



Die gesellschaftlichen Kosten der schweren Hämophilie A und B bei Erwachsenen in der Schweiz

Schlussbericht

Analyse im Auftrag von Pfizer AG



Die gesellschaftlichen Kosten der schweren Hämophilie A und B bei Erwachsenen 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	9
3.3 Indirekte Kosten	11
3.4 Intangible Kosten	13
4 Resultate	14
4.1 Prävalenz	14
4.2 Direkte Kosten	14
4.3 Indirekte Kosten	16
4.4 Intangible Kosten	16
4.5 Sensitivität und Plausibilisierung	17
5 Fazit	19
6 Anhang	20
7 Literatur	23

Abkürzungsverzeichnis

BIP	Bruttoinlandprodukt
DALY	Disability-adjusted life year (gesunde Lebensjahre)
DRG	Diagnosis related group
DW	Disability weight (Invaliditätsgewicht)
FKA	Friktionskostenansatz
GBD	Global Burden of Disease
HA	Hämophilie A
HB	Hämophilie B
IE	Internationale Einheiten
HKA	Humankapitalansatz
LIK	Landesindex der Konsumentenpreise
LSE	Lohnstrukturerhebung
OKP	Obligatorische Krankenpflegeversicherung
PPP	Kaufkraftparität
SHN	Schweizerisches Hämophilienetzwerk
TQV	Therapeutischer Quervergleich
vWD	von-Willebrand-Syndrom
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 der schweren Hämophilie bei Erwachsenen in der Schweiz berechnet. Dabei ermittelten wir die direkten, indirekten und intangiblen Kosten unterschieden nach Hämophilie A und B. Während Preisangaben grossmehrfach verfügbar waren, mussten sowohl Mengenangaben als auch spezifische Kosten aufgrund ihrer sehr eingeschränkten Verfügbarkeit aus internationalen Kostenstudien oder ausländischen Patientenregistern übernommen werden.

Die Haupteigenschaften unserer Berechnung sind:

- Die Kosten der schweren Hämophilie bei Erwachsenen in der Schweiz betragen 2020 54.9 Mio. CHF (vgl. Tabelle 1),
- davon waren 93% respektive 51.1 Mio. CHF Kosten der Faktortherapie (Prophylaxe oder Behandlung nach Bedarf).
- Die Kosten bei Erwachsenen mit schwerer Hämophilie A betragen im Jahr 2020 50.0 Mio. CHF, die der Hämophilie B 4.9 Mio. CHF. Dies ist insbesondere auf die unterschiedliche Prävalenz jedoch auch auf unterschiedliche Kosten der Faktortherapie zurückzuführen.
- Die Faktortherapie der schweren Hämophilie A kostete pro erwachsener Patient im Durchschnitt 244'600 CHF, die der schweren Hämophilie B 150'300 CHF. Der Unterschied in den beiden Beträgen ist auf die Anzahl Faktoreinheiten pro Patient zurückzuführen.
- Die indirekten Kosten fielen mit insgesamt 2.9 Mio. CHF relativ zu den Gesamtkosten niedrig aus.
- Indirekte Kosten entstanden insbesondere durch Absentismus, d. h. dem krankheitsbedingten Fernbleiben der Patienten vom Arbeitsplatz respektive dem Arbeitsmarkt. Indirekte Kosten durch vorzeitigen Tod waren vernachlässigbar klein respektive bei Hämophilie B nicht vorhanden.

Tabelle 1 Gesellschaftliche Kosten der schweren Hämophilie A und B bei Erwachsenen (in Mio. CHF), 2020

	Hämophilie A	Hämophilie B	Total
Total direkte Kosten	47.4	4.6	52.0
davon Faktorprodukte	46.7	4.4	51.1
Total indirekte Kosten	2.6	0.4	2.9
Total direkte und indirekte Kosten	50.0	4.9	54.9

Anmerkung: Abweichungen der Summe der Einzelwerte bestehen aufgrund Rundungsdifferenzen.

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

Die gesellschaftlichen Kosten widerspiegeln die derzeitige Behandlung der Hämophilie in der Schweiz. Dank den heutigen Faktorprodukten, die entweder in Form einer Prophylaxe oder nach Bedarf verabreicht werden, können die Erkrankten ein weitaus normales Leben führen. Erkrankte versterben nicht mehr vorzeitig aufgrund der Krankheit respektive wie in früheren Jahren durch Blutplasma übertragene Krankheiten wie HIV oder Hepatitis C. Entsprechend gering fallen die

indirekten Kosten aus. Gleichzeitig betragen die durchschnittlichen jährlichen Kosten der Faktorthherapie im Jahr 2020 231'900 CHF pro Patient. Diese Kosten werden komplett von der obligatorischen Krankenversicherung getragen.

2 Einleitung

Hämophilie ist eine seltene genetische **Störung der Blutgerinnung**. Sie ist X-chromosomal vererbt und betrifft folglich (fast) ausschliesslich männliche Personen. Menschen, die von dieser Krankheit betroffen sind, bluten nach Verletzungen länger oder erleiden bereits bei wenig Belastung spontane Blutungen. Die Häufigkeit und Art der Beschwerden ist je nach Schweregrad der Erkrankung unterschiedlich. Der Schweregrad ist abhängig von der Restaktivität des Gerinnungsfaktors. So haben Personen mit schwerer Hämophilie beispielsweise eine Restaktivität von weniger als einem Prozent. Es gibt zwei Haupttypen der Hämophilie: die Hämophilie A und die Hämophilie B, die durch eine niedrigere Aktivität des Gerinnungsfaktors VIII bzw. des Faktors IX charakterisiert sind.

Aktuell wird die Hämophilie durch die Gabe von Faktorpräparaten behandelt.¹ Je nach Schweregrad der Krankheit, den Lebensumständen bzw. -gewohnheiten und den Bedürfnissen der Patienten, werden diese entweder als Prophylaxe oder nach Bedarf verabreicht. Für Patienten mit schwerer Hämophilie wird die Prophylaxe empfohlen. Diese ermöglicht den Betroffenen einen weitgehend uneingeschränkten Alltag und Lebensverlauf. Die Prophylaxe bedingt jedoch das regelmässige Spritzen von Faktorprodukten, was mit modernen Produkten mit verlängerter Halbwertszeit alle 10-14 Tage stattfinden muss.

Das Ziel der vorliegenden Studie ist, die **gesellschaftlichen Kosten** der schweren Hämophilie A und B bei Erwachsenen in der Schweiz zu ermitteln. Die gesellschaftlichen Kosten unterteilen sich in direkte, indirekte und intangible Kosten.

Die **direkten Kosten** sind die Summe aus medizinischen und nichtmedizinischen 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 nichtmedizinischen 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 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.

