

# Die gesellschaftlichen Kosten der Duchenne-Muskeldystro- phie in Österreich

Eine Studie im Auftrag der Roche Austria GmbH

Die gesellschaftlichen Kosten der Duchenne-Muskeldystrophie in Österreich

Eine Studie im Auftrag der Roche Austria GmbH

Marc Bill  
Dr. Florian Kuhlmei  
Lucie Künzle

10. September 2025

Inhaltsverzeichnis

---

<b>In Kürze .....</b>	<b>4</b>
<b>1 Einleitung .....</b>	<b>6</b>
<b>2 Gesellschaftliche Kosten von DMD in Österreich .....</b>	<b>7</b>
2.1    Gesellschaftliche Kosten pro Patienten.....	9
2.2    Prävalenz.....	12
2.3    Gesamtgesellschaftliche Kosten .....	13
<b>3 Kosten eines durchschnittlichen Krankheitsverlaufs .....</b>	<b>16</b>
<b>4 Fazit.....</b>	<b>19</b>
<b>5 Quellenverzeichnis .....</b>	<b>20</b>
<b>Anhang A - Methoden .....</b>	<b>22</b>
<b>Anhang B - Resultate.....</b>	<b>27</b>

## In Kürze

### Hintergrund

Die Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) ist eine seltene, genetisch bedingte, X-chromosomal vererbte neuromuskuläre Erkrankung, die durch pathogene Varianten im DMD-Gen verursacht wird und zu fortschreitender Muskelschwäche führt. Weltweit betrifft DMD etwa 1 von 5000 lebenden männlichen Geburten; in Österreich wird die Patientenzahl auf 200-230 geschätzt (Hiebeler u. a., 2023; Lorenz & Ondhia, 2022). Erste Symptome treten typischerweise im frühen Kindesalter auf. Die klinische Belastung ist erheblich, einschliesslich verzögerter motorischer Entwicklung, Verlust der Gehfähigkeit im frühen Kindesalter sowie Beeinträchtigung der Herz- und Atemfunktion. Die Lebenserwartung ist begrenzt (Median 35 Jahre), hauptsächlich aufgrund kardialer und respiratorischer Komplikationen, was die gesundheitsbezogene Lebensqualität von Patienten und Betreuungspersonen stark beeinträchtigt (Broomfield u. a., 2024; Schreiber-Katz u. a., 2014). Aktuelle pharmakologische und nicht-pharmakologische Behandlungen sind symptomatisch und setzen nicht an der Krankheitsursache an.

### Zielsetzung

Ziel dieser Studie war es, erstmalig für Österreich die gesellschaftlichen Kosten der DMD aus volkswirtschaftlicher Perspektive zu quantifizieren. Dies umfasst die Analyse direkter medizinischer (z. B. ambulanter und stationärer Behandlungen, Medikamente, Hilfsmittel) und nicht-medizinischer Kosten (z. B. Anpassungen an Wohnraum und Fahrzeugen, Transportkosten, persönliche Assistenz), indirekter Kosten (Produktivitätsverluste bei Patienten und Angehörigen, informelle Pflege) sowie intangibler Kosten (Lebensqualitätseinbussen wie Stress, psychische Belastung oder Leid). Neben den gesamtgesellschaftlichen Kosten für das Jahr 2023 wurden die Kosten für den durchschnittlichen Krankheitsverlauf eines Patienten aufgezeigt.

### Methodik

Die gesellschaftlichen Kosten für das Jahr 2023 wurden mittels eines Bottom-up-Ansatzes geschätzt, basierend auf österreichischen Preis- und Mengenangaben sowie internationaler Literatur und Expertenmeinungen. Indirekte Kosten wurden mittels des Humankapitalansatzes bewertet. Die Kosten eines durchschnittlichen Krankheitsverlaufs wurden unter Verwendung der durchschnittlichen Verweildauer in den verschiedenen Krankheitsstadien ermittelt.

### Ergebnisse

Die gesamtgesellschaftlichen Kosten der DMD in Österreich beliefen sich 2023 auf rund 30 Mio. EUR, was durchschnittlich 131.000 EUR pro Patienten entspricht. Indirekte Kosten machten mit 78% den grössten Anteil aus, wobei die informelle Pflege und Erwerbsausfälle der Angehörigen 45% der Gesamtkosten verursachten.

Direkte medizinische Kosten trugen lediglich 9% bei. Die höchsten jährlichen Pro-Kopf-Kosten von geschätzt 152.000 EUR traten im späten nicht-gehfähigen Stadium auf. Ein vorzeitiger Tod verursachte einmalige Kosten von 888.000 EUR durch entgangene Arbeitsjahre. Über den gesamten Krankheitsverlauf kumulierten sich die Kosten auf geschätzte 4,7 Millionen EUR pro Patienten, begleitet von einem Verlust von rund 60 qualitätsbereinigten Lebensjahren (QALYs).

## Fazit und Ausblick

DMD stellt eine erhebliche sozioökonomische Last dar, die die direkten medizinischen Ausgaben bei weitem übersteigt. Neben der sehr hohen Belastung für die Patienten, stellt DMD auch eine erhebliche Last für die pflegenden Angehörigen dar. Innovative Therapien haben das Potenzial, die Lebenserwartung und Lebensqualität der Patienten und der Angehörigen signifikant zu verbessern. Eine Bewertung solcher Therapien sollte eine umfassende Perspektive einnehmen, die auch die gewonnenen Lebensjahre und die Entlastung der Familien als intangible Effekte berücksichtigt.

## 1 Einleitung

**Duchenne-Muskeldystrophie (DMD)** ist eine X-chromosomal vererbte Krankheit. Sie betrifft entsprechend fast ausschliesslich Knaben und ist die häufigste Form von genetisch bedingten degenerativen Muskelerkrankungen. Der Krankheitsbeginn tritt häufig bereits im frühen Kindesalter ein. Der 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 gibt es in Österreich keine zugelassene Therapie, die an der genetischen Ursache der Krankheit ansetzt. DMD betrifft etwa 1 von 5.000 lebenden männlichen Geburten weltweit (Crisafulli u. a., 2020). In Österreich wird die Zahl der DMD Patienten auf 200–230 geschätzt (Hiebeler u. a., 2023; Lorenz & Ondhia, 2022).

