



Die gesellschaftlichen Kosten von Duchenne-Muskeldystrophie in der Schweiz

Schlussbericht

Analyse im Auftrag von Pfizer AG



Die gesellschaftlichen Kosten von Duchenne-Muskeldystrophie in der Schweiz

Analyse im Auftrag von Pfizer AG

Marc Bill
Till Sager
Dr. Harry Telser

06. Mai 2022

Inhaltsverzeichnis

Abkürzungsverzeichnis	4
1 In Kürze	5
2 Einleitung.....	7
3 Methode.....	9
3.1 Prävalenz	9
3.2 Direkte Kosten.....	10
3.3 Indirekte Kosten	13
3.4 Intangible Kosten.....	14
4 Resultate.....	16
4.1 Prävalenz	16
4.2 Direkte und indirekte Kosten.....	17
4.3 Intangible Kosten.....	19
4.4 Sensitivität und Plausibilisierung	20
5 Fazit	23
6 Anhang	25
7 Literatur.....	31

Abkürzungsverzeichnis

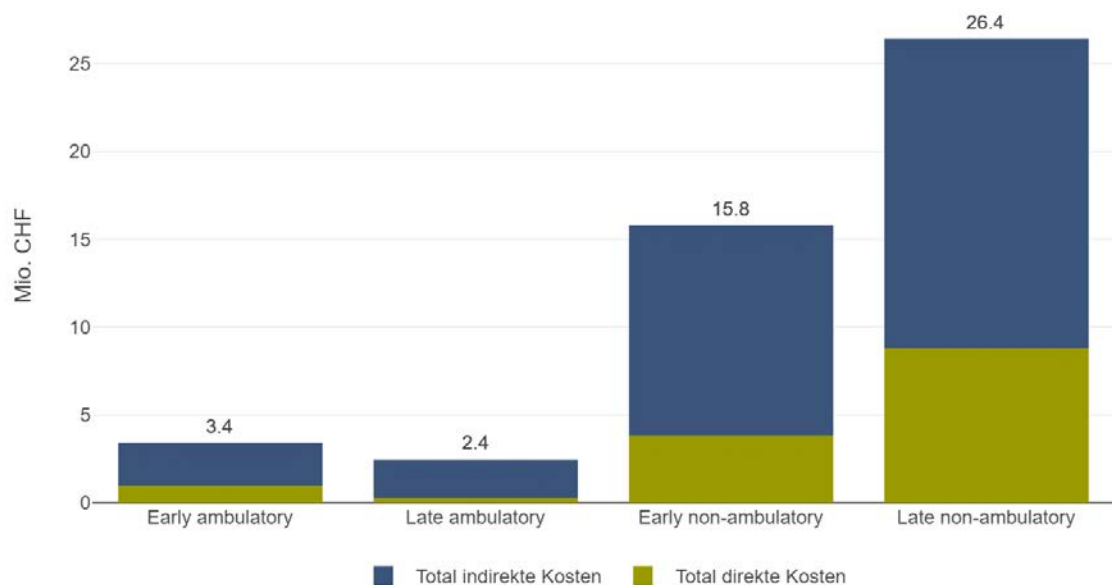
DALY	Disability-adjusted life year (gesunde Lebensjahre)
DMD	Duchenne-Muskeldystrophie
DW	Disability weight (Invaliditätsgewicht)
FKA	Friktionskostenansatz
HKA	Humankapitalansatz
LIK	Landesindex der Konsumentenpreise
LSE	Lohnstrukturerhebung
PPP	Kaufkraftparität
TPW	Taxpunktwert
YLD	Years lived with disability (in Krankheit verbrachte Lebensjahre)
YLL	Years of life lost (verlorene Lebensjahre)

1 In Kürze

In der vorliegenden Analyse wurden erstmals die gesellschaftlichen Kosten von Duchenne Muskeldystrophie (DMD) in der Schweiz berechnet. Dabei ermittelten wir die direkten, indirekten und intangiblen Kosten unterschieden nach den vier Krankheitsstadien «early ambulatory», «late ambulatory», «early non-ambulatory» und «late non-ambulatory». Während Preisangaben grossmehrerheitlich verfügbar waren, mussten sowohl Mengenangaben z. B. betreffend die konsumierten Gesundheitsleistungen als auch spezifische Kostenangaben aufgrund ihrer sehr eingeschränkten Verfügbarkeit aus internationalen Kostenstudien übernommen oder durch Expertenbefragung ermittelt werden.

Die gesellschaftlichen Kosten widerspiegeln die derzeitigen Therapiemöglichkeiten in der Schweiz. Der degenerative Verlauf der Krankheit kann momentan nicht wirksam behandelt werden. Insbesondere Rehabilitationsmassnahmen werden eingesetzt, um die Mobilität der Erkrankten möglichst lange zu erhalten. Die fehlenden Therapiemöglichkeiten führen dazu, dass im Verlauf der Krankheit Hilfsmittel zu einem festen Bestandteil des Alltags und Anpassungen an der Wohnung oder an Fahrzeugen unumgänglich werden. Zudem steigt der Pflegebedarf stark an, was sich in entsprechenden Kosten für informelle Pflege niederschlägt. Sowohl die direkten als auch die indirekten Kosten steigen beim Verlust der Gehfähigkeit markant an.

Abbildung 1 Gesellschaftliche Kosten von DMD in der Schweiz nach Krankheitsstadium und Kostenart (in Mio. CHF), 2020



Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

Die Haupteigenschaften unserer Berechnung sind:

- Im Jahr 2020 lebten in der Schweiz 305 Personen mit DMD. Knapp jeder zweite Patient hatte bereits die Gehfähigkeit verloren, sprich er befand sich in einem der zwei Non-ambulatory-Stadien.
- Die gesellschaftlichen Kosten der DMD (direkte und indirekte Kosten) beliefen sich im Jahr 2020 in der Schweiz auf insgesamt 48 Mio. CHF respektive 157'400 CHF pro Patienten. Davon waren 34.2 Mio. CHF respektive 66% indirekte Kosten, d. h. Produktivitätsverluste am Arbeitsmarkt.
- Beinahe die Hälfte der Kosten entstand durch informelle Pflege, d. h. die von Angehörigen und Bekannten unentgeltlich geleistete Pflege. Im Jahr 2020 betrugen diese Kosten 23 Mio. CHF respektive 75'400 CHF pro Patienten.
- Bei den direkten Kosten fallen insbesondere die Kosten für stationäre Aufenthalte in Spitälern und Pflegeinstitutionen, für Hilfsmittel und für Anpassungen an langlebigen Gebrauchsgütern, wie z. B. bauliche Massnahmen an der Wohnung, ins Gewicht.
- Die indirekten Kosten waren in allen Krankheitsstadien deutlich höher als die direkten Kosten (vgl. Abbildung 1). Die direkten Kosten werden grossmehrheitlich von Sozialversicherungen getragen, die indirekten Kosten fast ausschliesslich von Patienten und Angehörigen.
- Die Kosten der zwei Ambulatory-Stadien sind im Vergleich zu den Kosten der beiden Non-ambulatory-Stadien verschwindend klein. So fielen im Jahr 2020 90% der gesellschaftlichen Kosten in den zwei Non-ambulatory-Stadien an (vgl. Abbildung 1).
- Der starke Kostenanstieg im degenerativen Krankheitsverlauf ist auch in den Kosten pro Patienten zu sehen. Im ersten Krankheitsstadium «early ambulatory» betrugen diese 38'200 CHF pro Patienten, im letzten Krankheitsstadium «late non-ambulatory» 295'600 CHF pro Patienten.
- Die Krankheitslast von DMD entsprach im Jahr 2020 dem Verlust von 360 gesunden Lebensjahren (DALY), die entweder durch eine verringerte Lebensqualität der Patienten und Angehörigen oder den vorzeitigen Tod der Patienten entstanden.

2 Einleitung

Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine X-chromosomal vererbte Krankheit. Sie betrifft entsprechend ausschliesslich Knaben und ist die häufigste Form von genetisch bedingten degenerativen Muskelerkrankungen. Der Krankheitsbeginn tritt häufig bereits im frühen Kindesalter ein. Der schubweise Abbau der Muskulatur führt früher oder später zur vollständigen Lähmung der Extremitäten und somit zum Verlust der Gehfähigkeit. Aufgrund der Beeinträchtigung der glatten Muskulatur sind in späteren Phasen der Erkrankung die Atmung sowie das Herz betroffen. Derzeit besteht keine zugelassene Therapie in der Schweiz, die den degenerativen Verlauf der Krankheit aufhalten kann. Die Medianlebenserwartung von DMD-Erkrankten beträgt in der Schweiz 35 Jahre (vgl. Kohler et al., 2009).

Das Fortschreiten von DMD wird üblicherweise in vier **Krankheitsstadien** eingeteilt. Grundsätzlich wird unterschieden zwischen dem Stadium, in welchem der Patient noch selbständig gehen kann (ambulatory) und dem Stadium, in welchem er die Gehfähigkeit verloren hat (non-ambulatory). Diese beiden Stadien werden weiter in eine frühe (early) und späte (late) Phase unterteilt.

Das **Ziel** der vorliegenden Analyse ist, die **gesellschaftlichen Kosten** von DMD in der Schweiz unterschieden nach diesen Stadien zu ermitteln. Die gesellschaftlichen Kosten unterteilen sich in direkte, indirekte und intangible Kosten.

Die **direkten Kosten** sind die Summe aus medizinischen und nicht-medizinischen Kosten, die bei der Behandlung der Krankheit anfallen. Ihnen stehen Leistungen gegenüber, die zu ihrem Marktpreis bewertet sind. Sie werden also in Geldeinheiten gemessen und mit Geld bezahlt. Die medizinischen Kosten entsprechen den Gesundheitsausgaben. Sie werden von Kranken- und Sozialversicherungen, von den Patienten selbst und von der öffentlichen Hand (Bund, Kantone, Gemeinden) getragen. Die nicht-medizinischen direkten Kosten fallen ausserhalb des Gesundheitswesens an. Es handelt sich ebenfalls um zu bezahlende Leistungen, die direkt in Zusammenhang mit der Behandlung einer Krankheit stehen.

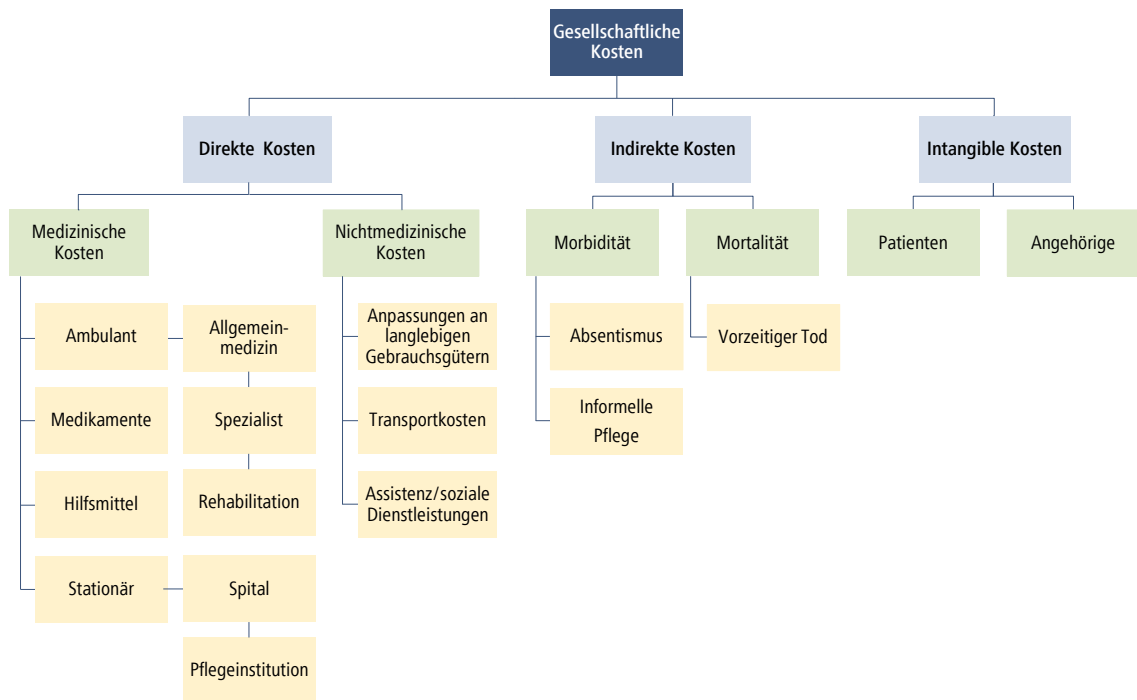
Indirekte Kosten fallen nicht in Geldeinheiten an, sondern als Ressourcen, die der Volkswirtschaft krankheitsbedingt – meist in Form von Zeit – verloren gehen. Indirekte Kosten durch Krankheiten können entweder beim Patienten selbst anfallen, aber auch bei Angehörigen oder sonst im Umfeld des Patienten auftreten. Es handelt sich vor allem um Produktivitätsverluste durch Präsentismus, Absentismus, informelle Pflege oder vorzeitigen Tod. Getragen werden diese Kosten üblicherweise gemeinsam von betroffenen Personen und Arbeitgebern. Auch wenn indirekte Kosten nicht in Geldeinheiten anfallen, lassen sie sich dennoch in Franken bewerten. Dazu wird die als Krankheitsfolge verlorene Zeit oder verminderte Produktivität zu Marktpreisen (z. B. einem Lohnsatz) bewertet.