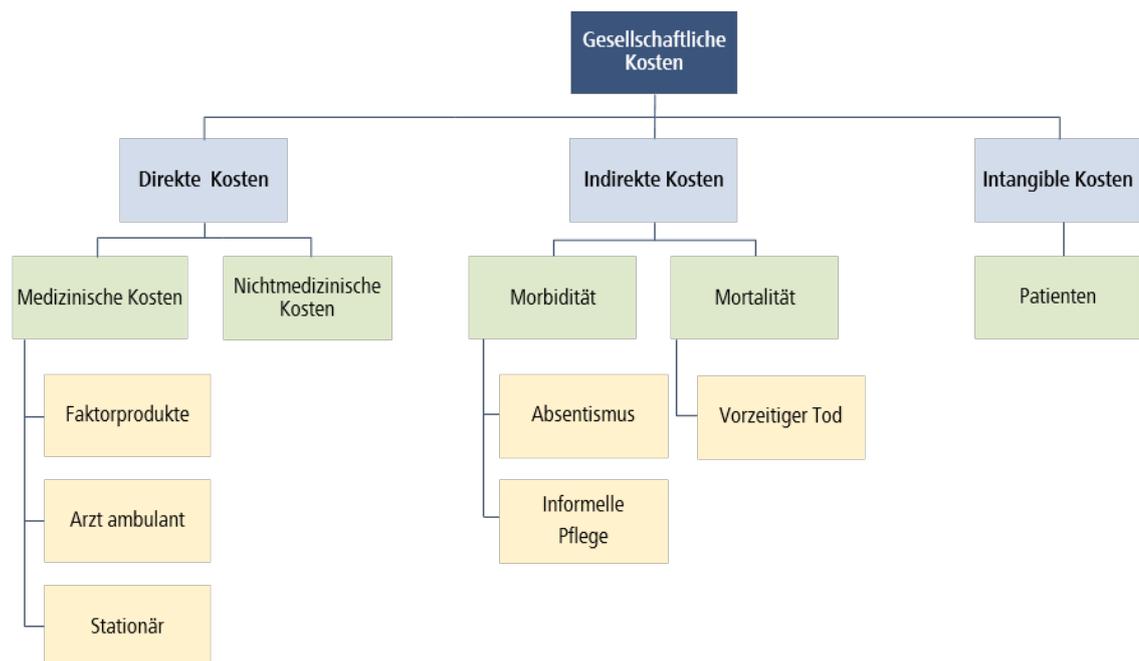
Intangible Kosten sind krankheitsbedingte Nutzeneinbussen, die aber selbst keinen Ressourcenverbrauch aufweisen, d. h. sie sind nicht (direkt) mit Marktpreisen zu bewerten. Dazu zählen vor allem Schmerz und Leid, aber auch Stress oder die Einschränkung von individueller Freiheit etwa

¹ Zur Behandlung der Hämophilie A wird in der Schweiz seit 2019 Hemlibra® durch die obligatorische Krankenpflegeversicherung (OKP) vergütet. Hemlibra® ist ein bispezifischer monoklonaler Antikörper der subkutan injiziert wird. Hemlibra® unterliegt einer befristeten Limitation (aktuell noch bis 31.05.2022) und wird nur bei einer eingeschränkten Patientenpopulation (u. a. Prophylaxe der schweren Hämophilie A) durch die OKP vergütet.

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 Hämophilie zu bestimmen, haben wir in einem ersten Schritt internationale Krankheitskostenstudien systematisch nach den berücksichtigten Kostenkomponenten durchsucht und diese danach konsolidiert. Abbildung 1 zeigt die Kostenkomponenten, die wir bei der Berechnung berücksichtigen.

Abbildung 1 Kostenkomponenten der Hämophilie



Quelle: Eigene Darstellung Polynomics.

In Bezug auf Hämophilie fallen **direkte medizinische Kosten** in Form von Arztleistungen, stationären Spitalaufenthalten und insbesondere Faktorprodukten an. Vereinzelt fallen auch Kosten ausserhalb des Gesundheitswesens an, die direkt in Zusammenhang mit der Behandlung stehen – sogenannte **direkte nichtmedizinische Kosten**.

Indirekte Kosten entstehen bei der Hämophilie aufgrund krankheitsbedingter Ausfälle am Arbeitsplatz, z. B. durch spontane Blutungen oder medizinische Interventionen. Vereinzelt kann die Krankheit auch zu einem frühzeitigen Tod führen. Auf Seite der Angehörigen entstehen trotz weitgehender Beschwerdefreiheit der Patienten indirekte Kosten durch informelle Pflege.

Intangible Kosten, d. h. Schmerz, Leid und eine eingeschränkte Lebensqualität treten bei Hämophilie fast ausschliesslich bei den Patienten selbst auf.

Wir berechnen die gesellschaftlichen Kosten prävalenzbasiert für das Jahr 2020, d. h. wir ermitteln die Gesamtkosten, die der Gesellschaft im Jahr 2020 aufgrund der schweren Hämophilie A respektive B bei Erwachsenen 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 der schweren Hämophilie bei Erwachsenen in der Schweiz stützen wir uns wo immer möglich auf schweizerischen Datenquellen ab und berechnen die Kosten bottom-up, d. h. die Kostenkomponenten der untersten Ebene (gelbe Kästen in Abbildung 1). Stehen keine schweizerischen Kosteninformationen zur Verfügung, berechnen wir die Kosten anhand Schweizer Preisinformationen kombiniert mit Mengenangaben aus der internationalen Literatur. Falls auch keine Mengenangaben in der internationalen Literatur zu finden 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

Die Prävalenz der schweren Hämophilie A (HA) und B (HB) bei erwachsenen Personen ermitteln wir mit Hilfe der Bevölkerungsstatistik der ständigen Wohnbevölkerung des Bundesamts für Statistik BFS (2021b), der Anzahl Patienten in der Schweiz und dem Anteil dieser Patienten mit schwerer Form gemäss von der Weid (2013). In einem ersten Schritt berechnen wir die Prävalenz von Hämophilie A und B anhand der Anzahl Patienten gemäss von der Weid (2013) und der ständigen Wohnbevölkerung im Datenjahr der obigen Studie, sprich 2012. Laut Expertenaussage sollten sich weder die Prävalenz, noch der Anteil pro Schweregrad über die Zeit und zwischen den Ländern unterscheiden. Entsprechend berechnen wir die Anzahl Patienten mit schwerer Hämophilie A und B bei Erwachsenen anhand der oben berechneten Prävalenz, der über 18-jährigen ständigen Wohnbevölkerung im Jahre 2020 und dem Anteil Patienten mit schwerer Form gemäss von der Weid (2013). Die Studie von von der Weid (2013) basiert auf einem Patientenregister, welches typischerweise keine Vollerhebungen enthält. Entsprechend kann die Datenqualität zwischen den Jahren und verschiedenen Registern variieren. Als Sensitivitätsanalyse unserer Berechnung vergleichen wir deshalb unsere Daten mit den Daten des österreichischen Hämophileregisters zu Anzahl Hämophiliepatienten und Anteil Patienten mit schwerer Hämophilie (vgl. Rejtó et al., 2019; World Federation of Haemophilia, 2020). Das Schweizer und das österreichische Hämophileregister sind gemäss Expertenaussage innerhalb Europas am umfassendsten.² Der Vergleich der Prävalenzzahlen und der Patientenanteile nach Schweregrad zeigt entsprechend eine starke Ähnlichkeit (vgl. Abschnitt 4.1).