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 Österreich unterschieden nach diesen Stadien abzuschätzen. Die gesellschaftlichen Kosten setzen sich zusammen aus direkten, indirekten und intangiblen Kosten. Die Kosten ermitteln wir sowohl pro Patienten und Jahr als auch für die Gesamtbevölkerung, d. h. die Gesellschaft als Ganzes im Jahr 2023 (vgl. Kapitel 2). Weiter berechnen wir die Gesamtkosten eines einzelnen Patienten mit durchschnittlichem Krankheitsverlauf (vgl. Kapitel 3). Wir schliessen mit einem Fazit in Kapitel 4.

## 2 Gesellschaftliche Kosten von DMD in Österreich

In diesem Abschnitt ermitteln wir die gesellschaftlichen Kosten von DMD in Österreich. Die Kosten werden aus Sicht der Gesamtbevölkerung Österreichs erfasst, d. h. der Gesellschaft als Ganzes. Die gesellschaftlichen Kosten setzen sich zusammen aus direkten, indirekten und intangiblen Kosten: Neben den medizinischen Kosten, die von den Krankenversicherungen und Privatpersonen getragen werden, fallen aus gesellschaftlicher Sicht Produktivitätsverluste bei Patienten und Angehörigen an, die durch die Krankheit in ihrer Erwerbstätigkeit beeinträchtigt sind. Zudem ist die Lebensqualität der Patienten und des Umfelds massgeblich reduziert.

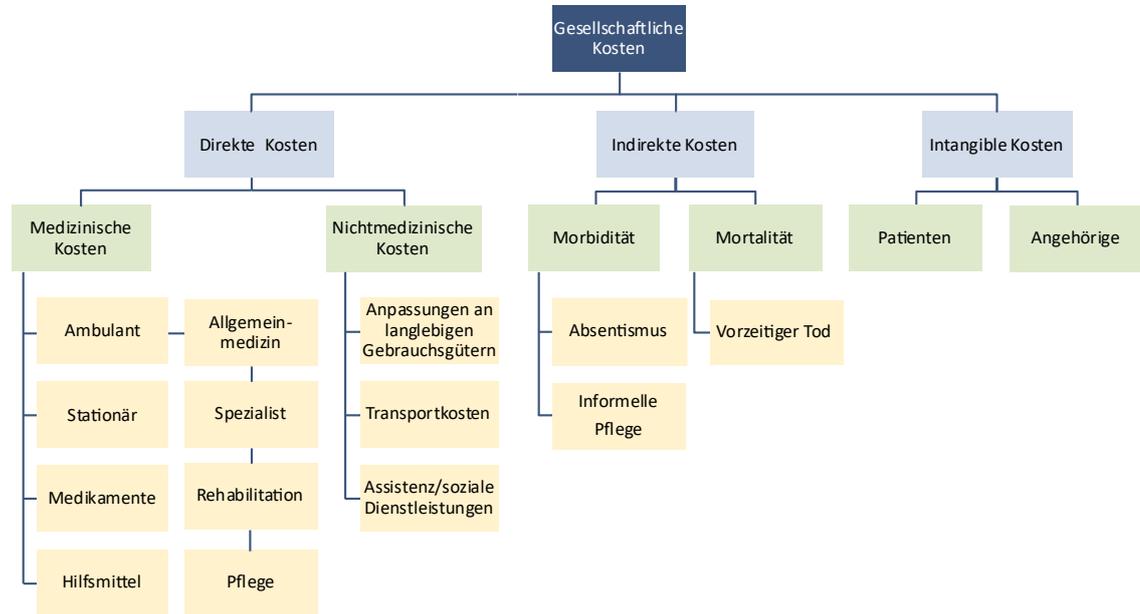
Die **direkten Kosten** sind die **Summe aus medizinischen und nicht-medizinischen Kosten**, die bei der Behandlung der Krankheit anfallen. Ihnen stehen Leistungen gegenüber, die zu ihrem Marktpreis bewertet sind. Sie werden also in Geldeinheiten gemessen und mit Geld bezahlt. Die medizinischen Kosten entsprechen den Gesundheitsausgaben. Sie werden von Sozial- und Krankenversicherungen, von den Patienten selbst und von der öffentlichen Hand getragen. Die nicht-medizinischen direkten Kosten fallen ausserhalb des Gesundheitswesens an. Es handelt sich ebenfalls um zu bezahlende Leistungen (z. B. Transportkosten, Assistenz, soziale Dienstleistungen), 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 einerseits von betroffenen Personen und Arbeitgebern, andererseits stellen sie einen Ressourcenverlust für die Gesellschaft dar. Auch wenn indirekte Kosten nicht in Geldeinheiten anfallen, lassen sie sich dennoch in Euro 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 psychische Belastungen (z. B. Stress) oder die Einschränkung von individueller Freiheit etwa durch körperliche Beeinträchtigung. Intangible Kosten werden vom Patienten selbst sowie 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 sowie an die Situation in Österreich angepasst (Bill u. a., 2022; Cavazza u. a., 2016; Landfeldt u. a., 2014; Schreiber-Katz u. a., 2014; Teoh u. a., 2016). Abbildung 1 zeigt die Kostenkomponenten, die wir bei der Berechnung berücksichtigen.

Abbildung 1 Kostenkomponenten der DMD aus gesellschaftlicher Sicht



Die Abbildung veranschaulicht die Struktur der gesellschaftlichen Kosten. Diese gliedern sich in direkte, indirekte und intangible Kosten. Die direkten Kosten lassen sich in medizinische und nicht-medizinische Kosten unterteilen, die jeweils aus verschiedenen Kostenkomponenten bestehen (gelbe Kästchen). Indirekte Kosten resultieren aus Produktivitätsverlusten infolge von Morbidität und Mortalität und können sowohl bei den betroffenen Patienten als auch bei deren Angehörigen entstehen. Letzteres gilt auch für die intangiblen Kosten.