Intangible Kosten sind krankheitsbedingte Nutzeneinbussen, die aber selbst keinen Ressourcenverbrauch aufweisen, d. h. sie sind nicht (direkt) mit Marktpreisen zu bewerten. Dazu zählen vor allem Schmerz und Leid, aber auch Stress oder die Einschränkung von individueller Freiheit etwa durch körperliche Beeinträchtigung. Intangible Kosten werden entweder nur vom Patienten selbst oder aber auch von Angehörigen respektive dem sozialen Umfeld des Patienten getragen.

Um die spezifischen Kostenkomponenten der drei Kostenarten bei DMD zu bestimmen, haben wir in einem ersten Schritt internationale Krankheitskostenstudien systematisch nach den berücksichtigten Kostenkomponenten durchsucht und diese danach konsolidiert (vgl. Cavazza et al.,

2016; Landfeldt et al., 2014; Schreiber-Katz et al., 2014; Teoh et al., 2016). Abbildung 2 zeigt die Kostenkomponenten, die wir bei der Berechnung berücksichtigen.

Abbildung 2 Kostenkomponenten der DMD



Quelle: Eigene Darstellung Polynomics.

In Bezug auf **DMD** können die **medizinischen Kosten** in die Kostenkomponenten ambulant, stationär, Medikamente und medizinische Hilfsmittel unterteilt werden. Weil der Muskelschwund viele Körperteile der Patienten gleichzeitig beeinflusst, müssen bei der medizinischen Behandlung neben den Allgemeinmedizinern auch neuromuskuläre Spezialisten, Physiotherapeuten oder auch Ergotherapeuten hinzugezogen werden. Stationäre Aufenthalte fallen sowohl in Spitälern als auch in Pflegeinstitutionen an, wo die Patienten teilweise wohnhaft sind.

Bei DMD entstehen neben den medizinischen Kosten auch **Kosten ausserhalb des Gesundheitswesens**. Ausgelöst durch die eingeschränkte Gehfähigkeit benötigt es für DMD-Patienten zwingend Anpassungen an langlebigen Gebrauchsgütern wie Wohnungen oder Fahrzeugen. Zusätzlich steigen die Transportkosten, und die Patienten sind im Alltag auf Hilfe oder soziale Dienstleistungen angewiesen.

DMD-Erkrankte leiden bereits im frühen Kindesalter an der Krankheit und benötigen im Verlauf intensive Pflege, die oftmals durch Angehörige wahrgenommen wird. Entsprechend entstehen **indirekte Kosten** durch informelle Pflege. In den meisten Fällen sind die Patienten nicht erwerbstätig und weisen entsprechende Produktivitätsverluste durch Absentismus auf. Weiter führt der vorzeitige Tod zu indirekten Kosten.

Die körperliche Beeinträchtigung führt sowohl bei Patienten als auch bei Angehörigen zu Schmerz und Leid und entsprechenden **intangiblen Kosten**.

Wir berechnen die gesellschaftlichen Kosten prävalenzbasiert für das Jahr 2020, d. h. wir ermitteln die Gesamtkosten, die der Gesellschaft 2020 aufgrund DMD entstanden. Wo immer möglich verwenden wir Schweizer Daten. Die verwendeten Datenquellen und Methoden beschreiben wir

in Kapitel 3. Die Resultate unserer Analyse legen wir in Kapitel 4 dar und schliessen mit einem Fazit in Kapitel 5.

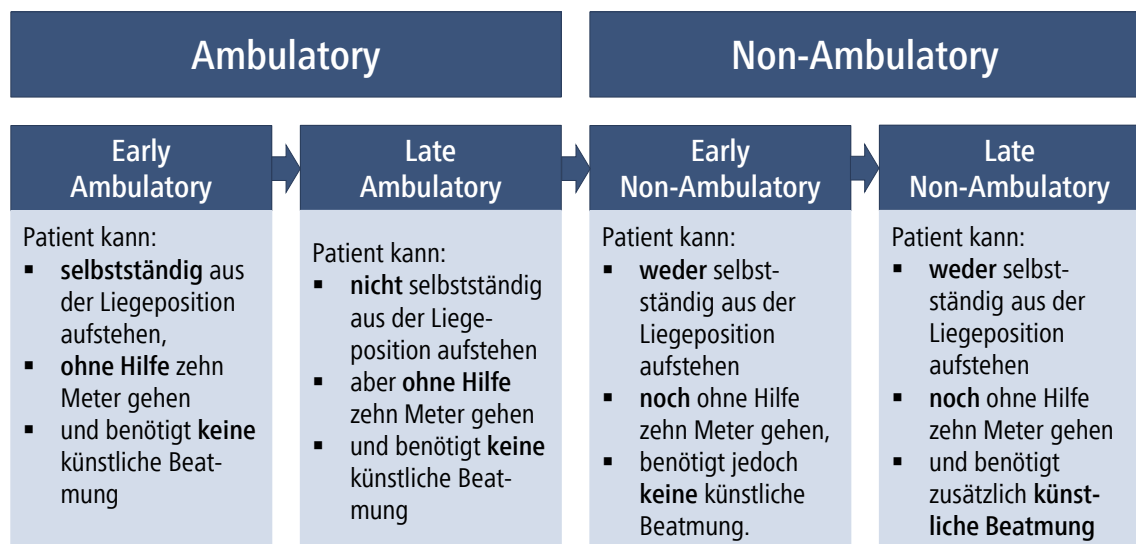
3 Methode

Zur Berechnung der gesellschaftlichen Kosten von DMD in der Schweiz stützen wir uns wo immer möglich auf schweizerische Datenquellen ab. Da bisher keine Schweizer Studie zu den gesellschaftlichen Kosten von DMD durchgeführt wurde, berechnen wir die Kosten weitgehend bottom-up, d. h. die Kostenkomponenten der untersten Ebene (gelbe Kästen in Abbildung 2). Die Kosten berechnen wir anhand Schweizer Preisinformationen und Mengenangaben. Wo keine Mengenangaben vorhanden sind, stützen wir uns auf Angaben der internationalen Literatur oder Expertenmeinungen. Falls auch keine Mengenangaben in der internationalen Literatur zu finden oder keine Experteneinschätzung möglich sind, übertragen wir direkt die ausländischen Kosten der Literatur auf die Schweiz. Je nach Kostenkomponente nehmen wir dabei eine Preis- und/oder Mengenanpassung vor (vgl. die detaillierten Informationen im Anhang).

3.1 Prävalenz

Um die gesellschaftlichen Kosten für die Schweiz zu berechnen, benötigen wir die Anzahl DMD-Erkrankte pro Krankheitsstadium. Die Prävalenz der DMD berechnen wir anhand der gepoolten Prävalenz von 7.1 Patienten pro 100'000 Männern aus der Metaanalyse von Crisafulli et al. (2020), der männlichen Wohnbevölkerung der Schweiz aus 2020 und der Verteilung der Patienten nach Krankheitsstadium aus dem Schweizer Register für neuromuskuläre Erkrankungen (Swiss-Reg-NMD)¹. Die Patienten des Registers haben wir dabei nach folgenden Kriterien den Krankheitsstadien zugeordnet (in Anlehnung an Bushby et al., 2010; Schreiber-Katz et al., 2014):

Abbildung 3 Definition Krankheitsstadien



Quelle: Eigene Darstellung, Polynomics.

¹ Die Teilnahme am Swiss-Reg-NMD ist für Patienten freiwillig und enthält entsprechend keine Vollerhebung der Population weshalb die Daten nicht direkt zur Berechnung der Prävalenz nach Krankheitsstadium verwendet werden können. Die uns zur Verfügung gestellten Daten geben den Stand vom 31.12.2021 wieder.

3.2 Direkte Kosten

Ambulant

Die Kosten der ambulanten Versorgung berechnen wir mit der durchschnittlichen Anzahl Konsultationen eines Patienten in einem Jahr multipliziert mit der durchschnittlichen Dauer einer Konsultation (vgl. Tabelle 1). Die Annahmen wurden mit Experten validiert und sind im Anhang detailliert beschrieben. Die Preise entnehmen wir den Tarifwerken der jeweiligen Fachrichtung (vgl. Anhang).

Tabelle 1 Annahmen zu Anzahl der Konsultationen pro Jahr und durchschnittlicher Dauer nach Krankheitsstadium

Fachrichtung	Kennzahl	Early ambulatory	Late ambulatory	Early non-ambulatory	Late non-ambulatory
Allgemeinmedizin	Anzahl Kons.	4	4	4	4
	Dauer pro Kons.	30 min	30 min	30 min	30 min
Spezialisten	Anzahl Kons.	4	2	6	6
	Dauer pro Kons.	60 min	60 min	60 min	60 min
Physiotherapie	Anzahl Sitzungen	24	52	52	52
Ergotherapie	Anzahl Kons.	1	12	12	12
	Dauer pro Kons.	45 min	45 min	45 min	45 min
Logopädie	Anzahl Kons.	17	2	8	8
	Dauer pro Kons.	45 min	45 min	45 min	45 min

Die Tarifstruktur der Physiotherapie sieht eine Pauschale pro Sitzung vor.

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

Medikamente

Derzeit sind in der Schweiz keine Medikamente zur Behandlung der DMD zugelassen. In der klinischen Praxis werden jedoch Glucocorticoide (off-label) verabreicht um den Kraft- und Funktionsverlust hinauszuzögern. Zur Berechnung dieser Medikamentenkosten verwenden wir die Dosierungsempfehlung aus Manzur et al. (2008) zu Prednison und Deflazacort.² Zur Berechnung der Tagesdosis verwenden wir das Gewicht nach Alter eines durchschnittlichen Patienten pro Krankheitsstadium gemäss den Wachstumskurven der (Schweizerischen Gesellschaft für Pädiatrie, 2012).³ Wir gehen gemäss Cowen et al. (2019) von einem Anteil von 71.5% im Ambulatory-Stadium und 48.7% im Non-ambulatory-Stadium aus, die eine Kortisontherapie (täglich) einnehmen. Als Preis berücksichtigen wir den Durchschnittspreis pro mg aller auf der Spezialitätenliste gelisteten Produkte des jeweiligen Wirkstoffes. Weiter nehmen wir basierend auf einer Expertenmeinung an, dass zwei Drittel der behandelten Patienten Deflazacort und ein Drittel Prednison einnimmt.

Aufgrund fehlender Angaben werden nur die oben genannten Glucocorticoide berücksichtigt. Die Medikamentenkosten werden dadurch tendenziell unterschätzt, da im fortgeschrittenen Stadium auch weitere Medikamente wie z. B. Betablocker, ACE-Hemmer oder Laxanzien zum Einsatz

² Für Prednison interpolieren wir die Dosierung der mittleren zwei Krankheitsstadien linear zwischen dem ersten und letzten Krankheitsstadium.

³ Als Referenzalter verwenden wir 6, 9.5, 13.5 und 18 Jahre, aufsteigend nach Krankheitsstadium.

kommen. Ein Teil dieser Kosten wird jedoch in der Kostenkomponente «Andere» bei den direkten medizinischen Kosten berücksichtigt.

Hilfsmittel

Bei den Hilfsmittelkosten berücksichtigen wir die Kosten für Rollstühle und die künstliche Beatmung. Wir nehmen nach Absprache mit Experten an, dass jeder Patient im Non-ambulatory-Stadium einen Elektrorollstuhl und jeder zweite Patient im Late-ambulatory-Stadium einen Handrollstuhl benutzt. Im Late-non-ambulatory-Stadium nehmen wir an, dass jeweils die Hälfte der Patienten invasiv respektive nicht-invasiv beatmet wird. In einer Sensitivitätsanalyse variieren wir unsere Annahmen betreffend Anwendung der Hilfsmittel im Sinne von einem minimalen und einem maximalen Szenario. Wir nehmen an, dass im minimalen Szenario im Ambulatory-Stadium keine Handrollstühle verwendet werden und in «early non-ambulatory» Hand- und Elektrorollstühle jeweils von der Hälfte der Patienten verwendet werden. Betreffend Beatmung reduzieren wir den Anteil invasiv beatmeter Patienten auf 20%. Im maximalen Szenario nehmen wir an, dass alle Patienten in «late ambulatory» einen Handrollstuhl benötigen und 80% der beatmeten Patienten invasiv beatmet werden.

Preisseitig berücksichtigen wir die Tagesmietpreise des Rollstuhltarifs der Zentralstelle für Medizinaltarife UVG (ZMT) (2021). Bei der nicht-invasiven Beatmung berücksichtigen wir die Mietkosten eines Atemgeräts und eines Befeuchters sowie Kosten für Wartung und Verbrauchsmaterial. Bei der invasiven Beatmung berücksichtigen wir zusätzlich die Mietkosten einer Absaugpumpe, eines Cough-Assist inklusive Verbrauchsmaterial und Material für Trachealkanülen und Zubehör gemäss Mittel- und Gegenständeliste (vgl. Eidgenössischen Departement des Innern (EDI), 2020).