3.2 Direkte Kosten

Medizinische Kosten

Medizinische Kosten entstehen durch die Therapie mit Gerinnungsfaktoren, die ambulante ärztliche Betreuung der Betroffenen und stationäre Spitalaufenthalte. Zur Berechnung der Kosten durch die **Faktortherapie** verwenden wir die durchschnittliche Anzahl Faktoreinheiten pro erwachsenen Patienten mit schwerer Hämophilie differenziert nach plasmatischen und rekombinanten Faktoren der Jahre 2015 bis 2019 des deutschen Hämophileregisters. Das deutsche Hämophileregister ist die einzige Datenquelle, welche den Faktorverbrauch in diesem Detaillierungsgrad ausweist. Als Preis verwenden wir die per 01.12.2020 publizierten Publikumspreise der SL

² Insbesondere in den Jahren des Registeraufbaus.

und berechnen für Hämophilie A respektive Hämophilie B einen gewichteten Mittelwert der plas-matischen und rekombinanten Faktorprodukte mit mindesten 1'000 IE.³ Als Gewicht verwenden wir die Anteile der zwei Produkttypen am Gesamtverbrauch (pro Krankheit) im Jahr 2020 in der Schweiz gemäss der Erhebung des Schweizerischen Hämophilie Netzwerks (SHN).⁴ Daraus be-rechnen wir die Kosten pro Patient. Mit diesem Vorgehen treffen wir die Annahme, dass sich sowohl die Prophylaxebehandlung als auch die Prophylaxerate unter den erwachsenen, schweren Hämophilen zwischen der Schweiz und Deutschland nicht unterscheiden. Gemäss von der Weid (2013) betrug die Prophylaxerate der Erwachsenen mit schwerer Hämophilie in der Schweiz 2011/2012 zwischen 10 und 20%. Gemäss Arnheim (2019) betrug die Prophylaxerate bei Er-wachsenen in Deutschland bei der schweren Hämophilie 2015 rund 80%. Für die Schweiz wird eine aktualisierte Publikation im Verlauf des Jahres 2022 erwartet. In Anbetracht der aktuell ver-fügbaren Zahlen überschätzen wir die Kosten der Faktorprodukte vermutlich relativ stark auf-grund der direkten Verwendung der Angaben aus Deutschland. Deshalb plausibilisieren wir un-sere Resultate in Abschnitt 4.5 unter Verwendung der Daten des SHN und dem Resultat des the-rapeutischen Quervergleichs der Prophylaxe des Bundesamts für Gesundheit (BAG).

Bei der Hämophilie A berücksichtigen wir zusätzlich die abgegebenen Einheiten von Emicizu-mab (Hemlibra[®]) gemäss Erhebung des SHN. Die Kosten von Hemlibra werden in der OKP nur bei Patienten mit milder oder moderater Hämophilie A mit Hemmkörpern und bei Patienten mit schwerer Hämophilie A ohne Hemmkörper vergütet. Gemäss den Zahlen des deutschen Hämop-hileregisters ist die Anzahl Patienten mit Hemmkörper (bei allen Schweregraden) vernachläss-igbar klein. Wir nehmen deshalb an, dass 95% der abgegebenen Einheiten an Patienten mit schwerer Hämophilie verabreicht werden und davon 40% bei Erwachsenen.

Zur Berechnung der **ärztlichen Kosten** verwenden wir die Anzahl Arztbesuche pro Jahr aus Café et al. (2019) und die Preisangaben des TARMED. Wir nehmen an, dass sich die Anzahl Arztbe-suche zwischen Hämophilie A und B nicht unterscheiden. Als Preis verwenden wir die Kosten einer halbstündigen Konsultation aufgrund des Zeittarifs der Grundleistungen.

Die Kosten der **stationären Behandlungen** ermitteln wir mit Hilfe der medizinischen Statistik der Krankenhäuser des BFS⁵. Dabei berücksichtigen wir alle Fälle, die entweder in der Haupt-oder einer Nebendiagnose den ICD-10-Code der jeweiligen Hämophilie enthalten.⁶ Weiter schliessen wir DRG aus, die nicht direkt mit Hämophilie zusammenhängen. Als Beispiel seien hier Mandeloperationen, Lymphome oder akute Bronchitis genannt. Weiter müssen wir eine An-nahme betreffend den Anteil der Patienten mit schwerer Hämophilie treffen. Diesen setzten wir bei 80% fest. Da diese Annahme arbiträr ist, wird sie zusätzlich um eine Sensitivitätsanalyse (+/- 10%) erweitert. Von den berücksichtigten Fällen summieren wir die Kostengewichte der DRG auf und multiplizieren diese mit einer durchschnittlichen Baserate über alle Spitäler. Zur Berechnung der durchschnittlichen Baserate verwenden wir die spitalindividuellen Angaben in Cosan-dey et al. (2018) für das Jahr 2017 und rechnen den Mittelwert anhand des Landesindex der Kon-sumentenpreise (LIK) auf das Jahr 2020 um.

³ Gemäss Expertenaussage kommen bei erwachsenen Hämophilen Produkte mit weniger als 1'000 IE sehr selten zum Einsatz.

⁴ Das SHN führt jährlich eine Befragung bei den Herstellern betreffend deren Abverkaufsmengen von Faktoreinheiten durch. Die Daten wurden uns von Pfizer zur Verfügung gestellt.

⁵ Vgl. <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/gesundheit/erhebungen/ms.html>. Die verwendeten Daten wurden individuell beim BFS angefragt.

⁶ Hämophilie A entspricht dem ICD-10-Code D66, Hämophilie B dem ICD-10-Code D67.

Unter SwissDRG werden Faktorpräparate, die bei stationären Aufenthalten anfallen, über ein sogenanntes Zusatzentgelt separat vergütet. Die Kosten sind entsprechend nicht in der Fallpauschale und auch nicht in unserer Berechnung enthalten. Die notwendigen Informationen zur Berechnung liegen jedoch nicht vor. Entsprechend unterschätzen wir mit dem gewählten Vorgehen die stationären Kosten der Hämophilie. Faktorpräparate können auch bei DRG, die nicht direkt mit Hämophilie in Verbindung stehen zur Anwendung kommen, da die Betroffenen beispielsweise bei einer Operation präventiv versorgt werden. Dies führt zu einer weiteren Unterschätzung der Kosten.