Quelle: Eigene Darstellung Polynomics.

In Bezug auf **DMD** können die **medizinischen Kosten** in die Kostenkomponenten ambulante Behandlungen, stationäre Behandlungen, Medikamente und medizinische Hilfsmittel unterteilt werden. Weil der Muskelschwund viele Körperteile der Patienten gleichzeitig beeinträchtigt, bedarf es hier eines interdisziplinären Behandlungskonzeptes, das von neuromuskulären Spezialisten koordiniert und überwacht wird. Neben der Versorgung in Spezialzentren werden auch Versorgungsleistungen von Kardiologen, Pulmologen, Physiotherapeuten, oder auch Ergotherapeuten sowie Logopäden, Psychologen und Allgemeinmedizinern notwendig. Stationäre Aufenthalte fallen insbesondere in spezialisierten Fachzentren in Krankenhäusern an.

Bei DMD entstehen neben den medizinischen Kosten auch **Kosten ausserhalb des Gesundheitswesens**. Ausgelöst durch die eingeschränkte Gehfähigkeit benötigen 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 pflegende Angehörige wahrgenommen wird. Entsprechend entstehen **indirekte Kosten** durch informelle Pflege. In den meisten Fällen sind sowohl die Patienten als – im weiteren Krankheitsverlauf – auch pflegende Angehörige nicht oder nur eingeschränkt erwerbstätig und weisen entsprechend Produktivitätsverluste durch Absentismus auf. Weiter führt der vorzeitige Tod zu indirekten Kosten.

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

Zur Herleitung der gesellschaftlichen Kosten von DMD in Österreich stützen wir uns wo immer möglich auf österreichische Datenquellen ab. Da bisher keine Studie zu den gesellschaftlichen Kosten von DMD in Österreich durchgeführt wurde, berechnen wir die Kosten weitgehend bottom-up (Kostenkomponenten in Abbildung 1). Die Kosten berechnen wir anhand von Preisinformationen und Mengenangaben aus Österreich. Wo keine Daten spezifisch für Österreich vorhanden sind, stützen wir uns auf Schätzungen für Österreich aus der internationalen Literatur oder Expertenmeinungen. Falls auch keine Schätzungen zu finden sind, übertragen wir ausländische Kosten(-Schätzungen) auf Österreich und nehmen bei Bedarf Preis- und/oder Mengenanpassungen vor.

Wir berechnen einerseits die durchschnittlichen Kosten pro Patient pro Krankheitsstadium (vgl. Abschnitt 2.1), andererseits die gesamtgesellschaftlichen Kosten (vgl. Abschnitt 2.3), wozu wir auch die Prävalenz von DMD für Österreich schätzen (vgl. Abschnitt 2.2).

## 2.1 Gesellschaftliche Kosten pro Patienten

Tabelle 1 zeigt die geschätzten durchschnittlichen jährlichen Kosten pro DMD-Patienten für das Jahr 2023. Wir schlüsseln die Kosten nach den vier gängigen und oben aufgeführten Krankheitsstadien early und late ambulatory sowie early und late non-ambulatory auf (vgl. Bill u. a., 2022; Bushby u. a., 2010; Flores u. a., 2020; Landfeldt u. a., 2016, 2014 u. v. m.). Weiters weisen wir die Kosten des vorzeitigen Todes in einem eigenen Stadium aus.

Im **Early- und Late-ambulatory-Stadium** werden die Kosten überwiegend durch indirekte Kosten in Form von informeller Pflege sowie eingeschränkter Erwerbstätigkeit der pflegenden Angehörigen getrieben. Ein Großteil der direkten Kosten fällt für nichtärztliche therapeutische Leistungen, sprich Physio- und Ergotherapie sowie Logopädie an. Die Gesamtkosten schätzen wir in diesen zwei Stadien auf durchschnittlich rund 44.000 respektive 46.000 EUR pro Jahr (vgl. Tabelle 1).

Im **Early-non-ambulatory-Stadium** gibt es einen generellen Anstieg sämtlicher Kostenkomponenten und verglichen zu den bisherigen Ausgaben fallen beträchtlich höhere Kosten für informelle Pflege an. Der Verlust der Gehfähigkeit verdoppelt auch die direkten Kosten, was sowohl durch die Kosten eines nun benötigten Elektro-Rollstuhls als auch durch höhere nicht-medizinischen Kosten, wie z. B. Anpassungen an der Wohnung und an Fahrzeugen, getrieben wird. Die durchschnittlichen Kosten pro Jahr schätzen wir in diesem Stadium auf rund 110.000 EUR.

Die Kosten steigen im **Late-non-ambulatory-Stadium** nochmals deutlich an. Wesentliche Treiber sind wiederum höhere nicht-medizinische Kosten, Ausgaben für medizinische Hilfsmittel (insbesondere künstliche Beatmung) und Pflegeleistungen zu Hause. Gleichzeitig steigen auch die indirekten Kosten erheblich, da die Patienten nun im erwerbsfähigen Alter sind und somit Arbeitsausfälle bestehen. Die Gesamtkosten schätzen wir in diesem Stadium auf durchschnittlich rund 152.000 EUR pro Jahr.

Die einmaligen Kosten eines vorzeitigen Todes bewerten wir mit 888.000 EUR pro Patienten, verursacht durch diskontierte Produktivitätsverluste von durchschnittlich 30 Arbeitsjahren. Alternative Diskontraten von 0 % bzw. 5 % anstelle der verwendeten 3 % würden die indirekten Kosten aufgrund vorzeitigen Todes auf rund 1,33 Mio. EUR erhöhen bzw. auf 710.000 EUR senken.