Neben Rollstühlen und Beatmungsgeräten benötigen DMD-Patienten je nach Krankheitsstadium weitere Hilfsmittel wie z. B. Stehtrainer, Patientenhebesysteme etc. Da dazu keine Preisdaten verfügbar sind, haben wir diese Kosten nicht berücksichtigt, was zu einer Unterschätzung der Hilfsmittelkosten führt. Die Kosten für Rollstühle und Beatmungsgeräte sollten jedoch den Grossteil der Hilfsmittelkosten abdecken.

Stationär

Die Mathilde-Escher-Stiftung ist eine **Pflegeinstitution** in Zürich, die Menschen mit Muskeldystrophie Ausbildungs-, Arbeits-, Therapie- und Wohnort bietet. In der Schweiz ist es die einzige Institution mit Spezialisierung auf DMD. Auch im Vergleich zu den Nachbarländern ist es gemäss Expertenmeinung aussergewöhnlich, dass ein bedeutender Anteil der Erkrankten in einer Pflegeinstitution wohnhaft ist. In der Stiftung waren 2020 rund 31 Personen mit DMD wohnhaft, davon geschätzt neun im Krankheitsstadium early non-ambulatory und 22 im Stadium late non-ambulatory. Aufgrund Expertenaussagen nehmen wir an, dass schweizweit eine weitere Person im Stadium early non-ambulatory und drei weitere Personen im Stadium late non-ambulatory in einem Heim wohnhaft sind.

Die Kosten der Pflegeheime werden in der Statistik der sozialmedizinischen Institutionen des BFS ausgewiesen. Von den Betriebskosten ziehen wir die Kosten für Medikamente und Arzt ab, da diese separat berücksichtigt werden und es sonst zu Doppelzählungen kommt. Geteilt durch die Anzahl Klienten ergibt dies die durchschnittlichen Kosten pro Klienten. Da Lebensunterhalts- und Wohnkosten auch ausserhalb des Heims anfallen würden, ziehen wir die Kosten des Grundbedarfs für den Lebensunterhalt gemäss der Schweizerischen Konferenz für Sozialhilfe SKOS (2021) für einen 1-Personen-Haushalt sowie den durchschnittlichen Mietzins für eine 1-Zimmer-

Wohnung gemäss Bundesamt für Statistik BFS (2021b) ab. Da die Pflege von DMD-Patienten im Non-Ambulatory-Stadium im Vergleich zum durchschnittlichen Heimbewohner intensiver sein sollte, werden die Heimkosten tendenziell unterschätzt.

Bei Personen mit DMD kann es immer wieder zu **stationären Aufenthalten in Spitälern** kommen. Auslöser für solche Aufenthalte können Operationen an Gelenken, der Wirbelsäule oder dem Magen sein, welche direkt im Zusammenhang mit DMD stehen. Weiter können Atem- und Herzprobleme sowie komplizierte Knochenbrüche zu längeren Aufenthalten im Spital führen.

Als Grundlage für die Berechnung der stationären Spitalaufenthalte verwenden wir die Daten der Medizinischen Statistik der Krankenhäuser (MedStat) des Bundesamts für Statistik (BFS). Wir berücksichtigen ausschliessliche Fälle von männlichen Patienten unter 44-jährig mit ICD-10-Code G71.0 (Muskeldystrophie). Weiter schliessen wir DRG aus, die nicht direkt mit DMD zusammenhängen. Als Beispiel seien hier Mandeloperationen, Lymphome oder akute Bronchitis genannt. Die ausgeschlossenen DRG wurden durch einen medizinischen Experten validiert. Sind die DRG nicht eindeutig einem Krankheitsstadium zuweisbar, teilen wir die Anzahl Fälle proportional zur Prävalenz auf die Stadien auf. Der ICD-10-Code G71.0 enthält neben DMD auch andere Muskeldystrophien. Den Anteil der DMD-Patienten an den stationären Fällen dieses Codes schätzen wir anhand der Verteilung der Dystrophien gemäss Jahresbericht 2020 des (Swiss Registry for Neuromuscular Disorders, 2021) auf 75%.

Von den so berücksichtigten Fällen summieren wir die Kostengewichte der DRG auf und multiplizieren diese mit einem durchschnittlichen Basispreis über alle Spitäler. Zur Berechnung des durchschnittlichen Basispreis verwenden wir die spitalindividuellen Angaben in Cosandey et al. (2018) für das Jahr 2017 und rechnen den Mittelwert anhand des Landesindex der Konsumentenpreise (LIK) auf das Jahr 2020 um.

Andere

Zum Schluss werden alle restlichen direkten medizinischen Kosten zusammengenommen. Natürlich decken die oben genannten Positionen in der Realität nicht alle Kostenpositionen ab. Allerdings sind die wichtigsten Positionen damit abgehandelt.

Unter der Position «Andere» verstehen wir z. B. die Diagnostik, diverse Tests, weitere Konsultationen oder weitere Arzneimittel. Weil diese Kosten nicht eindeutig zuordenbar sind, verwenden wir die internationale Literatur zu einer Annäherung. Wir übertragen die Resultate nach Krankheitsstadium aus Schreiber-Katz et al. (2014) auf die Schweiz. Dazu führen wir eine Preis- und Mengenanpassung gemäss Anhang durch.

Nichtmedizinische Kosten

Zur Berechnung der Kosten betreffend Anpassungen an langlebigen Gütern und den Kosten für soziale Dienstleistungen übertragen wir die Resultate nach Krankheitsstadien aus Schreiber-Katz et al. (2014) auf die Schweiz. Dazu führen wir eine Kaufkraftbereinigung und eine Umrechnung auf das Jahr 2020 gemäss Anhang durch.

Zur Berechnung der Transportkosten verwenden wir die durchschnittliche Reisedistanz pro Etappe von 6-17-Jährigen im motorisierten Individualverkehr der Statistik zum Verkehrsverhalten der Schweizer Bevölkerung 2015 (vgl. Bundesamt für Statistik BFS & Bundesamt für Raumentwicklung ARE, 2017) und die Kilometerkosten des motorisierten Verkehrs der Verkehrsnutzenden 2018 (vgl. Bundesamt für Statistik BFS, 2021). Diese rechnen wir mit dem LIK auf das

Jahr 2020 um. Die Anzahl Etappen berechnen wir aufgrund der Anzahl Besuche bei medizinischen Fachpersonen (vgl. Tabelle 1).

3.3 Indirekte Kosten

Indirekte Kosten können mit zwei unterschiedlichen Konzepten berechnet werden, dem Friktionkostenansatz (FKA) und dem Humankapitalansatz (HKA). Für unsere Berechnung verwenden wir den HKA, d. h. wir berücksichtigen die Produktivitätsverluste aufgrund Morbidität, die im Jahr 2020 bei der gesamten Patientenpopulation angefallen sind. Bei den Produktivitätsverlusten aufgrund Mortalität berücksichtigen wir nur die 2020 verstorbenen Patienten, weisen jedoch sämtliche (diskontierten) Produktivitätsverluste bis zu deren Rentenalter respektive theoretischen Lebenserwartung dem Jahre 2020 zu. Weitere Ausführungen betreffend FKA und HKA finden sich im Anhang.

Morbidität

Die Wahrscheinlichkeit für DMD-Patienten, erwerbstätig zu werden, ist aufgrund des degenerativen Verlaufs der Krankheit sehr gering. Nur sehr wenige haben nach der Schulzeit die Möglichkeit, eine Berufsbildung zu absolvieren. In der Schweiz besteht beispielsweise in der Mathilde-Escher-Stiftung die Möglichkeit, nach der Schulbildung eine Lehre als Mediamatiker zu absolvieren. Die (wenigen) Personen, die diese Ausbildung absolvieren, werden danach (wenn überhaupt) im zweiten Arbeitsmarkt⁴ teilerwerbstätig. Laut Expertenaussagen beträgt die Produktivität in diesem geschützten Rahmen wenige Franken pro Arbeitsstunde. Aus diesem Grund nehmen wir an, dass unter den DMD-Patienten keine Erwerbstätigkeit besteht. Entsprechend entstehen Produktivitätsverluste ausschliesslich aufgrund **Absentismus**, d. h. dem krankheitsbedingten Fernbleiben der Patienten vom Arbeitsmarkt. Aus der Prävalenzberechnung ist die Anzahl Erkrankte im erwerbsfähigen Alter (> 15-jährig) in Fünfjahresaltersklassen bekannt. Zur Bewertung des Absentismus verwenden wir den durchschnittlichen Bruttolohn von Männern pro Altersklasse der Lohnstrukturerhebung (LSE) 2016 und rechnen diesen mit dem Nominallohnindex des Bundesamt für Statistik BFS (2021b) auf das Jahr 2020 um.⁵

Zur Ermittlung der Kosten der **informellen Pflege** lehnen wir uns am Vorgehen von Schreiber-Katz et al. (2014) an, d. h. wir berücksichtigen die Produktivitätsverluste der Angehörigen, die ihre Erwerbstätigkeit vollständig oder teilweise aufgegeben haben und die kurzfristigen Absenzen der Angehörigen am Arbeitsplatz (für Details siehe Anhang). Die so berechneten Produktivitätsverluste bewerten wir nach dem Ersetzungskostenansatz, d. h. dem Marktlohn für professionelle Pflege. Dazu verwenden wir die Arbeitskosten des Wirtschaftsabschnitts «Gesundheits- und Sozialwesen»⁶ von 2018 gemäss Bundesamt für Statistik BFS (2020) und rechnen diese mit dem Nominallohnindex auf das Jahr 2020 hoch (vgl. Bundesamt für Statistik BFS, 2021b).

Die informelle Pflege ist eine wichtige Kostenkomponente von DMD. Deshalb führen wir hier eine Plausibilitätsrechnung durch. Schreiber-Katz et al. (2014) ist zu unserem besten Wissen die einzige Studie, die den Aufwand der informellen Pflege nach Krankheitsstadium ausweist. Entsprechend ist es uns nur möglich, den Wert der gesamten Population mit Werten aus anderen

⁴ Als erster Arbeitsmarkt wird der reguläre Arbeitsmarkt bezeichnet. Auf diesem Arbeitsmarkt bestehen die Arbeits- und Beschäftigungsverhältnisse der freien Wirtschaft. Im Gegensatz dazu versteht man unter dem zweiten Arbeitsmarkt jenen, der geschützte Arbeitsplätze bietet.

⁵ Vgl. Lohnstrukturerhebung: <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/arbeit-erwerb/erhebungen/lse.html>. Die verwendeten Daten wurden individuell beim BFS angefragt.

⁶ Wirtschaftsabschnitt Q gemäss NOGA-08-Codierung.

Quellen zu plausibilisieren. Cavazza et al. (2016) weisen für verschiedene europäische Staaten die durchschnittliche Anzahl informeller Pflegestunden aus. Im Durchschnitt über alle betrachteten Länder benötigen 80% der Erkrankten Pflege und die informell Pflegenden leisten 54.4 Stunden Pflege pro Woche. Preisseitig verwenden wir auch hier den Marktlohn für professionelle Pflege.

Mortalität

Durch den vorzeitigen Tod der Patienten gehen der Gesellschaft Ressourcen in Form von Zeit verloren. Es entstehen einerseits Produktivitätsverluste am Arbeitsmarkt, andererseits bei der unbezahlten Arbeit (z. B. Kinderbetreuung oder Freiwilligenarbeit). Zur Berechnung der Kosten aufgrund vorzeitigen Todes verwenden wir die Todesursachenstatistik des BFS. Da aufgrund der Seltenheit der Krankheit und der zusätzlichen niedrigen Bevölkerungszahl der Schweiz die jährlichen Todesfälle variieren und somit nicht der effektiven Sterberate der Krankheit entsprechen, berechnen wir den durchschnittlichen Anteil DMD-bedingter Todesfälle an den totalen Todesfällen der Jahre 2015-2019 und berechnen danach mit der totalen Anzahl Todesfälle aus 2020 die DMD-bedingten Todesfälle für das Jahr 2020. Da in der Todesursachenstatistik kein eindeutiger Code für DMD vorhanden ist, müssen wir den Anteil der DMD-bedingten Todesfälle innerhalb des ICD-10-Code G71.0 abschätzen. Wir nehmen an, dass 80% der Todesfälle der unter 35-Jährigen und 10% der 36 bis 44-Jährigen auf DMD zurückzuführen sind. Bei den über 44-jährigen treten keine Todesfälle aufgrund DMD auf. Die Annahmen sind angelehnt an das Medianüberleben in der Schweiz (vgl. Kohler et al., 2009) und Informationen aus dem Swiss-Reg-NMD. In einer Sensitivitätsanalyse (vgl. Abschnitt 4.4) variieren wir die Annahme des Anteils der DMD-bedingten Todesfälle bei den unter 35-Jährigen zwischen 70 und 90% und bei den 36 bis 44-Jährigen zwischen 5 und 15%.