Nichtmedizinische Kosten

Im Zusammenhang mit Hämophilie A und B treten nichtmedizinischen Kosten eher selten auf. Vorstellbar sind Kosten für Hilfsmittel oder Geräte, welche die Patienten bei der (Prophylaxe-)Behandlung zuhause unterstützen, Transportkosten, die bei der Reise zu Arzt- oder Spitalbesuchen entstehen, oder eine Assistenz oder soziale Dienstleistung, welche die Patienten im Alltag beanspruchen. Eine genaue Berechnung der einzelnen Positionen ist aufgrund der verfügbaren Daten nicht realisierbar. Wir übertragen die Resultate der direkten nichtmedizinischen Kosten aus Burke et al. (2021), die die gesellschaftlichen Kosten der schweren Hämophilie B in der USA untersuchten. Dazu führen wir eine Kaufkraftbereinigung und eine Umrechnung auf das Jahr 2020 durch (vgl. die detaillierten Informationen im Anhang). Weiter nehmen wir an, dass die Kosten pro Patienten für Hämophilie A identisch sind.

3.3 Indirekte Kosten

Morbidität

Produktivitätsverluste aufgrund Morbidität fallen einerseits beim Patienten selbst und andererseits bei Angehörigen oder Bekannten an. Die beim Patienten anfallenden Produktivitätsverluste werden in Präsentismus und Absentismus unterteilt. Die bei den Angehörigen und Bekannten anfallenden Produktivitätsverluste werden unter informeller Pflege zusammengefasst, wobei auch diese grundsätzlich aufgrund Präsentismus und Absentismus der Pflegenden entstehen.

Präsentismus beschreibt die anfallenden Produktivitätsverluste bei Anwesenheit des Patienten am Arbeitsplatz. Können Patienten am Arbeitsplatz erscheinen, sollte die Arbeitsproduktivität in der Regel aufgrund der Hämophilie nicht beeinträchtigt sein. Wir verzichten deshalb auf die Berechnung der indirekten Kosten aufgrund Präsentismus.

Zur Berechnung der Produktivitätsverluste aufgrund **Absentismus** verwenden wir die IV-Statistik des Bundesamts für Sozialversicherung (BSV).⁷ Wir berücksichtigen die Anzahl Bezüger differenziert nach Rentengrad mit dem Geburtsgebrechen 324 «Angeborene Koagulopathien und Thrombozytopathien (Hämophilien und andere Defekte von Gerinnungsfaktoren)». Dieses Geburtsgebrechen enthält neben Patienten mit Hämophilie A und B auch das von-Willebrand-Syndrom (vWD), welches die häufigste Blutgerinnungsstörung ist. Zudem sind andere, sehr seltene Krankheiten (Prävalenz 1:1'000'000) enthalten. Personen mit vWD oder milder respektive moderater Hämophilieform sind sehr selten in Ihrer Erwerbsfähigkeit eingeschränkt. Wir nehmen deshalb an, dass 90% der Rentenbezüger an schwerer Hämophilie A oder B erkrankt sind und variieren diese Annahme in einer Sensitivitätsanalyse um +/- 5%. 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

⁷ Vgl. <https://www.bsv.admin.ch/bsv/de/home/sozialversicherungen/iv/statistik.html>. Die verwendeten Daten wurden individuell beim Bundesamt für Sozialversicherungen BSV angefragt.

Statistik BFS (2021b) auf das Jahr 2020 um.⁸ Die Kosten berechnen wir anhand des Humankapitalansatzes (HKA) und zeigen in der Sensitivitätsanalyse den Effekt des Friktionskostenansatzes (FKA). Eine detaillierte Beschreibung der zwei Ansätze findet sich im Anhang. Die berechneten Kosten teilen wir anhand des Verhältnisses der Prävalenz der Hämophilie A und B auf die beiden Krankheiten auf.

Zur Berechnung der Kosten durch **informelle Pflege** verwenden wir den Anteil Patienten, die eine informelle Pflegeperson haben, aus Brown et al. (2020). Die Autoren verwenden europäische Daten von Erwachsenen mit schwerer Hämophilie A. Zusätzlich berechnen sie die wöchentlichen Pflegestunden pro Patient in drei Altersklassen. Zusammen mit den Bevölkerungszahlen der Schweiz in diesen drei Altersklassen berechnen wir die gewichtete, durchschnittliche Anzahl Pflegestunden pro Patient pro Woche. Weiter nehmen wir an, dass die Pflege während des gesamten Jahres anfällt und sich zwischen Hämophilie A und B nicht unterscheidet. Die so errechnete Anzahl Pflegestunden pro Jahr bewerten wir nach dem Ersetzungskostenansatz, d. h. dem Marktlohn für professionelle Pflege. Dazu verwenden wir die Arbeitskosten des Wirtschaftsabschnitts «Gesundheits- und Sozialwesen»⁹ 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).

Mortalität

Die mortalitätsbedingten Produktivitätsverluste können anhand der hämophiliebedingten Todesfälle und der Arbeitskosten der Lohnstrukturerhebung (LSE) sowie der Statistik des BFS zu unbezahlter Arbeit ermittelt werden.¹⁰ In der Todesursachenstatistik des BFS können wir zwar zwischen Hämophilie A und B unterscheiden, jedoch nicht zwischen dem Schweregrad der Erkrankung. Wir nehmen an, dass 90% der hämophiliebedingten Todesfälle auf die schwere Form zurückzuführen sind. Da aufgrund der Seltenheit der Krankheit und der zusätzlichen niedrigen Bevölkerungszahl der Schweiz die jährlichen Todesfälle stark variieren und somit nicht der effektiven Sterberate der Krankheit entsprechen, berechnen wir den durchschnittlichen Anteil hämophiliebedingter Todesfälle an den totalen Todesfällen der Jahre 2015-2019. Die hämophiliebedingten Todesfälle für das Jahr 2020 berechnen wir danach mit diesem Anteil und der totalen Anzahl Todesfälle aus 2020. Im genannten Zeitraum wurden insgesamt sechs Todesfälle von Männern aufgrund Hämophilie A registriert.¹¹ Es ist niemand direkt an Hämophilie B gestorben.

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 auf das Jahr 2020 um. 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. Die Kosten

⁸ Vgl. Lohnstrukturerhebung: <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/arbeit-erwerb/erhebungen/lse.html>. Die verwendeten Daten wurden individuell beim BFS angefragt.

⁹ Wirtschaftsabschnitt Q gemäss NOGA-08-Codierung.