**Tabelle 1**      **Geschätzte durchschnittliche Kosten pro Patienten in € für 2023, nach Krankheitsstadien**

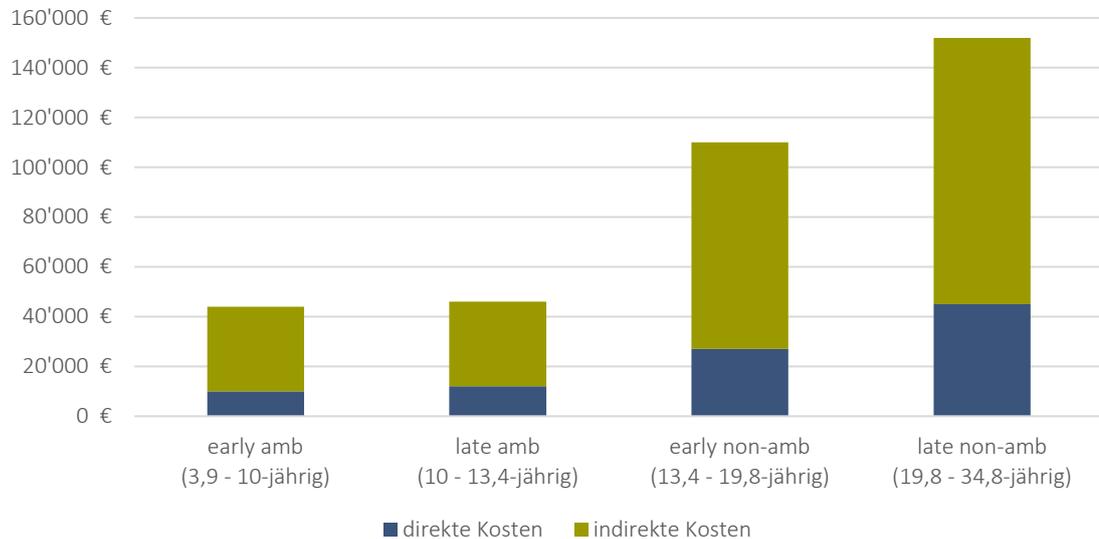
	Ambulatory		Non-Ambulatory		Tod
	Early	Late	Early	Late	
Ambulante Behandlungen (Neurologe, Pulmologe, Kardiologe, Orthopäde, Allgemeinmediziner)	1.000	1.000	1.000	1.000	
Stationäre Behandlungen	1.000	3.000	3.000	4.000	
Nichtärztliche therapeutische Leistungen (Physio- und Ergotherapeut, Logopäde, Psychologe etc.)	3.000	4.000	4.000	4.000	
Arzneimittel (symptom. Behandlung)	100	200	200	<100	
Medizinische Hilfsmittel	0	1.000	3.000	7.000	
Pflegeleistungen Zu Hause	0	0	<100	2.000	
<b>Total direkte medizinische Kosten</b>	<b>5.000</b>	<b>8.000</b>	<b>12.000</b>	<b>18.000</b>	
Total direkte nicht-medizinische Kosten (z. B. Transportkosten, Anpassungen an langlebigen Gütern, persönliche Assistenz etc.)	6.000	4.000	15.000	27.000	
<b>Total direkte Krankheitskosten</b>	<b>10.000</b>	<b>12.000</b>	<b>27.000</b>	<b>45.000</b>	
Absentismus der Angehörigen (inkl. informelle Pflege)	34.000	34.000	74.000	74.000	
Absentismus der Patienten	0	0	9.000	33.000	
Vorzeitiger Tod der Patienten					888.000
<b>Total indirekte Krankheitskosten</b>	<b>34.000</b>	<b>34.000</b>	<b>83.000</b>	<b>107.000</b>	<b>888.000</b>
<b>Total direkte und indirekte Krankheitskosten</b>	<b>44.000</b>	<b>46.000</b>	<b>110.000</b>	<b>152.000</b>	<b>888.000</b>

*Die Tabelle zeigt die geschätzten durchschnittlichen Kosten eines DMD-Patienten in Österreich für 2023 differenziert nach Krankheitsstadium und Kostenart (direkte und indirekte Kosten). Die Werte sind auf den nächsten Tausender gerundet. Die Kosten pro Patienten steigen mit dem Fortschreiten der Krankheit stark an. Insbesondere beim Übergang vom Ambulatory- ins Non-ambulatory-Stadium ist ein starker Kostenanstieg zu verzeichnen. Im letzten Krankheitsstadium, in welchem die Patienten stark pflegebedürftig sind, liegen die Kosten bei 152.000 EUR pro Jahr. Die durchschnittlichen Kosten des Stadiums «Vorzeitiger Tod» scheinen mit rund 888.000 EUR sehr hoch. Diese umfassen Produktivitätsverluste von durchschnittlich 30 Arbeitsjahren, die auf den Todeszeitpunkt diskontiert wurden (bei einer Diskontrate von 3 %) und somit pro Patienten einmalig anfallen. Abweichungen in den Summen entstehen aufgrund von Rundungsdifferenzen.*

Quelle:      Eigene Berechnungen Polynomics.

Abbildung 2 veranschaulicht den starken Kostenanstieg über die Krankheitsstadien, der mit dem degenerativen Krankheitsverlauf einhergeht. Während die Kosten in den Ambulatory-Stadien langsam wachsen, verzeichnen wir einen starken Anstieg in den Non-ambulatory-Stadien. Im letzten Krankheitsstadium liegen die Kosten bei 152.000 EUR pro Jahr. Die Kosten des vorzeitigen Todes sind nicht in der Grafik dargestellt.

Abbildung 2 Jährliche Kosten pro Patienten in € für 2023, nach Krankheitsstadien



Die Abbildung zeigt die durchschnittlichen jährlichen Kosten pro Krankheitsstadium, aufgeschlüsselt nach direkten und indirekten Kosten. Der starke Anstieg über die Krankheitsstadien spiegelt den degenerativen Verlauf der Krankheit wider. Die Kosten des vorzeitigen Todes sind nicht dargestellt.

