beim Bundesgericht, Schweizerhofquai 6, 6004 Luzern, Beschwerde in öffentlichrechtlichen Angelegenheiten gemäss Art. 39 ff., 82 ff. und 90 ff. des Bundesgesetzes vom 17. Juni 2005 über das Bundesgericht (BGG; SR 173.110) geführt werden.