Zur Bewertung der Produktivitätsverluste verwenden wir für die bezahlte Arbeit die durchschnittlichen Arbeitskosten von Männern nach Alter aus der LSE 2016 und rechnen diese mit dem Nominallohnindex des BFS (2021b) auf das Jahr 2020 hoch. Die unbezahlte Arbeit bewerten wir nach dem Ersetzungskostenansatz. Hier verwenden wir als Marktlohn die durchschnittlichen Arbeitskosten für unbezahlte Arbeit für Kinderbetreuung/Pflege sowie institutionalisierter Freiwilligenarbeit des BFS - wiederum mit dem Nominallohnindex auf das Jahr 2020 hochgerechnet.

3.4 Intangible Kosten

Wir berechnen die intangiblen Kosten in Form von disability-adjusted life years (DALY). DALY messen die Krankheitslast in Form von verlorenen gesunden Lebensjahren. Sie fassen die Krankheitslast der Patienten, die aktuell mit der Krankheit leben (years lived with disability, YLD) und die Krankheitslast aufgrund verlorener Lebensjahre (years of life lost, YLL) in einem Wert zusammen. Ein DALY steht für ein durch die Krankheit verlorenes Lebensjahr bei voller Gesundheit. Wir verwenden die in Schroeder (2012) vorgeschlagene hybride Berechnungsmethode, die die Krankheitslast aufgrund der reduzierten Lebensqualität der Patienten (YLD) prävalenzbasiert und die Krankheitslast aufgrund verlorener Lebensjahre (YLL) inzidenzbasiert berechnet (vgl. Anhang für eine ausführliche Beschreibung der Berechnungsformel).

Nach dieser Methode berechnen sich die YLD als Multiplikation der Prävalenz im betrachteten Jahr mit dem Invaliditätsgewicht (Disability Weight, DW) der Krankheit. Global Burden of Disease (GBD) weist leider kein DW weder pro Krankheitsstadium noch für DMD gesamthaft aus. Landfeldt et al. (2014) weisen Health-Utility Indices pro Krankheitsstadium aus. In Kombination mit dem von den Autoren ausgewiesenen durchschnittlichen Wert für die Bevölkerung berechnen

wir den durchschnittlichen Verlust an Lebensqualität für DMD-Patienten in Relation zur Bevölkerung. Die DW nach Krankheitsstadium betragen 0.19, 0.29, 0.7 und 0.79 in aufsteigender Reihenfolge, beginnend bei «early ambulatory». Zusammen mit der Prävalenzberechnung gemäss Abschnitt 3.1 ermitteln wir daraus die YLD für die Schweiz.

Die YLL berechnen sich aus der Multiplikation der Anzahl krankheitsbedingter Todesfälle im betrachteten Jahr mit der durchschnittlichen theoretischen Lebenserwartung der Verstorbenen zum Todeszeitpunkt. Die Anzahl Todesfälle aufgrund DMD berechnen wir anhand der Todesursachenstatistik, wie in Abschnitt 3.3 «Mortalität» beschrieben. Die Todesursachenstatistik des BFS weist zudem die Altersklasse der Verstorbenen aus. Zusammen mit der Statistik des BFS zur durchschnittlichen Lebenserwartung der Bevölkerung pro Altersgruppe berechnen wir die Anzahl verlorene Lebensjahre aufgrund DMD.

Neben den Patienten erfahren auch Angehörige respektive Pflegende Leid, Schmerz und eine reduzierte Lebensqualität aufgrund der Erkrankung ihres Kindes, die zu entsprechenden intangiblen Kosten führen. Hier berücksichtigen wir jedoch nur die Krankheitslast aufgrund YLD, weil ein vorzeitiger Tod der Angehörigen/Pflegenden aufgrund der Krankheit des Kindes sehr unwahrscheinlich ist. Zur Berechnung der YLD nehmen wir an, dass jeder Patient eine direkte Pflegeperson hat, dessen Lebensqualität beeinträchtigt ist. Ob diese Annahme zu einer Unter- oder Überschätzung der intangiblen Kosten führt, ist schwierig zu beantworten. Einerseits ist es sehr individuell, wie die Pflegenden von der Krankheit der Angehörigen betroffen sind, andererseits ist oft die ganze Familie von der Erkrankung eines Familienmitglieds negativ betroffen. Landfeldt et al. (2016) weisen in ihrer Befragung von 770 DMD-Pflegenden EQ-5D utility scores differenziert nach Krankheitsstadium der Patienten aus. Die DW können folglich durch Subtraktion der EQ-5D-Werte vom Durchschnitt der Bevölkerung berechnet werden. Daraus resultieren DW von 0.09 für «early ambulatory», 0.11 für «late ambulatory», 0.17 für «early non-ambulatory» und 0.15 für «late non-ambulatory». Wir verwenden weder eine Altersgewichtung noch eine Zeitdiskontierung zur Berechnung der DALY.

4 Resultate

4.1 Prävalenz

Die Anzahl DMD-Erkrankte betrug 2020 in den Krankheitsstadien «early ambulatory» 89 Patienten, «late ambulatory» 23 Patienten, «early non-ambulatory» 104 Patienten und «late non-ambulatory» 89 Patienten (vgl. Tabelle 2). Der progressive Verlauf der Krankheit ist auch im Alter der Patienten in den Krankheitsstadien zu beobachten. In den ersten beiden Krankheitsstadien sind jeweils rund zwei Drittel der Patienten in der Altersklasse der 5-9-Jährigen respektive der 10-14-Jährigen. Im Non-ambulatory-Stadium ist die Altersstreuung grösser. In «early non-ambulatory» ist rund ein Drittel 10 bis 14 Jahre und die Hälfte zwischen 15 und 19 Jahre alt. Einzelne Patienten sind bis zu 29 Jahre alt. In «late non-ambulatory» verteilen sich die Patienten beinahe gleichmässig auf die Altersklassen 15-19, 20-24 und 25-29 Jahre. Vereinzelt sind ältere Patienten zu beobachten. Gemäss Swiss-Reg-NMD sind die ältesten DMD-Erkrankten zwischen 35 und 44 Jahre alt.

Bei der Betrachtung der verschiedenen Altersklassen muss zwingend beachtet werden, dass die Verteilung auf die Altersklassen im Swiss-Reg-NMD nicht zwingend der realen Verteilung entspricht. Beim Register handelt es sich um eine Stichprobe in welcher ausschliesslich diagnostizierte Patienten erfasst sind.⁷ Gewisse Altersklassen können über- oder untervertreten sein. Beispielsweise wird die Altersklasse der 0-4-Jährigen vermutlich untervertreten sein, da DMD in der Regel erst nach dem zweiten Lebensjahr symptomatisch wird und entsprechend diagnostiziert werden kann. Weil asymptomatische Patienten jedoch keine krankheitsbedingten Kosten aufweisen, sollte dieser Fakt in Bezug auf die Kostenberechnung keine Auswirkungen haben. Das Medianalter pro Krankheitsstadium gemäss Schreiber-Katz et al. (2014) fällt zudem relativ ähnlich zu den Zahlen des Registers aus.

Tabelle 2 Prävalenz und Altersverteilung nach Krankheitsstadium, 2020

	Early ambulatory	Late ambulatory	Early non-ambulatory	Late non-ambulatory	Total	
Anzahl	89	23	104	89	305	
Altersklassen	0-4	16%	0%	0%	0%	5%
	5-9	67%	18%	0%	0%	21%
	10-14	16%	64%	34%	0%	21%
	15-19	0%	18%	50%	30%	27%
	20-24	0%	0%	12%	33%	14%
	25-29	0%	0%	4%	28%	10%
	30-34	0%	0%	0%	2%	1%
	35-44	0%	0%	0%	7%	2%
	Total	100%	100%	100%	100%	100%

Anmerkung: Die Altersklasse der 0-4-Jährigen ist im Swiss-Reg-NMD aufgrund des asymptomatischen Verlaufs von DMD in den ersten zwei Lebensjahren vermutlich untervertreten. Weitere Über-/Untervertretungen von Altersklassen können nicht ausgeschlossen werden. Es bestehen Rundungsdifferenzen in den Summen.

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics basierend auf Crisafulli et al. (2020), BFS, Swiss-Reg-NMD.

⁷ Per 31.12.2021 waren 149 Patienten mit DMD im Register gemeldet (vgl. https://www.swiss-reg-nmd.ch/wp-content/uploads/sites/17/Swiss-Reg-NMD_2021_Annual_Report_Website.pdf, zuletzt aufgerufen am 09.03.2022).

Die Medianlebenserwartung von DMD-Patienten beträgt in der Schweiz gemäss einer Studie basierend auf Daten der Mathilde-Escher-Stiftung 35 Jahre (vgl. Kohler et al. 2009). Neuere, internationale Studien wie Landfeldt et al. (2020) und Broomfield et al. (2021) weisen Medianlebenserwartungen von rund 32 und 28 Jahren aus.

4.2 Direkte und indirekte Kosten

Die **totalen direkten Kosten** beliefen sich 2020 auf rund 13.9 Mio. CHF, wobei drei Viertel der direkten Kosten medizinischer Art waren (vgl. Tabelle 3). Die höchsten Kosten fielen in Pflegeinstitutionen an, gefolgt von Anpassungen an langlebigen Gebrauchsgütern, stationären Spitalaufenthalten, Hilfsmitteln und Rehabilitationsdienstleistungen. Wenig ins Gewicht fallen hingegen die Kosten der Allgemeinmediziner und Spezialisten, Medikamenten- und Transportkosten. Die geringsten Kosten verursachen die Medikamente, was zeigt, dass es bis zum heutigen Zeitpunkt keine gezielte medikamentöse Therapie zur Bekämpfung der DMD gibt.

Tabelle 3 Direkte Kosten nach Krankheitsstadium (in Tausend CHF), 2020⁸

	Early ambulatory	Late ambulatory	Early non-ambulatory	Late non-ambulatory	Total
Ambulant	440	170	738	635	1'983
davon Allgemeinmedizin	32	8	38	32	111
davon Spezialist	75	10	131	113	328
davon Reha	333	153	569	490	1'544
Stationär	32	8	1'307	4'212	5'559
davon Spital	32	8	333	1'817	2'190
davon Pflegeinstitution	0	0	974	2'395	3'369
Medikamente	18	6	21	22	66
Hilfsmittel	0	18	408	1'605	2'032
Andere	1	0	59	664	724
Total direkte medizinische Kosten	490	203	2'532	7'139	10'364
Anpassungen an Gebrauchsgüter	434	21	847	1'394	2'697
Transport	46	17	87	75	224
Assistenz	0	40	346	223	609
Total direkte nichtmed. Kosten	480	79	1'280	1'692	3'530
Total direkte Kosten	970	281	3'812	8'830	13'894

Anmerkung: Abweichungen der Summe der Einzelwerte bestehen aufgrund Rundungsdifferenzen.

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

Ein starker Kostenanstieg ist beim Übergang vom Ambulatory- zum Non-ambulatory-Stadium zu beobachten. 12.6 Mio. CHF respektive 91% der direkten Kosten fielen im Non-ambulatory-Stadium an. Zwar ist die Prävalenz im Ambulatory-Stadium mit 112 Patienten im Vergleich zum

⁸ Die ausgewiesenen Werte in der Tabelle resultieren aus dem in Kapitel 2 beschriebenen Vorgehen und den getroffenen Annahmen. Die Werte sind dementsprechend mit Unsicherheit behaftet und sollen trotz Ausweis auf Höhe Tausend Franken als ungenaue Werte verstanden werden.

Non-ambulatory-Stadium mit 193 Patienten um einiges niedriger. Dies ist jedoch nicht der Hauptgrund der niedrigeren direkten Kosten. Die Kosten pro Patienten verdreifachen sich beim Übergang vom Late-ambulatory- zum Early-non-ambulatory-Stadium (12'300 vs. 36'700 CHF). Hin zum Late-non-ambulatory-Stadium findet nochmals beinahe eine Verdreifachung der Kosten auf 98'800 CHF pro Patienten statt (vgl. Tabelle 10 im Anhang). Im Krankheitsverlauf nimmt die Bedeutung der Ausgaben für stationäre Aufenthalte in Pflegeinstitutionen und Spitälern sowie für Hilfsmittel und Anpassungen an langlebigen Gebrauchsgütern stark zu. Die Kosten pro Patienten im letzten Krankheitsstadium sind sodann zu rund 82% durch Kosten stationärer Aufenthalte, Heim- und Hilfsmittelkosten und Ausgaben für Anpassungen an langlebigen Gebrauchsgütern bestimmt.

Sowohl die medizinischen als auch die nichtmedizinischen Kosten steigen also im Krankheitsverlauf stark an. Die Bedeutung der medizinischen Kosten nimmt jedoch relativ gesehen zu. Während sich im ersten Krankheitsstadium (early ambulatory) die medizinischen und nichtmedizinischen Kosten die Waage halten, liegen die medizinischen Kosten im letzten Krankheitsstadium (late non-ambulatory) um das Vierfache über den nichtmedizinischen Kosten.