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

Ähnlich sieht das Bild bei den **intangiblen Kosten** aus. Tabelle 2 zeigt die jährlich verlorenen qualitätsbereinigten Lebensjahre (Quality-Adjusted life years, QALY)<sup>1</sup> pro Krankheitsstadium gem. Landfeldt u. a. (2016, 2014). Die verlorenen QALYs der Hauptbetreuungsperson steigen im Krankheitsverlauf bis 0,07 QALYs an. Beim Patienten steigen die verlorenen QALYs ab dem Non-ambulatory-Stadium sprunghaft an. Wie bei den direkten und indirekten Kosten weisen wir die aufgrund des vorzeitigen Todes verlorenen QALYs diskontiert dem Todeszeitpunkt zu. Insgesamt fallen rund 23 QALY pro Patienten/Todesfall an. Alternative Diskontraten von 0% bzw. 5% anstelle der verwendeten 3% würden die anfallenden QALYs aufgrund vorzeitigen Todes auf rund 40 erhöhen bzw. auf 17 senken.

Allfällige **Einbußen in der Lebensqualität** bei Angehörigen **nach dem DMD-bedingten Tod** des Patienten wurden in der verwendeten Studie **nicht berücksichtigt**. Es ist jedoch plausibel, dass solche anfallen, sodass die geschätzten Werte tendenziell unterschätzt sind.

<sup>1</sup> QALY ist ein Nutzenmaß, das sowohl die Lebensdauer als auch die Lebensqualität berücksichtigt. Der Wert «1» entspricht einem Lebensjahr in perfekter Gesundheit, der Wert «0» dem Tod.

Tabelle 2 Durchschnittlich verlorene QALYs pro Patienten pro Jahr für 2023, nach Krankheitsstadium

	Ambulatory		Non-ambulatory		Vorzeitiger Tod
	Early	Late	Early	Late	
Verlorene QALYs Patient	0,13	0,20	0,67	0,79	23
Verlorene QALYs Pflegeperson	0,01	0,03	0,07	0,06	0
Total verlorene QALYs aufgrund DMD	0,14	0,23	0,74	0,85	23

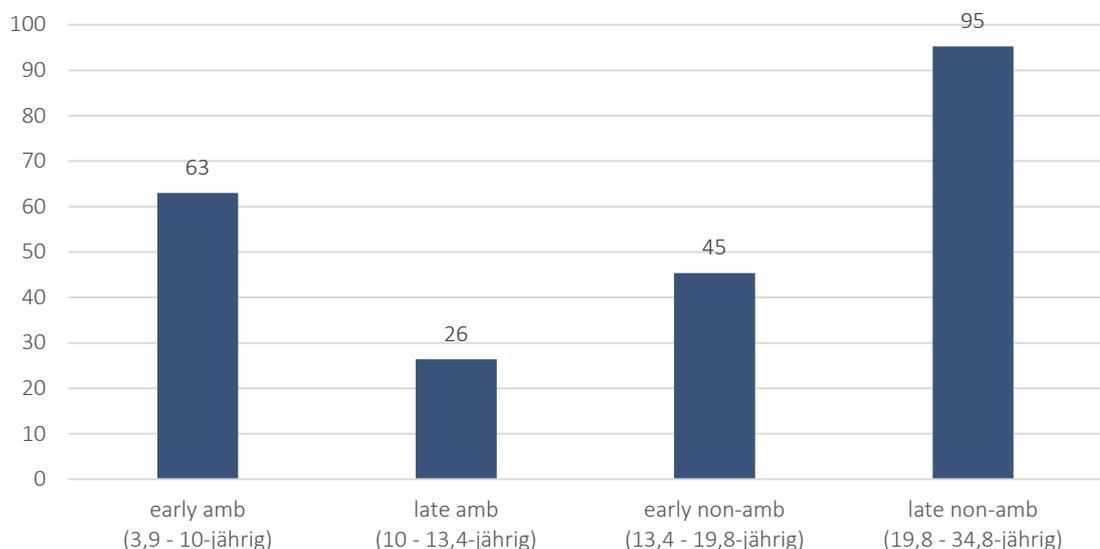
Die Tabelle zeigt die durchschnittlich verlorenen QALYs pro Krankheitsstadium im Jahr 2023 des Patienten sowie der Hauptbetreuungsperson. Die Lebensqualität nimmt beim Übergang vom Ambulatory- zum Non-ambulatory-Stadium sprunghaft ab. Die Nutzeneinbußen der Patienten verdreifachen sich. Der vorzeitige Tod im Medianalter von 34,8 Jahren zieht einen Nutzenverlust von 23 QALYs nach sich. Diese entsprechen den diskontierten jährlichen Nutzeneinbußen bis zur Medianlebenserwartung von Männern in Österreich (79,3 Jahre).

Quelle: Eigene Berechnung, basierend auf Grochtdreis u. a. (2019); Landfeldt u. a. (2016, 2014).

## 2.2 Prävalenz

Die Prävalenz für das Jahr 2023 schätzen wir mit Hilfe eines Epidemiologiemodells, welches von Roche entwickelt wurde (vgl. Lorenz u. a., 2023). Roche verfügt über ein internes Modell, das basierend auf den Werten aus Lorenz u. a. (2023) die Prävalenz für Österreich berechnet. Die geschätzte Prävalenz von diagnostizierten DMD-Erkrankten in Österreich betrug 2023 gemäss diesem Modell 230 Patienten. Abbildung 3 zeigt die Verteilung der Patienten auf die Krankheitsstadien. Dazu wiesen wir die im Epidemiologiemodell enthaltenen Altersklassen unseren Krankheitsstadien zu, unter Berücksichtigung der geschätzten Altersgrenzen pro Krankheitsstadium (vgl. Broomfield u. a., 2024)

Abbildung 3 Anzahl Patienten in Österreich pro Krankheitsstadium, 2023



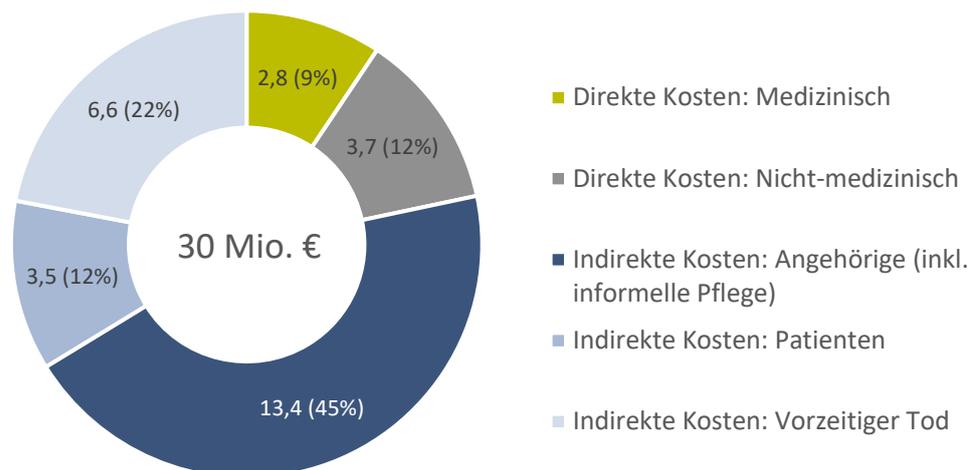
Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics basierend auf Lorenz u. a. (2023).