¹⁰ Vgl. Todesursachenstatistik: <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/gesundheits/gesundheitszustand/sterblichkeit-todesursachen/spezifische.html>. Die verwendeten Daten wurden individuell beim BFS angefragt. Lohnstrukturerhebung: <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/arbeit-erwerb/erhebungen/lse.html>. Die verwendeten Daten wurden individuell beim BFS angefragt. Unbezahlte Arbeit: <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/arbeit-erwerb/erwerbstaetigkeit-arbeitszeit/vereinbarkeit-unbezahlte-arbeit.html>

¹¹ Aufgrund der X-chromosomalen Vererbung der Hämophilie ist die Inzidenz der Hämophilie bei Frauen sehr klein. Entsprechend wurden bei Frauen auch keine Todesfälle durch Hämophilie verzeichnet.

berechnen wir anhand des Humankapitalansatzes und zeigen in der Sensitivitätsberechnung den Effekt des Friktionskostenansatzes.

3.4 Intangible Kosten

Intangible Kosten messen die Krankheitslast einer Krankheit. Krankheitslast entsteht einerseits durch die eingeschränkte Lebensqualität der Patienten, andererseits durch vorzeitige Todesfälle aufgrund der Krankheit. Wir weisen die Krankheitslast in Form von verlorenen gesunden Lebensjahren, sogenannten DALY (von englisch disability-adjusted life years) aus.

Wir berechnen die DALY gemäss der in Schroeder (2012) vorgeschlagenen hybriden Berechnungsmethode, die die Krankheitslast der Patienten, die aktuell mit der Krankheit leben (years lived with disability, YLD), prävalenzbasiert und die Krankheitslast aufgrund verllorener Lebensjahre (years of life lost, YLL) inzidenzbasiert berechnet. Eine ausführliche Beschreibung der Berechnungsformel findet sich im Anhang.

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 für Hämophilie aus. Café et al. (2019) und Henrard et al. (2014) verwenden zur Berechnung der DW für Portugal respektive Belgien eine Lebensqualitätsbefragung von 71 Hämophiliepatienten aus Belgien. Das DW für Erwachsene mit schwerer Hämophilie beträgt gemäss dieser Quellen 0.197. 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 Lebenserwartung der Verstorbenen zum Todeszeitpunkt. Die Anzahl Todesfälle aufgrund Hämophilie berechnen wir wie in Abschnitt 3.3 «Mortalität» beschrieben. Die Todesursachenstatistik des BFS weist zudem die Altersklasse der Verstorbenen aus. Zusammen mit der Statistik zur durchschnittlichen Lebenserwartung pro Altersgruppe des BFS berechnen wir die Lebenserwartung bei Tod

4 Resultate

4.1 Prävalenz

Für das Jahr 2020 schätzen wir die Prävalenz der schweren Hämophilie in der Schweiz auf insgesamt 220 erwachsene Patienten. Davon leiden 191 Patienten (87%) an Hämophilie A und 30 Patienten (13%) an Hämophilie B (vgl. Tabelle 2). Wie bereits in Kapitel 2 erläutert, sollte die Prävalenz und der Anteil der schwererkrankten Hämophilen über die Zeit nicht stark variieren. Deshalb verwenden wir für unsere Berechnung die Daten aus von der Weid (2013) aus dem Jahr 2012. Die Prävalenz gemäss World Federation of Haemophilia (2020) und die Anteile gemäss Rejtő et al. (2019) aus Österreich verdeutlichen, dass die Daten relativ robust sind.

Tabelle 2 Prävalenz der schweren Hämophilie A und B bei Erwachsenen in der Schweiz, 2020

	Hämophilie A	Hämophilie B	Total
Prävalenz (BFS, 2021b; von der Weid, 2013)	0.0075%	0.0015%	0.0089%
Anzahl erwachsene Patienten 2020	530	106	636
Anteil schwere Hämophilie (von der Weid 2013)	36%	28%	35%
Anzahl Erwachsene mit schwerer Hämophilie 2020	191	30	220
Vergleich mit Register Österreich			
Prävalenz (World Federation of Haemophilia, 2020)	0.0078%	0.0016%	0.0094%
Anteil schwere Hämophilie Österreich (Rejtő et al. 2019)	37%	19%	34%
Anzahl Schweiz aufgrund Anteilen Österreich und Prävalenz Schweiz	194	20	214

Anmerkung: Abweichungen der Summe der Einzelwerte bestehen aufgrund Rundungsdifferenzen.

Quelle: Eigene Berechnungen basierend auf von der Weid (2013), Rejtő et al. (2019), BFS.

4.2 Direkte Kosten

Die totalen direkten Kosten der schweren Hämophilie bei Erwachsenen beliefen sich im Jahr 2020 auf rund 55 Mio. CHF, wobei aufgrund der deutlich höheren Prävalenz rund 91% dieser Kosten auf die Patienten mit Hämophilie A zurückzuführen sind. Die gesamten direkten Kosten für Hämophilie B belaufen sich somit auf lediglich 4.9 Mio. CHF.

In Tabelle 3 ist schnell ersichtlich, woher die hohen direkten Kosten kommen. Wie erwartet, fällt ein hoher Anteil der Kosten bei den Faktorprodukten an. Bei der Hämophilie A sind es insgesamt rund 46.7 Mio. CHF und bei der Hämophilie B rund 4.4 Mio. CHF. Diese Kosten decken 98%, respektive 97% der gesamten direkten Kosten ab. Die Kosten für die Faktorprodukte sind bei der Hämophilie A allerdings nicht ausschliesslich höher, weil die Prävalenz höher ist. Auch die Faktorkosten pro Patient fallen bei der Hämophilie A höher aus als bei der Hämophilie B (vgl. Tabelle 4). Die Kosten für Faktorprodukte liegen bei der Hämophilie A rund 63% über denen der Hämophilie B. Dies ist auf die gemäss deutschem Hämophileregister höhere durchschnittliche Anzahl konsumierte Faktoreinheiten bei der Hämophilie A zurückzuführen.

Die beiden weiteren Kostenkomponenten der direkten medizinischen Kosten (ambulante Arztbesuche und stationäre Spitalaufenthalte) sind vernachlässigbar klein. In der Summe machen die beiden Positionen lediglich rund ein Prozent der gesamten direkten Kosten aus. Während die stationären Kosten pro Patient für das Jahr 2020 bei der Hämophilie B etwas höher ausfallen, sind

die ambulanten Arztkosten aufgrund unserer Annahmen für beide Hämophilietypen gleich. Letztlich weisen wir noch die direkten nichtmedizinischen Kosten aus. Diese fallen jedoch ebenfalls vernachlässigbar klein aus.