Die **totalen indirekten Kosten** beliefen sich 2020 auf rund 34.2 Mio. CHF (vgl. Tabelle 4). Der weitaus grösste Kostenblock war mit 23.0 Mio. CHF (67%) die informelle Pflege gefolgt von den Kosten durch vorzeitigen Tod in der Höhe von 6.0 Mio. CHF (18%). Wiederum ist ein starker Kostenanstieg beim Übergang vom Ambulatory- zum Non-ambulatory-Stadium zu beobachten. 29.6 Mio. CHF respektive 87% der indirekten Kosten fielen im Non-ambulatory-Stadium an. Die Kosten im Late-non-ambulatory-Stadium waren mit 17.6 Mio. CHF am höchsten. Aufgrund unserer Annahme fallen Kosten durch vorzeitigen Tod ausschliesslich in diesem Stadium an. Auffällig ist, dass die Kosten der informellen Pflege in diesem Stadium niedriger sind als im vorhergehenden Stadium. Dies kommt daher, dass ein grösserer Anteil der Patienten in einer Pflegeinstitution betreut ist und somit die Kosten von den indirekten Kosten in die direkten Kosten verlagert werden.

Tabelle 4 Indirekte Kosten nach Krankheitsstadium (in Tausend CHF), 2020⁹

	Early ambulatory	Late ambulatory	Early non-ambulatory	Late non-ambulatory	Total
Absentismus (HKA)	0	55	1'358	3'717	5'130
Informelle Pflege	2'443	2'112	10'636	7'834	23'025
Vorzeitiger Tod (HKA)	0	0	0	6'037	6'037
Total indirekte Kosten	2'443	2'167	11'994	17'588	34'192

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

Betrachtet man die indirekten Kosten pro Patienten, so fallen indirekte Kosten in den ersten drei Krankheitsstadien insbesondere in Form informeller Pflege an (vgl. Tabelle 10 im Anhang). In «early ambulatory» ist der Pflegeaufwand mit 27'300 CHF pro Patienten noch relativ gering. Bereits im zweiten Krankheitsstadium, in welchem die Patienten nicht mehr selbständig aus der Liegeposition aufstehen, jedoch zumindest noch kurze Distanzen selbst gehen können, steigt der

⁹ Die ausgewiesenen Werte in der Tabelle resultieren aus dem in Kapitel 2 beschriebenen Vorgehen und den getroffenen Annahmen. Die Werte sind dementsprechend mit Unsicherheit behaftet und sollen trotz Ausweis auf Höhe Franken als ungenaue Werte verstanden werden.

Pflegeaufwand auf 92'400 CHF stark an. In «early non-ambulatory» sind die Kosten der informellen Pflege vergleichbar mit dem vorhergehenden Krankheitsstadium, allerdings addieren sich weitere 13'100 CHF indirekte Kosten aufgrund des Fernbleibens vom Arbeitsmarkt der Patienten im mittlerweile erwerbsfähigen Alter. Diese Kosten steigen im letzten Krankheitsstadium auf 41'600 CHF an, was auf das höhere Alter der Patienten zurückzuführen ist. Die Kosten der informellen Pflege sinken, da ein grösserer Anteil der Patienten in einer Institution gepflegt wird. Hinzu kommen jedoch die Kosten der DMD-bedingten Todesfälle im Jahr 2020, deren Produktivitätsverluste sich aufgrund bezahlter und unbezahlter Arbeit auf durchschnittlich 67'500 CHF beliefen. Insgesamt fallen im letzten Krankheitsstadium 196'800 CHF indirekte Kosten an.

Die **gesellschaftlichen Kosten** (direkte und indirekte Kosten) von DMD betragen im Jahr 2020 48 Mio. CHF. Über zwei Drittel davon (34.2 Mio. CHF) waren indirekte Kosten. Die indirekten Kosten überstiegen in allen Krankheitsstadien die direkten Kosten. Sowohl bei den direkten als auch bei den indirekten Kosten ist zum Zeitpunkt des Verlusts der Gehfähigkeit der Patienten (Non-ambulatory-Stadium) ein starker Kostenanstieg zu verzeichnen. Die gesellschaftlichen Kosten steigen von 2.4 Mio. CHF in «late ambulatory» auf 15.8 Mio. CHF in «early non-ambulatory», was 33% der Gesamtkosten entspricht. In «late non-ambulatory» fallen sogar 55% der Gesamtkosten an.

Tabelle 5 **Gesellschaftliche Kosten nach Krankheitsstadium in Mio. CHF, 2020¹⁰**

	Early ambulatory	Late ambulatory	Early non-ambulatory	Late non-ambulatory	Total
Total direkte Kosten	1.0	0.3	3.8	8.8	13.9
Total indirekte Kosten	2.4	2.2	12.0	17.6	34.2
Total direkte und indirekte Kosten	3.4	2.4	15.8	26.4	48.1

Anmerkung: Abweichungen der Summe der Einzelwerte bestehen aufgrund Rundungsdifferenzen.

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

4.3 Intangible Kosten

Wir weisen die intangiblen Kosten als Anzahl DALY aus, d. h. Anzahl verlorene Lebensjahre bei voller Gesundheit. DALY messen einerseits die Krankheitslast aufgrund der verringerten Lebensqualität (YLD) und andererseits aufgrund verlorener Lebensjahre bei vorzeitigem Tod (YLD).

Die Krankheitslast der DMD betrug 2020 insgesamt 360 DALY, d. h. es gingen 360 gesunde Lebensjahre durch DMD verloren (vgl. Tabelle 6). 89% der Krankheitslast wurde von den Patienten getragen, 11% von den Angehörigen. Rund 42% der Krankheitslast entstand durch das frühzeitige Ableben von Patienten, 58% aufgrund der verringerten Lebensqualität der Patienten und Angehörigen. Die höchste Krankheitslast fiel in «late non-ambulatory» mit 236 DALY an, was 66% der gesamten Krankheitslast entspricht.

Gemäss Global Burden of Disease fielen in der Schweiz im Jahr 2019 bei männlichen Personen krankheitsbedingt rund 960'000 DALY an. In Anbetracht dieser Zahl erscheint die Krankheitslast von DMD mit 360 DALY vernachlässigbar klein. Dennoch gilt es zu beachten, dass die Krankheitslast in Bezug zur Prävalenz von 305 Patienten in 2020 beachtlich ist.

¹⁰ Die ausgewiesenen Werte in der Tabelle resultieren aus dem in Kapitel 2 beschriebenen Vorgehen und den getroffenen Annahmen. Die Werte sind dementsprechend mit Unsicherheit behaftet und sollen trotz Ausweis auf Höhe Franken als ungenaue Werte verstanden werden.

Tabelle 6 Krankheitslast von DMD gemessen in DALY, nach Krankheitsstadium

	Early ambulatory	Late ambulatory	Early non-ambulatory	Late non-ambulatory	Total
Patienten - YLD	17	7	73	71	167
Patienten - YLL	0	0	0	152	152
Angehörige YLD	8	3	18	13	42
Total DALY	25	9	90	236	360

YLD: Years lived with disability – Krankheitslast der Patienten die aktuell mit der Krankheit leben (eingeschränkte Lebensqualität. YLL: Years of life lost - Krankheitslast aufgrund verlorener Lebensjahre. DALY: Disability-adjusted life years. Abweichungen der Summe der Einzelwerte bestehen aufgrund Rundungsdifferenzen.

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

4.4 Sensitivität und Plausibilisierung

Damit die Berechnung der gesellschaftlichen Kosten möglich war, haben wir an diversen Orten Annahmen getroffen, z. B. zu den Anzahl Konsultationen bei Fachärzten, den Lohnkosten von Pflegenden aber auch der Übertragbarkeit ausländischer Resultate auf die Schweiz. Um den Effekt und die Relevanz dieser Annahmen auf die Kostenberechnung besser abschätzen zu können, führen wir eine Sensitivitätsrechnung durch. Nicht alle Annahmen haben denselben Effekt auf die Kosten. In der Sensitivitätsrechnung variieren wir die Annahmen, bei welchen aus unserer Sicht die grösste Unsicherheit besteht und die potenziell den grössten Kosteneffekt haben. Wie in Kapitel 3 erläutert, berechnen wir Sensitivitäten für die Kostenkomponenten «Hilfsmittel», «informelle Pflege» und «vorzeitigen Tod».

Hilfsmittel und vorzeitiger Tod

Für die Kostenkomponenten «Hilfsmittel» und «vorzeitigen Tod» berechnen wir jeweils zwei Szenarien (vgl. Tabelle 7). Die Kosten für Hilfsmittel variieren in den Szenarien zwischen 1.5 Mio. CHF und 2.4 Mio. CHF. Der Effekt auf die Gesamtkosten beträgt +/- 1%, was sehr moderat ist. Die Kosten durch vorzeitigen Tod variieren in der Sensitivitätsanalyse zwischen 5.2 und 6.8 Mio. CHF. Auf die Gesamtkosten hat dies einen Effekt von +/- 2%. Die Berechnung ist demzufolge relativ robust betreffend die Annahmen bei «Hilfsmittel» und «vorzeitigen Tod».

Tabelle 7 Resultate und Effekt ausgewählter Sensitivitätsrechnungen

Kostenkomponente	Kosten 2020	Unteres Szenario	Oberes Szenario	Effekt auf Gesamtkosten
Hilfsmittel	2.0 Mio. CHF	1.5 Mio. CHF	2.4 Mio. CHF	+/-1%
Vorzeitiger Tod	6.0 Mio CHF	5.2 Mio. CHF	6.8 Mio. CHF	+/-2%

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

Informelle Pflege

Die bedeutendste Kostenkomponente in der Schweiz ist mit 48% der gesellschaftlichen Kosten die informelle Pflege. Im Vergleich zum Ausland ist dieser Wert plausibel. Cavazza et al. (2016) untersuchten die gesellschaftlichen Kosten von DMD in sieben europäischen Ländern und fanden ähnliche Werte (vgl. Tabelle 8). Die Studie berücksichtigt Produktivitätsverluste aufgrund Absentismus und vorzeitigen Tod (fast) nicht. Entsprechend weisen wir in Tabelle 8 zusätzlich den Anteil informeller Pflege an den totalen Kosten ohne Absentismus und vorzeitigen Tod (zweite

Zeile) aus. Da sich strukturelle Unterschiede zeigen, weisen wir in Tabelle 8 ebenfalls den Anteil der formellen und informellen Pflege an den Gesamtkosten aus. Schweden beispielsweise pflegt DMD laut diesen Daten deutlich häufiger durch professionelle Pflegefachpersonen als die anderen Länder. Der von uns geschätzte Wert (exkl. Absentismus und vorzeitigen Tod) ist im Vergleich zu den Resultaten in Ländern mit vergleichbarem Gesundheitswesen (Frankreich, Deutschland, Schweden) leicht höher, jedoch nicht unplausibel. Da informelle Kosten reine Lohnkosten sind, kann der höhere Anteil beispielsweise durch die höheren relativen Faktorkosten von Arbeit im Vergleich zu Gütern erklärt werden. Zudem ist der Konsum von Gesundheitsdienstleistungen in der Schweiz im Vergleich zum Ausland höher, d. h. direkte nichtmedizinische Kosten sind relativ niedriger.

Tabelle 8 Plausibilisierung informelle Pflege – Anteil an den gesellschaftlichen Kosten von DMD

Land	Anteil informelle Pflege an gesellschaftlichen Kosten	Anteil formelle und informelle Pflege an gesellschaftlichen Kosten
Schweiz	48%	55%
Schweiz (gesell. Kosten ohne Absentismus und ohne vorzeitigen Tod)	62%	71%
Bulgarien	55%	55%
Frankreich	57%	57%
Deutschland	49%	59%
Ungarn	88%	88%
Italien	47%	48%
Spanien	66%	68%
Schweden	19%	61%

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics, (Cavazza et al., 2016).

Humankapital- und Friktionskostenansatz

Die indirekten Kosten durch Absentismus und vorzeitigen Tod berechnen wir mit dem Humankapitalansatz. Als Sensitivität berechnen wir diese Kosten mit dem Friktionskostenansatz, d. h. wir nehmen neu an, dass Produktivitätsverluste nur so lange bestehen, bis die erkrankte Person am Arbeitsmarkt durch einen anderen (bisher arbeitslosen) Erwerbstätigen ersetzt ist. Diese Zeitspanne nennt man Friktionszeit, welche wir mit vier Monaten festlegen. Produktivitätsverluste durch Absentismus fallen neu also anstatt im gesamten Jahr 2020 nur noch während vier Monaten an. Bei den Produktivitätsverlusten der frühzeitig verstorbenen Patienten werden nicht mehr die diskontierten Produktivitätsverluste bis zum regulären Rentenalter, sondern nur noch die Kosten während der Friktionszeit berücksichtigt.