## 2.3 Gesamtgesellschaftliche Kosten

Die gesamtgesellschaftlichen Kosten von DMD in Österreich umfassen neben den direkten und indirekten Kostenkomponenten auch die intangiblen Kosten, deren Höhe wir im vorigen Abschnitt hergeleitet, aber nicht in Geldeinheiten umgerechnet haben. Deshalb fehlen die intangiblen Kosten in der Herleitung der gesamtgesellschaftlichen Kosten in diesem Abschnitt.

Insgesamt schätzen wir die jährlichen direkten und indirekten Kosten im Jahr 2023 auf rund 30 Mio. EUR. Die indirekten Kosten sind demnach für 78% dieser Kosten verantwortlich. Der weitest größte Kostenblock entfällt mit 45% auf indirekte Kosten von Angehörigen aufgrund Absentismus und informeller Pflege. Eine große Last stellt auch der vorzeitige Tod der Patienten dar (22%). Weitere Kostenpunkte sind die nicht-medizinischen direkten Kosten sowie die indirekten Kosten der Patienten, die je rund 12% zu den Gesamtkosten beitragen. Den geringsten Anteil verursachen die direkten medizinischen Kosten mit 9% (vgl. Abbildung 4).

Abbildung 4 Gesellschaftliche Gesamtkosten 2023 aufgrund DMD-erkrankter Personen in Mio. EUR (ohne intangible Kosten)

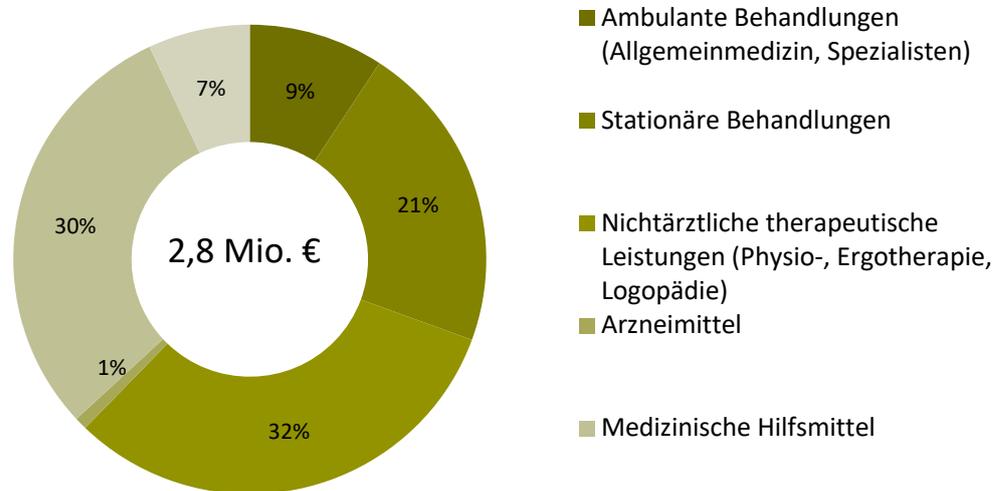


*Gemäß unseren Berechnungen fielen 2023 durch DMD-erkrankte Personen rund 30 Mio. EUR direkte und indirekte Kosten in Österreich an, was rund 131.000 EUR pro DMD-Patienten entspricht. Die direkten Kosten machen rund ein Viertel und die indirekten rund drei Viertel der Gesamtkosten aus. Die intangiblen Kosten sind nicht in Euro gemessen und deshalb nicht dargestellt.*

Quelle: Eigene Berechnung Polynomics.

Von den direkten medizinischen Kosten (9% der in Abbildung 4 ausgewiesenen 30 Mio. EUR) verursachen medizinische Hilfsmittel und nichtärztliche therapeutische Leistungen, wie z. B. Physiotherapie je knapp einen Drittel der Kosten (vgl. Abbildung 5). Stationäre Behandlungen sind für rund ein Fünftel der Kosten verantwortlich. Ambulante (ärztliche) Behandlungen mit einem Anteil von 9% und Pflegeleistungen zu Hause mit 7% sind weniger bedeutend. Arzneimittelkosten sind mit einem Anteil von 1% vernachlässigbar.

Abbildung 5 Aufteilung der direkten medizinischen Kosten DMD-Erkrankter im Jahr 2023