Tabelle 3 **Gesellschaftliche Kosten der schweren Hämophilie A und B bei Erwachsenen (in Tausend CHF), 2020¹²**

	Hämophilie A	Hämophilie B	Total
Faktorprodukte	46'690	4'447	51'137
Arzt ambulant	52	8	60
Stationär	519	90	609
Total direkte medizinische Kosten	47'261	4'545	51'807
Total direkte nichtmedizinische Kosten	177	27	204
Total direkte Kosten	47'438	4'573	52'011
Absentismus (HKA)	1'573	244	1'817
Informelle Pflege	843	131	973
Vorzeitiger Tod (HKA)	145	0	145
Total indirekte Kosten	2'561	375	2'936
Total direkte und indirekte Kosten	50'000	4'947	54'947

Anmerkung: Abweichungen der Summe der Einzelwerte bestehen aufgrund Rundungsdifferenzen.

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

Tabelle 4 **Gesellschaftliche Kosten der schweren Hämophilie A und B bei Erwachsenen pro Patient und pro Jahr in CHF, 2020**

	Hämophilie A	Hämophilie B	Alle Patienten
Faktorprodukte	244'600	150'300	231'900
Arzt ambulant	300	300	300
Stationär	2'700	3'100	2'800
Total direkte medizinische Kosten	247'600	153'600	235'000
Total direkte nichtmedizinische Kosten	900	900	900
Total direkte Kosten	248'500	154'500	235'900
Absentismus (HKA)	8'200	8'200	8'200
Informelle Pflege	4'400	4'400	4'400
Vorzeitiger Tod (HKA)	800	0	700
Total indirekte Kosten	13'400	12'700	13'300
Total direkte und indirekte Kosten	261'900	167'200	249'200

Anmerkung: Abweichungen der Summe der Einzelwerte bestehen aufgrund Rundungsdifferenzen.

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

¹² 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.

4.3 Indirekte Kosten

Die indirekten Kosten der schweren Hämophilie bei Erwachsenen in der Schweiz beliefen sich 2020 auf rund 2.9 Mio. CHF, wobei rund 87% dieser Kosten auf die Hämophilie A zurückzuführen sind (vgl. Tabelle 3). Neben dem Absentismus (62%) bildet auch die informelle Pflege (33%) eine wichtige Kostenkomponente innerhalb der indirekten Kosten. Die Kosten aufgrund eines vorzeitigen Todes sind hingegen sehr gering, respektive bei Hämophilie B nicht vorhanden.

Aufgrund fehlender Informationen sind die beiden Positionen informelle Pflege und Absentismus für die beiden Krankheiten pro Patient identisch. So kostete die informelle Pflege unabhängig von der Krankheit 2020 pro Patient 4'400 CHF und der Absentismus 8'200 CHF.

Auch wenn es innerhalb der indirekten Kosten wichtige Kostenkomponenten gibt, sind die indirekten Kosten im Vergleich zu den direkten Kosten relativ klein. So machen die indirekten Kosten lediglich rund 5% der totalen Kosten der schweren Hämophilie bei Erwachsenen aus. Diese niedrigen Kosten sind nicht zuletzt auf die Fortschritte in der Herstellung der Faktorprodukte zurückzuführen. Einerseits durchlaufen Blutplasma heutzutage einen aufwändigen Reinigungs- und Virusinaktivierungsprozess, um das Ansteckungsrisiko mit übertragbaren Krankheiten wie HIV oder Hepatitis C zu minimieren, andererseits wurde dieses Ansteckungsrisiko mit der synthetischen Herstellung von Faktorprodukten komplett eliminiert. Personen unter Prophylaxe haben in weiten Teilen ihres alltäglichen Lebens keine Einschränkungen aufgrund der Hämophilie und weisen eine normale Lebenserwartung auf.

4.4 Intangible Kosten

Die Krankheitslast der schweren Hämophilie bei Erwachsenen betrug 2020 insgesamt 62 DALY, d. h. es gingen 62 gesunde Lebensjahre durch die eingeschränkte Lebensqualität der Patienten und durch vorzeitige Todesfälle aufgrund der Krankheit verloren (vgl. Tabelle 5). Die Krankheitslast durch Hämophilie B war mit nur sechs DALY im Vergleich zu 56 DALY bei der Hämophilie A, beinahe vernachlässigbar. Bei der Hämophilie fielen rund zwei Drittel der Krankheitslast aufgrund der eingeschränkten Lebensqualität und ein Drittel aufgrund vorzeitigen Tods an. Bei der Hämophilie B besteht keine Krankheitslast durch vorzeitigen Tod. Wir nehmen an, dass die Lebensqualität von Angehörigen nicht beeinträchtigt ist und sie somit keine Krankheitslast aufweisen.

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 Hämophilie mit 62 DALY vernachlässigbar klein, was nicht zuletzt den heutigen Therapiemöglichkeiten zu verdanken ist.

Tabelle 5 Krankheitslast in Form von DALY

	Hämophilie A	Hämophilie B	Total
Years lived with disability – YLD	38	6	43
Years of life lost – YLL	18	0	18
Total DALY	56	6	62

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.

4.5 Sensitivität und Plausibilisierung

Damit die Berechnung der gesellschaftlichen Kosten möglich war, haben wir an diversen Orten Annahmen getroffen, z. B. zu den relevanten DRG, 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. Den Fokus legen wir entsprechend auf die Kosten der Faktorprodukte und die indirekten Kosten.

Faktorprodukte

Zur Berechnung der Kosten durch Faktorprodukte haben wir die durchschnittlichen Faktoreinheiten pro Patient aus dem deutschen Hämophilieregister verwendet. Die daraus berechneten Werte plausibilisieren wir einerseits mit den Daten der Erhebung des SHN und andererseits den Resultaten des therapeutischen Quervergleichs (TQV) des BAG.

Die Erhebung des SHN weist die Gesamtmenge der Faktoreinheiten aus, die gemäss Hersteller im Jahr 2020 in der Schweiz verkauft wurde. Daraus berechnen wir (mit den durchschnittlichen Publikumspreisen der SL) die Gesamtkosten für Hämophilie A und Hämophilie B. Vergleicht man diese Gesamtkosten mit den von uns geschätzten Faktorkosten resultiert, dass 66% der Gesamtkosten durch Erwachsenen mit schwerer Hämophilie verursacht werden. Nehmen wir weiter an, dass sich die durchschnittliche Anzahl Einheiten des Faktorverbrauchs zwischen Erwachsenen und Kindern mit schwerer Hämophilie nicht unterscheidet,¹³ sind 83% der Gesamtkosten auf Patienten (Erwachsene und Kinder) mit schwerer Hämophilie zurückzuführen. Gemäss Expertenaussage werden (insbesondere erwachsene) Patienten mit milder und mittlerer Form der Hämophilie in der Regel nach Bedarf behandelt und entsprechend ist der Faktorverbrauch auch um ein Vielfaches niedriger als bei Patienten mit schwerer Hämophilie, die deutlich häufiger unter Prophylaxe stehen. Dass 83% des Faktorverbrauchs respektive der Faktorkosten durch Patienten mit schwerer Hämophilie verursacht werden, ist demzufolge nicht unplausibel.