Tabelle 9 Kosten durch Absentismus und vorzeitigen Tod (in Tausend CHF), 2020 – Humankapital- vs. Friktionskostenansatz

		Early ambulatory	Late ambulatory	Early non-ambulatory	Late non-ambulatory	Total
Absentismus	HKA	0	55	1'358	3'717	5'130
	FKA	0	18	453	1'239	1'710
Vorzeitiger Tod	HKA	0	0	0	6'037	6'037
	FKA	0	0	0	67	67

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

Während sich die Kosten durch Absentismus um das Dreifache unterscheiden (FKA vier Monate vs. HKA 12 Monate Produktivitätsverlust), fällt die Differenz beim vorzeitigen Tod relativ gesehen viel höher aus (vgl. Tabelle 9). Durch Berechnung mit dem FKA sind die Kosten um das Hundertfache niedriger als beim HKA. Dies hängt mit dem sehr frühen Versterben der Patienten zusammen. Die gesellschaftlichen Kosten reduzieren sich dadurch um knapp 13%. Auch die Verwendung des FKA bei der Berechnung des Absentismus führt zu einer Reduktion um rund 7%. Insgesamt reduzieren sich demzufolge die gesellschaftlichen Kosten durch Verwendung des FKA von 46.5 Mio. CHF um 20% auf rund 37 Mio. CHF. Die indirekten Kosten sinken von 34.2 Mio. CHF sogar um 27.5% auf 24.8 Mio. CHF. Neu beträgt der Anteil der indirekten Kosten an den Gesamtkosten 52% im Vergleich zu 71% bei der Berechnung mit dem HKA. Durch Verwendung des FKA werden die Produktivitätsverluste bei den Patienten relativ zu denjenigen der Angehörigen (informelle Pflege) vernachlässigbar klein.

Die Verwendung des FKA hat einen grossen Effekt auf die gesellschaftlichen Kosten. Einerseits fallen diese 20% niedriger aus, andererseits verändert sich die Struktur. Die indirekten Kosten verlieren relativ gesehen an Bedeutung, insbesondere die Produktivitätsverluste der Patienten selbst. Welcher Berechnungsansatz die Kosten korrekter erfasst, ist nicht zu beantworten. Die Anwendung des HKA ist gemäss Steinmann et al. (2018) gängiger. Weiter ist es die Betrachtung aus Patientenperspektive, während der FKA die Arbeitgebersichtweise zeigt. Dabei hängt es stark von der Beurteilung der Gesamtsituation aber auch der individuellen Situation der Patienten auf dem Arbeitsmarkt ab, inwieweit die Annahmen des FKA halten.

5 Fazit

Obwohl die Datenverfügbarkeit betreffend DMD in der Schweiz beschränkt ist, konnten wir die gesellschaftlichen Kosten der DMD nach Krankheitsstadium weitgehend basierend auf Schweizer Quellen ermitteln. Insbesondere Mengenangaben zur medizinischen Versorgung der Patienten sind rar. Preisangaben hingegen sind grossmehrheitlich verfügbar. Zur Berechnung mussten wir entsprechend Annahmen treffen, die wir mit Experten oder einer Sensitivitätsrechnung validierten. Zu unserem besten Wissen ist dies die erste Studie in diesem Kontext in der Schweiz.

Insgesamt beliefen sich die gesellschaftlichen Kosten der DMD in der Schweiz 2020 auf rund 48 Mio. CHF, über zwei Drittel davon (34.2 Mio. CHF) waren indirekte Kosten und nur rund ein Fünftel (10.3 Mio. CHF) direkte medizinische Kosten, sprich Gesundheitsausgaben, die von der sozialen Krankenversicherung getragen werden. Besonders ins Gewicht fallen bei den direkten medizinischen Kosten die Ausgaben für stationäre Pflegeinstitutionen (3.4 Mio. CHF) und Spitalaufenthalte (2.2 Mio. CHF) sowie medizinische Hilfsmittel (2.0 Mio. CHF). Bei den direkten nichtmedizinischen Kosten sind es die Anpassungen an langlebigen Gütern, die mit rund 2.7 Mio. CHF sogar höher ausfallen als die Ausgaben für stationäre Spitalaufenthalte oder medizinische Hilfsmittel. Diese Kosten werden teilweise von der Invaliditätsversicherung getragen, jedoch auch durch die Patienten und deren Angehörige selbst.

Der grösste Kostenblock war in allen Krankheitsstadien die informelle Pflege. Insgesamt beliefen sich die Kosten der informellen Pflege im Jahr 2020 auf 23 Mio. CHF, was rund 48% der gesellschaftlichen Kosten der DMD entspricht. Diese Pflegeleistungen werden von den Angehörigen alle unentgeltlich erbracht und entsprechend tragen auch die Angehörigen diese Kosten. Der Pflegebedarf von DMD-Patienten nimmt im Krankheitsverlauf stetig zu. Bereits im Late-ambulatory-Stadium spiegelt sich der Pflegebedarf in Kosten von rund 92'000 CHF pro Patienten wider und steigt beim Verlust der Gehfähigkeit im Non-ambulatory-Stadium weiter an. In diesem Stadium verlagert sich ein Teil der Pflegekosten in die formelle Pflege, sprich die Kosten fallen bei stationären Pflegeinstitutionen an. Im Late-non-ambulatory-Stadium führen zusätzlich die Produktivitätsverluste aufgrund vorzeitigen Todes zu einer starken Erhöhung der indirekten Kosten um 6 Mio. CHF.

Der Kostenanstieg beim Übergang vom Ambulatory- zum Non-ambulatory-Stadium, sprich dem Verlust der Gehfähigkeit, widerspiegelt sich auch in der Verteilung der gesellschaftlichen Kosten auf die Krankheitsstadien. Rund 90% der gesellschaftlichen Kosten entstehen in den zwei Non-ambulatory-Stadien. Konkret fallen 33% der Kosten in «early non-ambulatory» und 55% der Kosten in «late non-ambulatory» an. Neben dieser finanziellen Belastung, die zumindest teilweise durch Sozialversicherungen mitgetragen wird, ist auch die psychische Belastung im Krankheitsverlauf nicht zu vernachlässigen. Wie bei den gesellschaftlichen Kosten fallen 90% der durch Patienten und Angehörige getragenen Krankheitslast in den zwei Non-ambulatory-Stadien an, in «late non-ambulatory» selbst sind es sogar 66%.

Der Kostenanstieg ist entsprechend auch in den Kosten pro Patienten frappant. Diese betragen in «early ambulatory» 38'200 CHF und in «late non-ambulatory» 295'600 CHF, was dem Achtfachen im Vergleich zum ersten Krankheitsstadium entspricht. Im Krankheitsverlauf steigen insbesondere die Kosten für Pflegeleistungen und Hilfsmittel sowie die indirekten Kosten an. In allen Krankheitsstadien übersteigen die indirekten Kosten die direkten Kosten.

Die gesellschaftlichen Kosten widerspiegeln die derzeitigen Therapiemöglichkeiten in der Schweiz. Der degenerative Verlauf der Krankheit kann momentan nicht wirksam behandelt werden. Insbesondere Rehabilitationsmassnahmen werden eingesetzt, um die Mobilität der Erkrankten möglichst lange zu erhalten. Die fehlenden Therapiemöglichkeiten führen dazu, dass im Verlauf der Krankheit Hilfsmittel zu einem festen Bestandteil des Alltags und Anpassungen an der Wohnung oder an Fahrzeugen unumgänglich werden. Zudem steigt der Pflegebedarf stark an, was sich in entsprechenden Kosten für informelle Pflege niederschlägt. Sowohl die direkten als auch die indirekten Kosten steigen beim Verlust der Gehfähigkeit sprunghaft, um das Sechsfache an. Eine Therapie, welche die Patienten im Ambulatory-Stadium stabilisiert, würde sowohl die gesellschaftlichen Kosten als auch die Krankheitslast stark reduzieren.

6 Anhang

Tabellen

Tabelle 10 **Gesellschaftliche Kosten pro Patienten pro Jahr nach Krankheitsstadium (in Tausend CHF), 2020**

	Early ambulatory	Late ambulatory	Early non-ambulatory	Late non-ambulatory	Alle Patienten
Ambulant	4'900	7'500	7'100	7'100	6'500
davon Allgemeinmedizin	400	400	400	400	400
davon Spezialist	800	400	1'300	1'300	1'100
davon Reha	3'700	6'700	5'500	5'500	5'100
Stationär	400	400	12'600	47'100	18'200
davon Spital	400	400	3'200	20'300	7'200
davon Pflegeinstitution	0	0	9'400	26'800	11'000
Medikamente	200	300	200	200	200
Hilfsmittel	0	800	3'900	18'000	6'700
Andere	0	0	600	7'400	2'400
Total direkte medizinische Kosten	5'500	8'900	24'400	79'900	33'900
Gebrauchsgüter	4'900	900	8'200	15'600	8'800
Transport	500	700	800	800	700
Assistenz	0	1'800	3'300	2'500	2'000
Total direkte nichtmedizinische Kosten	5'400	3'400	12'300	18'900	11'600
Total direkte Kosten	10'900	12'300	36'700	98'800	45'500
Absentismus (HKA)	0	2'400	13'100	41'600	16'800
Informelle Pflege	27'300	92'400	102'400	87'600	75'400
Vorzeitiger Tod (HKA)	0	0	0	67'500	19'800
Total indirekte Kosten	27'300	94'800	115'400	196'800	111'900
Total direkte und indirekte Kosten	38'200	107'100	152'100	295'600	157'400

Anmerkung: Abweichungen der Summe der Einzelwerte bestehen aufgrund Rundungsdifferenzen.

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

Direkte Kosten

Ambulant

Basierend auf Expertenaussagen nehmen wir an, dass DMD-Patienten alle drei Monate einen Allgemeinmediziner besuchen. Tendenziell sind Patienten in späteren Krankheitsstadien vermehrt bei Spezialisten versorgt, die Zunahme von Infekten und die vermehrte Abgabe von Herzmedikamenten bedingt jedoch weiterhin eine regelmässige Untersuchung durch den Allgemeinmediziner. Betreffend Spezialisten nehmen wir in allen Krankheitsstadien an, dass DMD-Patienten zweimal jährlich eine neurologische Abklärung durchlaufen. Im ersten Krankheitsstadium finden

zusätzliche diagnostische Konsultationen statt. Im Non-ambulatory-Stadium addieren sich danach weitere Besuche bei Fachärzten der Pneumologie, Kardiologie, Orthopädie und Gastroenterologie. Wir nehmen an, dass im Durchschnitt alle drei Monate ein zusätzlicher Spezialist aufgesucht wird. Physiotherapeutische Behandlungen werden im ersten Krankheitsstadium im Durchschnitt wöchentlich und in den nachfolgenden Krankheitsstadien zweimal wöchentlich wahrgenommen. Die Ergotherapie ist im ersten Krankheitsstadium wenig relevant. Danach nehmen wir an, dass im Durchschnitt einmal monatlich ein Ergotherapeut konsultiert wird. Die Inanspruchnahme und Intensität weichen im Einzelfall selbstverständlich von diesem Durchschnitt ab. Weiter gehen wir davon aus, dass rund ein Drittel der Erkrankten im ersten Krankheitsstadium eine logopädische Behandlung im Wochenrhythmus erhält. Daraus resultieren im Durchschnitt 17 Konsultationen pro Jahr ($=52 \cdot 1/3$). Im zweiten Krankheitsstadium ist die Logopädie von geringer Bedeutung. Wir gehen von durchschnittlich zwei Konsultationen pro Jahr aus. Im Non-ambulatory-Stadium gewinnt sie dann wieder mehr an Bedeutung, jedoch nicht in Form von klassischer logopädischer Behandlung, sondern z. B. in Form von Beratungen oder Schlucktherapien.

Die Preise der Allgemeinmedizin und der Spezialisten ermitteln wir anhand der Taxpunkte des Tarmed und des durchschnittlichen schweizerischen Taxpunktwertes. Dabei verwenden wir die Zeittarife für Konsultationen der allgemeinen Grundleistungen. In der Physiotherapie verwenden wir als durchschnittlichen Preis die «Einzelsitzungspauschale für aufwändige Physiotherapie» (Ziffer 7311), für die ersten zwei Krankheitsstadien addieren wir die «Zuschlagsposition für die Behandlung chronisch behinderter Kinder (Alter: bis zur Vollendung des sechsten Lebensjahres)» (Ziffer 7351) der Tarifstruktur für physiotherapeutische Leistungen.¹¹ Wir verwenden einen durchschnittlichen Taxpunktwert (TPW) von 1.0. In der Ergotherapie verwenden wir die «Ergotherapeutische Massnahmen in Anwesenheit der Patientinnen» (Ziffer 7601) des Tarifvertrags mit santésuisse und den schweizweiten TPW von 1.10.¹² In der Logopädie verwenden wir die «Logopädische Behandlung und Untersuchung» (Ziffer 7501) des Tarifvertrags mit H+ für ambulante logopädische Leistungen.¹³

Pflegeinstitution

Der Abzug für Lebensunterhalts- und Wohnkosten beläuft sich auf 21'502 CHF pro Klienten und Jahr vor. Er setzt sich zusammen aus dem Abzug für den Grundbedarf für den Lebensunterhalt von 997 CHF/Monat (vgl. (Schweizerische Konferenz für Sozialhilfe SKOS, 2021) und dem durchschnittlichen Mietzins für eine 1-Zimmer-Wohnung von 794 CHF/Monat aus dem Jahr 2019 (vgl. (Bundesamt für Statistik BFS, 2021b), bereinigt um den Mietpreisindex für das Jahr 2020 (vgl. (Bundesamt für Statistik BFS, 2022).