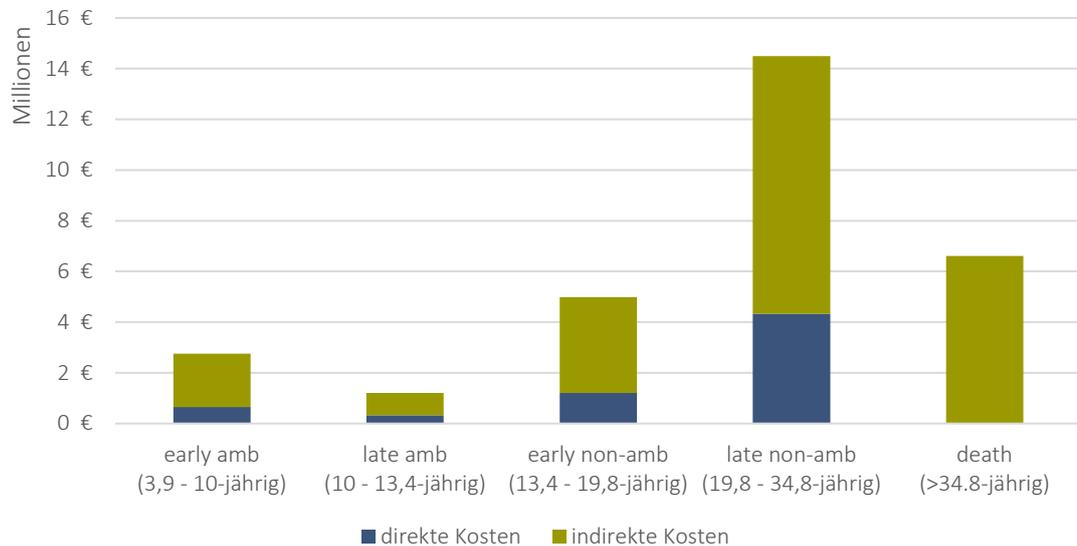


Wir schätzen, dass 2023 rund 2,8 Mio. EUR direkte medizinische Kosten anfielen, was nur 9 % der in Abbildung 4 aufgeführten Summe der direkten und indirekten Kosten von DMD in Österreich entspricht. Hauptkostentreiber waren Ausgaben für medizinische Hilfsmittel und nichtärztliche therapeutische Leistungen wie z. B. Physiotherapie. Stationäre Behandlungen sind mit 21 % Kostenanteil ebenfalls bedeutend. Weniger bedeutend sind ambulante ärztliche Behandlungen und Pflegeleistungen zu Hause. Die Kosten für Arzneimittel sind vernachlässigbar.

Quelle: Eigene Berechnung Polynomics.

Betrachtet man den Beitrag der einzelnen Krankheitsstadien zu den Gesamtkosten, wird die Relevanz der Stadien ersichtlich. Die Kosten des vierten Stadiums dominieren die Gesamtkosten (vgl. Abbildung 6). Einerseits sind die jährlichen Kosten pro Patienten in diesem Stadium am höchsten, andererseits gibt es viele Patienten, die sich aufgrund der langen Verweildauer in diesem Stadium befinden. Anteilsmäßig tragen die Ambulatory-Stadien rund 13 % zu den Gesamtkosten bei. Die direkten Kosten fallen mehrheitlich im vierten Stadium an, wo auch die meisten indirekten Kosten entstehen. Der vorzeitige Tod ist für rund 22 % der Gesamtkosten verantwortlich.

Abbildung 6 Beitrag der Krankheitsstadien zu den Gesamtkosten in Mio. €, 2023



Die Abbildung zeigt die Gesamtkosten pro Krankheitsstadium unterscheiden nach direkten und indirekten Kosten. Die Kosten des vierten Stadiums belaufen sich auf 48% der Gesamtkosten. Der vorzeitige Tod ist der zweitgrösste Kostenblöcke mit rund 6,6 Mio. € resp. 22%. Die Kosten der Ambulatory-Stadien sind wesentlich niedriger, was sowohl an den niedrigen Durchschnittskosten und im Late-ambulatory-Stadium als auch an den geringen Patientenzahlen liegt.

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

### 3 Kosten eines durchschnittlichen Krankheitsverlaufs

In diesem Kapitel betrachten wir einen durchschnittlichen Patienten und die im Krankheitsverlauf anfallenden Kosten. Diese Perspektive ist deshalb wichtig, weil innovative Therapien wie z. B. Gentherapien das Potenzial aufweisen, den Krankheitsverlauf von DMD massgeblich zu beeinflussen, was entsprechend positive Effekte auf die gesellschaftlichen Kosten über die Lebensdauer eines Patienten haben kann. Die Betrachtung der jährlichen Kosten gem. Abschnitt 2.3 greift hier zu kurz, da sich der Nutzen der Innovation über den ganzen Krankheitsverlauf verteilt und damit auch später anfällt, während Behandlungskosten einmalig zu Beginn anfallen.

Um die Kosten des durchschnittlichen Patientenpfades zu ermitteln, benötigen wir die durchschnittliche Verweildauer und die durchschnittlichen Kosten pro Krankheitsstadium. Wir vereinfachen die Betrachtung, indem wir annehmen, dass alle Kosten im Jahr 2023 anfallen. Ein reiner Inzidenzansatz<sup>2</sup> würde zusätzliche Annahmen zu zukünftigen technologischen Entwicklungen und Kostenveränderungen sowie eine Umrechnung der jeweiligen Kosten auf den Gegenwartswert erfordern, was im Rahmen dieses Projektes nicht umzusetzen war. Entsprechend verwenden wir die Kosten pro Patienten im Jahr 2023 gem. Tabelle 1 und die aus der Literatur übernommene Verweildauer pro Krankheitsstadium gem. Tabelle 3. Eine detaillierte Herleitung der verwendeten Werte findet sich im Anhang.

**Tabelle 3** Durchschnittliche Verweildauer und Kosten pro Krankheitsstadium

	Ambulatory		Non ambulatory		Vorzeitiger Tod
	Early	Late	Early	Late	
Verweildauer (Anzahl Jahre)	6,1	3,4	6,4	15,0	44,5
Alter (von ... bis ...)	3,9–10,0	10,0–13,4	13,4–19,8	19,8–34,8	34,8+
Jährliche direkte und indirekte Kosten pro Patient in €	44.000	46.000	110.000	152.000	42.900

*Die Tabelle zeigt die durchschnittliche Verweildauer, das Durchschnittsalter sowie die durchschnittlich jährlich anfallenden Kosten von DMD-Patienten in den jeweiligen Krankheitsstadien. Die Spalte «Vorzeitiger Tod» zeigt die durchschnittlich anfallenden Produktivitätsverluste pro verlorenem Arbeitsjahr vom vorzeitigen Tod bis zum normalen Pensionsalter. Im Gegensatz zu den ausgewiesenen anfallenden Kosten aufgrund vorzeitigen Todes in Tabelle 1 sind die Werte in dieser Tabelle nicht diskontiert. Die Verweildauer in diesem Stadium ist bis zur Medianlebenserwartung berechnet.*