Zur Plausibilisierung unserer Resultate verwenden wir weiter die Resultate des therapeutischen Quervergleichs (TQV) des BAG für eine prophylaktische Behandlung.¹⁴ Der TQV weist die durchschnittlichen Kosten einer Prophylaxebehandlung (gemäss Dosierung in der Fachinformation) aller verfügbaren Produkte auf der SL aus. Daraus ermitteln wir den Mittelwert. Die von uns berechneten Kosten für Faktorprodukte dividieren wir durch den mittleren TQV-Preis. Daraus erhalten wir die maximale Prophylaxerate, d. h. wenn Patienten, die nicht unter Prophylaxe stehen, gar keine Faktorprodukte konsumieren würden. Weiter unterliegt diese Berechnung der Annahme, dass die durchschnittliche Dosis und die Anwendungshäufigkeit den Werten in der Fachinformation entsprechen. Die maximale Prophylaxerate beträgt bei der Hämophilie A 71% und bei der Hämophilie B 52%. Gemäss von der Weid (2013) betrug die Prophylaxerate der Erwachsenen mit schwerer Hämophilie in der Schweiz 2011/2012 zwischen 10 und 20%. Angesichts dieser Zahlen überschätzen wir die Kosten der Faktorprodukte stark. Die Prophylaxerate

¹³ Obwohl gemäss Expertenaussage die Prophylaxerate unter den Kindern höher ist als unter Erwachsenen, ist diese Annahme plausibel, da die Anzahl Faktoreinheiten einer Behandlung in Abhängigkeit des Körpergewichts berechnet wird, und dieses bei Kindern wesentlich niedriger ist als bei Erwachsenen. Die zwei Effekte wirken gegenläufig.

¹⁴ Die Resultate des TQV wurden uns von Pfizer zur Verfügung gestellt.

sollte sich jedoch seither erhöht haben. Einerseits ist die Prophylaxerate über die Jahre bei Kindern stetig gesteigert worden. Bei Patienten die bereits im Kindesalter unter Prophylaxe standen, ist die Wahrscheinlichkeit höher diese im Erwachsenenalter aufrechtzuerhalten, als bei Erwachsenen ohne kindliche Prophylaxe. Andererseits sollten auch dank den weiterentwickelten Faktorprodukten mehr Erwachsene unter Prophylaxe stehen als früher. In welchem Ausmass diese zwei Effekte die Prophylaxerate in der Schweiz erhöht haben ist jedoch aktuell nicht abschätzbar. Eine aktualisierte Publikation zur Prophylaxerate in der Schweiz wird im Verlauf von 2022 erwartet.

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 6 Kosten von Absentismus und vorzeitigem Tod aufgrund Humankapital- und Friktionskostenansatz (in Tausend CHF)

		Hämophilie A	Hämophilie B	Total
Absentismus	HKA	1'573	244	1'817
	FKA	524	81	606
Vorzeitiger Tod	HKA	145	0	145
	FKA	12	0	12

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. Durch Berechnung mit dem FKA betragen diese Kosten nur noch einen Zehntel der mit dem HKA berechneten Kosten. Absolut gesehen hat diese Differenz keinen nennenswerten Effekt auf die gesellschaftlichen Kosten. Die Kosten durch Absentismus sinken um rund 1.2 Mio. CHF, was gemessen an den gesellschaftlichen Kosten einer Reduktion um rund 2% entspricht. Ob bei der Berechnung der indirekten Kosten der HKA oder FKA gewählt wird, ist aus Sicht der gesellschaftlichen Kosten somit kaum entscheidend.

5 Fazit

Insgesamt beliefen sich die Kosten der schweren Hämophilie bei Erwachsenen in der Schweiz 2020 auf rund 54.9 Mio. CHF, 94% davon (52.0 Mio. CHF) waren direkte Kosten. Der grösste Kostenblock sind die Faktorkosten mit 93% respektive 51.1 Mio. CHF. Die indirekten Kosten fallen mit insgesamt 2.9 Mio. CHF relativ zu den Gesamtkosten niedrig aus. Die Kosten bei Erwachsenen mit schwerer Hämophilie A betragen im Jahr 2020 50.0 Mio. CHF, die der Hämophilie B 4.9 Mio. CHF. Wiederum sind die Faktorkosten mit 93% respektive 90% bei beiden Krankheiten die dominierende Kostenkomponente.

In der Schweiz liegen keine Informationen zum Faktorverbrauch bei Erwachsenen mit schwerer Hämophilie vor. Zur Berechnung verwendeten wir deshalb Daten aus dem deutschen Hämophileregister. Dabei nehmen wir an, dass der Faktorverbrauch pro Patient zwischen Deutschland und der Schweiz identisch ist. Der Faktorverbrauch ist insbesondere von der Prophylaxerate unter den Betroffenen abhängig. Die neusten schweizspezifischen Informationen zur Prophylaxerate stammen aus dem Jahre 2012 und sind im Vergleich mit den aktuellen Zahlen aus Deutschland wesentlich niedriger. Angesichts der aktuell verfügbaren Zahlen überschätzen wir den Faktorverbrauch und somit auch die Kosten der Faktorprodukte. Aufgrund der Entwicklung in der Medizin sollte sich die Prophylaxerate jedoch seither erhöht haben. Neue Daten für die Schweiz werden im Verlauf des Jahres 2022 erwartet.

Die Kosten pro Patient betragen bei Hämophilie A 261'900 CHF und bei Hämophilie B rund 167'200 CHF. Die niedrigeren Kosten bei Hämophilie B sind auf den geringeren durchschnittlichen Faktorverbrauch zurückzuführen, was sich auch in den direkten Kosten pro Patient mit 154'500 CHF im Vergleich zu 248'500 CHF bei Hämophilie A zeigt. Jedoch fallen auch die indirekten Kosten pro Patient bei der Hämophilie B mit 12'700 CHF niedriger aus als bei der Hämophilie A mit 13'400 CHF. Der Unterschied besteht, weil in der Schweiz (zwischen 2009 und 2019) offiziell keine Todesfälle aufgrund Hämophilie B verzeichnet wurden.

Die gesellschaftlichen Kosten widerspiegeln die derzeitige Behandlung der Hämophilie in der Schweiz. Dank den heutigen Faktorprodukten, die entweder in Form einer Prophylaxe oder nach Bedarf verabreicht werden, können die Erkrankten ein weitaus normales Leben führen. Erkrankte versterben nicht mehr vorzeitig aufgrund der Krankheit respektive wie in früheren Jahren durch Blutplasma übertragene Krankheiten wie HIV oder Hepatitis C. Entsprechend gering fallen die indirekten Kosten aus. Die niedrigen indirekten Kosten haben jedoch ihren Preis. Die Jahrestherapiekosten mit Faktorprodukten betragen im Jahr 2020 durchschnittlich 231'900 CHF pro Patient. Diese Kosten werden komplett von der obligatorischen Krankenversicherung getragen.