Indirekte Kosten

Humankapital- und Friktionskostenansatz

Beim **Humankapitalansatz** (HKA) wird jede durch Krankheit nicht gearbeitete Stunde als Produktivitätsverlust betrachtet. Um die indirekten Kosten in monetären Werten zu erhalten, wird die Anzahl verlorener Arbeitsstunden mit einem Stundenlohn multipliziert. Dahinter liegt gemäss ökonomischer Theorie die Annahme, dass der bezahlte Lohn die Produktivität der Arbeitnehmer

¹¹ Vgl. https://www.physioswiss.ch/media/2813/download/312_d_Tarifstruktur%20f%C3%BCr%20physiotherapeutische%20Leistungen%20KV%20ab%2001.01.2018.pdf?v=2

¹² Vgl. <https://www.ergotherapie.ch/download.php?cat=6JLvL2DYoAPKasSNvUf3Dw%3D%3D&id=765>

¹³ Vgl. https://www.hplus.ch/fileadmin/hplus.ch/public/Tarife/Logopaedie/Tarif_2_.pdf

widerspiegelt. Damit entspricht der Stundenlohn genau den Opportunitätskosten einer verlorenen Stunde Arbeit.

Die Methode ist relativ einfach umsetzbar. Ein gängiger Kritikpunkt am Humankapitalansatz ist, dass der bezahlte Lohn in der Realität häufig eben nicht der effektiven Produktivität der Arbeitnehmer entspricht. Dabei findet typischerweise eine Unterschätzung der tatsächlichen Kosten statt, wenn der Lohn zum Beispiel aufgrund von Risikoaversion der Arbeitnehmer unterhalb der Produktivität liegt (Zhang & Anis, 2011). Ein weiterer Kritikpunkt bezieht sich darauf, dass der Humankapitalansatz von Vollbeschäftigung am Arbeitsmarkt ausgeht. Falls dies nicht der Fall ist und ein gewisses Mass an Arbeitslosigkeit in der Volkswirtschaft vorliegt, werden mit dem Humankapitalansatz gerade aus Sicht der Arbeitgeber nicht die tatsächlich anfallenden, sondern vielmehr die maximal möglichen Kosten ermittelt. Bei diesem Argument käme es zu einer Überschätzung der tatsächlichen Kosten, weil Arbeitgeber einen nicht mehr arbeitsfähigen chronisch Kranken irgendwann ersetzen werden (Becker, 2011; van den Hout, 2010).

Vor allem um dem zweiten Kritikpunkt zu begegnen, wurde der Humankapitalansatz zum **Frik-tionskostenansatz** (FKA) weiterentwickelt (Koopmanschap & van Ineveld, 1992). Beim Friktionskostenansatz wird der Erwerbsausfall nicht bis zur Pensionierung berechnet, sondern auf eine sogenannte Friktionszeit begrenzt. Es werden nur die Produktionsverluste berechnet, bis die erkrankte Person durch einen neuen (bisher arbeitslosen) Arbeitnehmer ersetzt wird. Die Friktionszeit ist abhängig von der Verfügbarkeit von Arbeitssuchenden, das heisst von der Höhe der Arbeitslosigkeit. Dabei wird davon ausgegangen, dass eine höhere Arbeitslosigkeit mit mehr Arbeitslosen und damit mit einer schnelleren Besetzung offener Stellen einhergeht. Zusätzlich zum Produktivitätsverlust entstehen Transaktionskosten für Suche und Einarbeitung des neuen Mitarbeiters. Auch bei kurzfristiger Arbeitsunfähigkeit ohne Ersatz durch einen neuen Mitarbeiter wird beim FKA ein geringerer Produktionsverlust als beim HKA unterstellt. Es wird in diesem Fall davon ausgegangen, dass ein Teil der Arbeit vorübergehend von Arbeitskollegen übernommen wird oder nach der Rückkehr zum Arbeitsplatz erledigt werden kann.

Informelle Pflege

Zur Berechnung der Produktivitätsverluste aufgrund Aufgabe der Erwerbstätigkeit multiplizieren wir die Prävalenz pro Krankheitsstadium mit dem Anteil Patienten mit informeller Pflege gemäss Schreiber-Katz et al. (2014). Im Non-ambulatory-Stadium nehmen wir an, dass alle Patienten, die nicht in einer Pflegeinstitution betreut werden, eine informelle Pflegeperson haben (90% in early und 72% in late non-ambulatory). Danach berechnen wir mit der Erwerbstätigenquote der 15-64-Jährigen der ständigen Wohnbevölkerung¹⁴ die Anzahl Pflegepersonen, die überhaupt erwerbstätig waren. So erhalten wir die theoretische Maximalanzahl erwerbstätiger Pflegenden pro Krankheitsstadium. Nun berechnen wir die Anzahl der Eltern, die ihre Erwerbstätigkeit aufgrund DMD aufgegeben haben (vgl. Anteil Eltern mit Aufgabe Erwerbstätigkeit gemäss Schreiber-Katz et al., 2014). Um die Anzahl Pflegestunden zu erhalten, multiplizieren wir die berechnete Anzahl Angehörige, die die Erwerbstätigkeit aufgegeben haben, mit der durchschnittlichen Anzahl informeller Pflegestunden (pro Woche) gemäss Cavazza et al. (2016).

Das gleiche Verfahren verwenden wir zur Ermittlung der informellen Pflege aufgrund Pensumsreduktionen. Aus Schreiber-Katz et al. (2014) berücksichtigen wir hierbei den Anteil der Eltern, die ihr Pensum aufgrund DMD reduziert haben, und zur Berechnung der Pflegestunden die durchschnittliche Reduktion der wöchentlichen Arbeitszeit (nicht nach Krankheitsstadien verfügbar).

¹⁴ Vgl. <https://www.bfs.admin.ch/asset/de/je-d-03.02.01.12>, zuletzt aufgerufen am 14.01.2022.

Weiter berücksichtigen wir die kurzfristigen Absenzen der erwerbstätigen Angehörigen aufgrund der Erkrankung ihres Kindes. Dieser Wert liegt in Schreiber-Katz et al. (2014) nicht differenziert nach Krankheitsstadium vor. Wir verwenden den Wert von 14.5 Fehltagen pro Jahr deshalb für alle Krankheitsstadien und nehmen für die tägliche Arbeitszeit acht Stunden an.

Intangible Kosten

Patienten

Wir berechnen die intangiblen Kosten in Form von DALY gemäss der in Schroeder (2012) vorgeschlagenen hybriden Berechnungsmethode, die die Krankheitslast der Patienten, die aktuell mit der Krankheit leben (YLD), prävalenzbasiert und die Krankheitslast aufgrund verlorener Lebensjahre (YLL) inzidenzbasiert berechnet. Nach dieser Methode berechnen sich die DALY wie folgt:

$$DALY = YLD + YLL$$

$$YLD = P_N \times DW$$

$$YLL = T_N \times LE_T$$

YLD ... Anzahl mit Krankheit gelebte Lebensjahre

YLL ... Anzahl verlorene Lebensjahre aufgrund vorzeitigem Tod

P_N ... Prävalenz (Anzahl Fälle)

DW ... Invaliditätsgewicht (Disability Weight)

T_N ... Anzahl Todesfälle

LE_T ... durchschnittliche Lebenserwartung zum Todeszeitpunkt

Zur Berechnung verwenden wir die folgenden Daten:

- *Prävalenz*: Wir verwenden die Prävalenz pro Krankheitsstadium gemäss der Berechnung in Abschnitt 3.1
- *Invaliditätsgewicht (Disability Weight)*: Landfeldt et al. (2014) weisen als durchschnittlichen Verlust an Lebensqualität in Relation zur Bevölkerung einen Wert von 0.45 für DMD-Patienten aus.¹⁵ Die dazu verwendeten health-utility indices sind in Figure 2 zusätzlich differenziert nach Krankheitsstadium und Land ausgewiesen. Daraus berechnen wir in Kombination mit dem von den Autoren ausgewiesenen durchschnittlichen Wert für die Bevölkerung die DW nach Krankheitsstadium. Diese betragen 0.19, 0.29, 0.7 und 0.79 für die entsprechenden Krankheitsstadien in aufsteigender Reihenfolge, beginnend bei early ambulatory.
- *Anzahl Todesfälle*: In der Todesursachenstatistik des BFS sind die jährlichen Anzahl Todesfälle nach ICD-10-Code (dreistellig) ausgewiesen. DMD weist keinen eigenen ICD-10-Code auf. Der ICD-10-Code G71.0 «Muskeldystrophien» enthält z. B. auch die Becker-Muskeldystrophie (BMD). Wir nehmen an, dass 80% der Todesfälle der unter 35-jährigen und 10% der 36 bis 44-jährigen auf DMD zurückzuführen sind. Analog dem Vorgehen unter Abschnitt 3.3 berechnen wir die Anzahl Todesfälle anhand einer Durchschnittsbetrachtung der Jahre 2015 bis 2019 und den totalen Sterbezahlen aus dem Jahr 2020. Wir nehmen an, dass die Todesfälle ausschliesslich bei Patienten im letzten Krankheitsstadium auftreten.

¹⁵ Vgl. Landfeldt et al. (2014) und Siddiqi et al. (2010).

- *Lebenserwartung bei Tod:* Die Todesursachenstatistik des BFS weist ebenfalls die Altersklasse der Verstorbenen aus. Wir wählen den Median der Altersklasse. Zudem weist das BFS die durchschnittliche Lebenserwartung verschiedener Altersgruppen aus. Aus diesen zwei Werten berechnen wir die Lebenserwartung bei Tod.

Angehörige

Es ist unwahrscheinlich, dass Pflegende direkt aufgrund der Krankheit ihrer Angehörigen versterben. Plausibel sind daraus entstehende Psychosen, die zu einem verfrühten Ableben führen können. Dies abzuschätzen wäre mit zu vielen Annahmen verbunden und sollte einen geringen Teil der intangiblen Kosten ausmachen. Wir nehmen deshalb an, dass bei den Angehörigen keine Krankheitslast durch vorzeitigen Tod besteht. Die Berechnung der DALY für Angehörige reduziert sich entsprechend auf folgende Formel:

$$DALY = YLD = P_N \times DW$$

Zur Berechnung verwenden wir die folgenden Daten:

- *Prävalenz:* Hier gilt es die Anzahl Angehörige zu identifizieren, die durch die Krankheit beeinträchtigt sind. Dazu besteht keine uns bekannte Literatur. Wir nehmen an, dass jeder Patient eine direkte Pflegeperson hat, dessen Lebensqualität beeinträchtigt ist. Ob diese Annahme zu einer Unter- oder Überschätzung der intangiblen Kosten führt, ist schwierig zu beantworten. Einerseits ist es sehr individuell, wie die Pflegenden von der Krankheit der Angehörigen betroffen sind, andererseits ist oft die ganze Familie von der Erkrankung eines Familienmitglieds negativ betroffen.
- *Invaliditätsgewicht (Disability Weight, DW):* Zur Berechnung der DW halten wir uns an die vorgeschlagene Methode in Siddiqi et al. (2010) und Landfeldt et al. (2014) und berechnen die DW als Abweichung der krankheitsspezifischen EQ-5D utility scores von den durchschnittlichen Werten in der Bevölkerung. Landfeldt et al. (2016) weisen in ihrer Befragung von 770 DMD-Pflegenden EQ-5D utility scores differenziert nach Krankheitsstadium der Patienten aus. Die DW können folglich durch Subtraktion der EQ-5D-Werte vom Durchschnitt der Bevölkerung berechnet werden. Daraus resultieren DW von 0.09 für early ambulatory, 0.11 für late ambulatory, 0.17 für early non-ambulatory und 0.15 für late non-ambulatory.

Übertragung ausländischer Kostenstudien

Bei der Übertragung von Ergebnissen aus ausländischen Studien auf die Schweiz gilt es zu berücksichtigen, dass sich sowohl der Preis als auch die Menge einer Leistung zwischen den Ländern unterscheiden kann. Entsprechend muss eine *Preis- und/oder Mengenkorrektur* vorgenommen werden. Zudem ist bei nicht aktuellen Daten die *Entwicklung über die Zeit* zu berücksichtigen.

1. Die Länder unterscheiden sich in der *Menge der konsumierten Leistungen*. Die Mengenkorrektur ist nötig, wenn Patienten mit der gleichen Krankheit im Ausland mehr oder weniger Gesundheitsleistungen als in der Schweiz erhalten. Das Ausmass der Mengenkorrektur wird anhand der OECD Statistik der kaufkraftbereinigten Pro-Kopf-Gesundheitsausgaben¹⁶ bestimmt. Kaufkraftbereinigt heisst, dass diese Statistik die Preisunterschiede zwischen den

¹⁶ Vgl. https://stats.oecd.org/Index.aspx?DataSetCode=HEALTH_PROC, zuletzt aufgerufen am 17.01.2022

Ländern neutralisiert, indem sie alle Kosten zu US-amerikanischen Preisen berechnet. Die Unterschiede in den Kosten sind so allein auf Unterschiede in den Mengen der in Anspruch genommenen Leistungen zurückzuführen.

2. *Preiskorrektur*: Die Länder unterscheiden sich in den *Preisen der (Gesundheits-)leistungen*. So sind z. B. die Preise einer qualitativ gleichwertigen ärztlichen Behandlung oder eines gleichen Medikaments in der Schweiz höher als in den meisten anderen Ländern. Der Preiskorrekturfaktor entspricht dem Verhältnis der Preise eines identischen Produkts in zwei Ländern. Dieses Verhältnis wird Kaufkraftparität (PPP) genannt.
3. Die Kosten verändern sich *über die Zeit*, da die Preise und die Mengen der Leistungen von Jahr zu Jahr zu- oder abnehmen.

Daraus ergibt sich folgendes Vorgehen:

- **Direkte medizinische Kosten:** *Preiskorrektur* mit den PPP der Gesundheitspflege für das Jahr, in dem die Studie durchgeführt wurde (z. B. 2017).¹⁷ *Mengenkorrektur* mit den kaufkraftbereinigten Pro-Kopf-Gesundheitsausgaben der OECD Statistik. Durch die Kaufkraftbereinigung sind die Unterschiede in den Kosten allein auf Unterschiede in den Mengen der in Anspruch genommenen Leistungen zurückzuführen. Die Preis- und mengenkorrigierten Kosten werden danach mit den jährlichen Wachstumsraten der Kosten des Gesundheitswesens auf das Jahr 2020 hochgerechnet.¹⁸
- **Direkte nichtmedizinische Kosten:** *Preiskorrektur* mit PPP des BIP für das Jahr, in dem die Studie durchgeführt wurde. Hochrechnung auf 2020 mit der Entwicklung des Landesindex der Konsumentenpreise (LIK) der Schweiz.¹⁹
- **Indirekte Kosten:** *Preiskorrektur* mit den Arbeitskosten pro geleistete Arbeitsstunde.²⁰ Hochrechnung auf 2020 mit der Entwicklung des Nominallohnindex der Schweiz.²¹
- **Intangible Kosten:** *Keine* Umrechnung der DALY notwendig.

¹⁷ Vgl. <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/kataloge-datenbanken/tabellen.assetdetail.20584053.html>, zuletzt aufgerufen am 17.01.2022

¹⁸ Vgl. <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/gesundheit/kosten-finanzierung/kosten.assetdetail.19324679.html>, zuletzt aufgerufen am 17.01.2022.

¹⁹ Vgl. <https://www.bfs.admin.ch/asset/de/cc-d-05.02.08.>, zuletzt aufgerufen am 17.01.2022.

²⁰ Vgl. <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/arbeit-erwerb/loehne-erwerbseinkommen-arbeitskosten/arbeitskosten.assetdetail.13027091.html>, zuletzt aufgerufen am 17.01.2022.

²¹ Vgl. <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/arbeit-erwerb/loehne-erwerbseinkommen-arbeitskosten/lohnentwicklung.assetdetail.16904729.html>, zuletzt aufgerufen am 17.01.2022.

7 Literatur

- Becker, T. (2011). Soziale Kosten des Glücksspiels in Deutschland. Lang. https://gluecksspiel.uni-hohenheim.de/fileadmin/einrichtungen/gluecksspiel/Oekonomie/SozialeKosten-DesGluecksspiels_Internet.pdf
- Broomfield, J., Hill, M., Guglieri, M., Crowther, M., & Abrams, K. (2021). Life Expectancy in Duchenne Muscular Dystrophy: Reproduced Individual Patient Data Meta-analysis. *Neurology*, 97(23), e2304–e2314. <https://doi.org/10.1212/WNL.0000000000012910>
- Bundesamt für Statistik BFS. (2020). Struktur der Arbeitskosten je geleistete Stunde nach Wirtschaftsabschnitten. <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/arbeit-erwerb/loehne-erwerbseinkommen-arbeitskosten/arbeitskosten.assetdetail.13027089.html>
- Bundesamt für Statistik BFS. (2021a). Kosten und Finanzierung des Verkehrs (KFV). <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/kataloge-datenbanken/tabellen.assetdetail.19704176.html>
- Bundesamt für Statistik BFS. (2021b). Mietwohnungen. <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/bau-wohnungswesen/wohnungen/mietwohnungen.html>
- Bundesamt für Statistik BFS. (2021c). Schweizerischer Lohnindex nach Sektor: Index und Veränderung auf der Basis 1993 = 100. <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/arbeit-erwerb/loehne-erwerbseinkommen-arbeitskosten/lohnentwicklung.assetdetail.16904729.html>
- Bundesamt für Statistik BFS. (2022). Landesindex der Konsumentenpreise—Mietpreisindex. <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/preise/mieten/index.html>
- Bundesamt für Statistik BFS, & Bundesamt für Raumentwicklung ARE. (2017). Mikrozensus Mobilität und Verkehr (MZMV). <https://www.are.admin.ch/mzmv>
- Bushby, K., Finkel, R., Birnkrant, D. J., Case, L. E., Clemens, P. R., Cripe, L., Kaul, A., Kinnett, K., McDonald, C., Pandya, S., Poysky, J., Shapiro, F., Tomezsko, J., & Constantin, C. (2010). Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 1: Diagnosis, and pharmacological and psychosocial management. *The Lancet Neurology*, 9(1), 77–93. [https://doi.org/10.1016/S1474-4422\(09\)70271-6](https://doi.org/10.1016/S1474-4422(09)70271-6)
- Cavazza, M., Kodra, Y., Armeni, P., De Santis, M., López-Bastida, J., Linertová, R., Oliva-Moreno, J., Serrano-Aguilar, P., Posada-de-la-Paz, M., Taruscio, D., Schieppati, A., Iskrov, G., Péntek, M., von der Schulenburg, J. M. G., Kanavos, P., Chevreul, K., Persson, U., & Fattore, G. (2016). Social/economic costs and health-related quality of life in patients with Duchenne muscular dystrophy in Europe. *The European Journal of Health Economics*, 17(S1), 19–29. <https://doi.org/10.1007/s10198-016-0782-5>
- Cosandey, J., Roten, N., & Rutz, S. (2018). Gesunde Spitalpolitik – Mehr Transparenz, mehr Patientensouveränität, weniger „Kantönlicheist“. *Avenir Suisse*. www.avenir-suisse.ch/publication/gesunde-spitalpolitik/
- Cowen, L., Mancini, M., Martin, A., Lucas, A., & Donovan, J. M. (2019). Variability and trends in corticosteroid use by male United States participants with Duchenne muscular dystrophy in the Duchenne Registry. *BMC Neurology*, 19(1), 84. <https://doi.org/10.1186/s12883-019-1304-8>

- Crisafulli, S., Sultana, J., Fontana, A., Salvo, F., Messina, S., & Trifirò, G. (2020). Global epidemiology of Duchenne muscular dystrophy: An updated systematic review and meta-analysis. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 15(1), 141. <https://doi.org/10.1186/s13023-020-01430-8>
- Eidgenössischen Departement des Innern (EDI). (2020). Mittel- und Gegenständeliste (MiGeL). <https://www.bag.admin.ch/dam/bag/de/dokumente/kuv-leistungen/Mittel-%20und%20Gegenst%C3%A4ndeliste/migel01102021uncorr.pdf.download.pdf/Mittel-und%20Gegenst%C3%A4ndeliste%20vom%2001.10.2021.pdf>
- Kohler, M., Clarenbach, C. F., Bahler, C., Brack, T., Russi, E. W., & Bloch, K. E. (2009). Disability and survival in Duchenne muscular dystrophy. *Journal of Neurology, Neurosurgery & Psychiatry*, 80(3), 320. <https://doi.org/10.1136/jnnp.2007.141721>
- Koopmanschap, M. A., & van Ineveld, B. M. (1992). Towards a New Approach for Estimating Indirect Costs of Disease. *Social Science & Medicine*, 34(9), 1005–1010. [https://doi.org/10.1016/0277-9536\(92\)90131-9](https://doi.org/10.1016/0277-9536(92)90131-9)
- Landfeldt, E., Lindgren, P., Bell, C. F., Guglieri, M., Straub, V., Lochmüller, H., & Bushby, K. (2016). Quantifying the burden of caregiving in Duchenne muscular dystrophy. *Journal of Neurology*, 263(5), 906–915. <https://doi.org/10.1007/s00415-016-8080-9>
- Landfeldt, E., Lindgren, P., Bell, C. F., Schmitt, C., Guglieri, M., Straub, V., Lochmüller, H., & Bushby, K. (2014). The burden of Duchenne muscular dystrophy: An international, cross-sectional study. *Neurology*, 83(6), 529–536. <https://doi.org/10.1212/WNL.0000000000000669>
- Landfeldt, E., Thompson, R., Sejersen, T., McMillan, H. J., Kirschner, J., & Lochmüller, H. (2020). Life expectancy at birth in Duchenne muscular dystrophy: A systematic review and meta-analysis. *European Journal of Epidemiology*, 35(7), 643–653. <https://doi.org/10.1007/s10654-020-00613-8>
- Manzur, A. Y., Kuntzer, T., Pike, M., & Swan, A. V. (2008). Glucocorticoid corticosteroids for Duchenne muscular dystrophy (S. CD003725.pub3). John Wiley & Sons, Ltd. <https://doi.org/10.1002/14651858.CD003725.pub3>
- Schreiber-Katz, O., Klug, C., Thiele, S., Schorling, E., Zowe, J., Reilich, P., Nagels, K. H., & Walter, M. C. (2014). Comparative cost of illness analysis and assessment of health care burden of Duchenne and Becker muscular dystrophies in Germany. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 9(1), 210. <https://doi.org/10.1186/s13023-014-0210-9>
- Schroeder, S. A. (2012). Incidence, prevalence, and hybrid approaches to calculating disability-adjusted life years. *Population Health Metrics*, 10(1), 19. <https://doi.org/10.1186/1478-7954-10-19>
- Schweizerische Konferenz für Sozialhilfe SKOS. (2021). Anpassung des Grundbedarfs (GBL) an die Preis- und Lohnentwicklung. https://skos.ch/fileadmin/user_upload/skos_main/public/pdf/richtlinien/teuerung/2021_GBL_Anpassung_Preis-Lohnpolitik_Jan_21.pdf
- Schweizerischen Gesellschaft für Pädiatrie. (2012). Wachstumskurven. https://cdn.paediatrie-schweiz.ch/production/uploads/2020/05/Perzentilen_2012_09_15_SGP_d-1.pdf

- Siddiqi, A.-A., Ebrahim, S. H., Soucie, J. M., Parker, C. S., & Atrash, H. K. (2010). Burden of Disease Resulting from Hemophilia in the U.S. *American Journal of Preventive Medicine*, 38(4), S482–S488. <https://doi.org/10.1016/j.amepre.2009.12.016>
- Steinmann, M., Scholz, S., Greiner, W., & Ultsch, B. (2018). Human Capital vs Friction Cost Approach—Differences in the Presence of Death and Long-term Consequences. *Value in Health*, 21, S361. <https://doi.org/10.1016/j.jval.2018.09.2156>
- Swiss Registry for Neuromuscular Disorders. (2021). Annual report for 2020. https://www.swiss-reg-nmd.ch/wp-content/uploads/sites/17/Swiss-Reg-NMD_2020_Annual_ReportWebsite.pdf
- Teoh, L. J., Geelhoed, E. A., Bayley, K., Leonard, H., & Laing, N. G. (2016). Health care utilization and costs for children and adults with duchenne muscular dystrophy: Healthcare Costs in DMD. *Muscle & Nerve*, 53(6), 877–884. <https://doi.org/10.1002/mus.24965>
- van den Hout, W. B. (2010). The Value of Productivity: Human-Capital versus Friction-Cost Method. *Annals of the Rheumatic Diseases*, 69(Suppl 1), i89-91. <https://doi.org/10.1136/ard.2009.117150>
- Zentralstelle für Medizinaltarife UVG (ZMT). (2021). Leistungskatalog Rollstuhltarif. https://www.mtk-ctm.ch/fileadmin/user_upload/tarife/Rollstuhlversorgung/01_deutsch/tariff_337_d.pdf
- Zhang, W., & Anis, A. H. (2011). The Economic Burden of Rheumatoid Arthritis: Beyond Health Care Costs. *Clinical Rheumatology*, 30(Suppl. 1), 25–32. <https://doi.org/10.1007/s10067-010-1637-6>

Polynomics AG
Baslerstrasse 44
CH-4600 Olten

www.polynomics.ch
polynomics@polynomics.ch

Telefon +41 62 205 15 70