6 Anhang

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 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 **Friktionskostenansatz** (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.

Intangible Kosten

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 Lebensjahr

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

Die benötigten Daten zur Berechnung der DALY sind im Folgenden spezifiziert:

- *Prävalenz:* Vgl. Abschnitt 3.1
- *Invaliditätsgewicht (Disability Weight):* GBD weist leider kein DW für Hämophilie aus. Café et al. (2019) und Henrard et al. (2014) verwenden zur Berechnung der DW für Portugal respektive Belgien eine Lebensqualitätsbefragung von 71 Hämophiliepatienten aus Belgien. Das DW für Erwachsene mit schwerer Hämophilie beträgt gemäss dieser Quellen 0.197.
- *Anzahl Todesfälle:* Wir verwenden die Todesursachenstatistik des BFS und berechnen die Anzahl Todesfälle wie in Abschnitt 3.3 «Mortalität» beschrieben.
- *Lebenserwartung bei Tod:* Das BFS weist die durchschnittliche Lebenserwartung verschiedener Altersgruppen aus. Die Todesursachenstatistik des BFS weist ebenfalls die Altersklasse der Verstorbenen aus. Wir wählen jeweils den Median der Altersklasse. Aus diesen zwei Werten berechnen wir die Lebenserwartung bei Tod.

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-Gesundheitsausgaben¹⁵ bestimmt. Kaufkraftbereinigt heisst, dass diese Statistik die Preisunterschiede zwischen den 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).¹⁶ *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.¹⁷
- **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.¹⁸
- **Indirekte Kosten:** *Preiskorrektur* mit den Arbeitskosten pro geleistete Arbeitsstunde.¹⁹ Hochrechnung auf 2020 mit der Entwicklung des Nominallohnindex der Schweiz.²⁰
- **Intangible Kosten:** *Keine* Umrechnung der DALY notwendig.

¹⁵ Vgl. https://stats.oecd.org/Index.aspx?DataSetCode=HEALTH_PROC, zuletzt aufgerufen am 17.01.2022

¹⁶ Vgl. <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/kataloge-datenbanken/tabellen.assetdetail.20584053.html>, zuletzt aufgerufen am 17.01.2022

¹⁷ Vgl. <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/gesundheit/kosten-finanzierung/kosten.assetdetail.19324679.html>, zuletzt aufgerufen am 17.01.2022.

¹⁸ Vgl. <https://www.bfs.admin.ch/asset/de/cc-d-05.02.08.>, zuletzt aufgerufen am 17.01.2022.

¹⁹ 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.

²⁰ 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

- Arnheim, K. (2019). 63. Tagung der Gesellschaft für Thrombose- und Hämostaseforschung: Aktuelle Daten zur Hämophilie-Therapie in Deutschland. *Kinder und Jugendmedizin*, 9. <https://doi.org/10.1055/s-009-42807>
- Becker, T. (2011). *Soziale Kosten des Glücksspiels in Deutschland*. Lang. https://gluecksspiel.uni-hohenheim.de/fileadmin/einrichtungen/gluecksspiel/Oekonomie/SozialeKosten-DesGluecksspiels_Internet.pdf
- Brown, L. J., La, H. A., Li, J., Brunner, M., Snoke, M., & Kerr, A. M. (2020). The societal burden of haemophilia A. II – The cost of moderate and severe haemophilia A in Australia. *Haemophilia*, 26(S5), 11–20. <https://doi.org/10.1111/hae.14083>
- Bundesamt für Statistik BFS. (2020). *Struktur der Arbeitskosten je geleistete Stunde nach Wirtschaftsabschnitten*. <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/arbeits-erwerb/loehne-erwerbseinkommen-arbeitskosten/arbeitskosten.assetdetail.13027089.html>
- Bundesamt für Statistik BFS. (2021a). *Schweizerischer Lohnindex nach Sektor: Index und Veränderung auf der Basis 1993 = 100*. <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/arbeits-erwerb/loehne-erwerbseinkommen-arbeitskosten/lohnentwicklung.assetdetail.16904729.html>
- Bundesamt für Statistik BFS. (2021b). *Ständige Wohnbevölkerung nach Alter, Geschlecht und Staatsangehörigkeitskategorie, 2010-2020*. <https://www.bfs.admin.ch/bfs/de/home/statistiken/kataloge-datenbanken/tabellen.assetdetail.18344193.html>
- Burke, T., Asghar, S., O’Hara, J., Sawyer, E. K., & Li, N. (2021). Clinical, humanistic, and economic burden of severe hemophilia B in the United States: Results from the CHES US and CHES US+ population surveys. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 16(1), 143. <https://doi.org/10.1186/s13023-021-01774-9>
- Café, A., Carvalho, M., Crato, M., Faria, M., Kjollerstrom, P., Oliveira, C., Pinto, P. R., Salvador, R., dos Santos, A. A., & Silva, C. (2019). Haemophilia A: Health and economic burden of a rare disease in Portugal. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 14(1), 211. <https://doi.org/10.1186/s13023-019-1175-5>
- Cosandey, J., Roten, N., & Rutz, S. (2018). *Gesunde Spitalpolitik – Mehr Transparenz, mehr Patientensouveränität, weniger „Kantönlicheist“*. Avenir Suisse. www.avenir-suisse.ch/publication/gesunde-spitalpolitik/
- Henrard, S., Devleeschauwer, B., Beutels, P., Callens, M., De Smet, F., Hermans, C., & Speybroeck, N. (2014). The health and economic burden of haemophilia in Belgium: A rare, expensive and challenging disease. *Orphanet Journal of Rare Diseases*, 9(1), 39. <https://doi.org/10.1186/1750-1172-9-39>
- 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)
- Rejtő, J., Hörbst, A., Jones, N., Muntean, W., Neumeister, P., Oberbichler, S., Schuster, G., Schwarz, R., Thom, K., Zwiauer, K., Streif, W., Male, C., & Pabinger, I. (2019). Epidemiology and Treatment of Patients with Haemophilia in Austria—Update from the Austrian

- Haemophilia Registry. *Hämostaseologie*, 39(3), 10. <https://doi.org/10.1055/s-0038-1675354>
- 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>
- 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>
- von der Weid, N. (2013). Haemophilia Registry of the Medical Committee of the Swiss Haemophilia Society: Update and annual survey 2011/2012. *Hämostaseologie*, 33, 11–14.
- World Federation of Haemophilia. (2020). *Annual Global Survey 2019*.
- 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