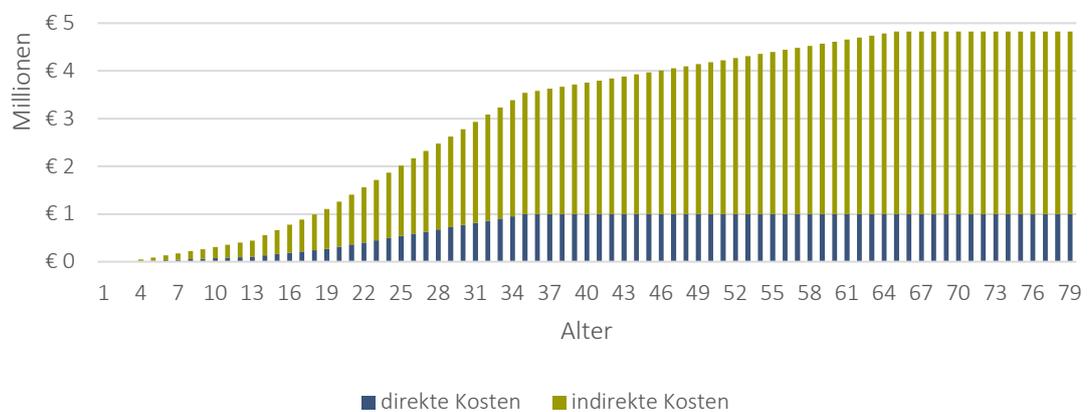
Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics in Anlehnung an Broomfield u. a. (2024).

Abbildung 7 zeigt die direkten und indirekten Kosten eines durchschnittlichen Krankheitsverlaufs kumulativ über das Alter unter der aktuellen Therapie. Initial steigen die Kosten von Jahr zu Jahr nicht stark an, da die Patienten noch gehfähig sind und bei ihnen auch keine Produktivitätsverluste anfallen. Im Alter von rund 13 Jahren, wenn die Gehfähigkeit verloren geht, steigen die kumulierten Kosten stark an. Der deutlichste Anstieg ist zwischen rund 20 und 35 Jahren zu verzeichnen, wenn sich die Patienten im letzten Krankheitsstadium befinden und eigentlich be-

<sup>2</sup> In einem Inzidenzansatz würde man eine Kohorte, resp. in unserem Fall einen einzelnen Patienten, über seinen gesamten Krankheitsverlauf verfolgen. Die Kosten müssten an die jeweiligen Kalenderjahre angepasst werden, in welchem sich der Patient pro Krankheitsstadium hypothetisch befinden würde (retro- oder prospektiv).

rufstatig waren. Im weiteren Krankheitsverlauf steigen die Kosten wieder weniger stark an, einerseits weil die direkten Kosten nach dem Tod des Patienten nicht weiter anfallen, andererseits weil die indirekten Kosten der Angehorigen und Pflegenden wegfallen. Bis zum ordentlichen Pensionsalter von 65 Jahren fallen jahrlich weiterhin Produktivitatsverluste an, danach kommen keine weiteren gesellschaftlichen Kosten hinzu, d. h. die kumulierten Kosten stagnieren bis zur Medianlebenserwartung. Dass im Pensionsalter keine Produktivitatsverluste anfallen, ist auf den gewahlten Ansatz zur Bewertung der indirekten Kosten zuruckzufuhren: Der Humankapitalansatz geht davon aus, dass das mittlere Erwerbseinkommen der Produktivitat eines Individuums entspricht. Entsprechend weisen Personen in Pension keine Produktivitatsverluste auf.

Abbildung 7 Kumulative Kosten eines durchschnittlichen Krankheitsverlaufs, in Mio. €



Die Abbildung zeigt die kumulativen Kosten anfallend uber den durchschnittlichen Lebensverlauf eines DMD-Patienten. Insgesamt kumulieren sich rund 4,7 Mio. EUR gesellschaftliche Kosten pro DMD-Patienten, wovon rund 20 % direkte und 80 % indirekte Kosten sind. Rund 27 % der indirekten Kosten entstehen aufgrund der Produktivitatsverluste beim Patienten nach seinem Tod.

Quelle: Eigene Berechnung Polynomics.

Insgesamt schatzen wir die durchschnittlichen gesellschaftlichen Kosten uber den gesamten Lebensverlauf eines DMD-Patienten **auf rund 4,6 Mio. EUR**. Davon sind etwa 1,0 Mio. EUR (20 %) direkte Kosten und 3,7 Mio. EUR (80 %) indirekte Kosten. Samtliche direkte Kosten entstehen zu Lebzeiten eines DMD-Patienten. Betrachtet man nur diese Kostenart, entstehen nach dem vorzeitigen Tod keine weiteren Kosten. Dies greift jedoch zu kurz, da bei DMD insbesondere die niedrige Lebenserwartung sehr hohe Kosten- und Nutzeneinbuen fur Patienten und Angehorigen und damit fur die Gesellschaft verursacht. Rund 27 % der Produktivitatsverluste, sprich der indirekten Kosten, entstehen aufgrund vorzeitigen Todes.

Es ist plausibel, dass Angehorige von verstorbenen DMD-Patienten auch nach deren Tod Produktivitatsverluste aufweisen, da sie z. B. nach einer langen Abwesenheit zur informellen Pflege ihres Kindes selbst einen erschwerten Einstieg ins Berufsleben haben oder aufgrund psychischer Erkrankungen in einem Teilzeitverhaltnis arbeiten. Diese Effekte wurden bisher in der Literatur nicht untersucht und konnen nicht weiter quantifiziert werden. **Die indirekten Kosten nach dem Tod sind somit tendenziell unterschatzt.**

**Zusätzlich** zu den direkten und indirekten Kosten entstehen bei Patienten und deren Angehörigen **intangible Kosten in Form reduzierter Lebensqualität und verlorener Lebensjahre**. Diese sind zu Beginn der Krankheit noch bescheiden, steigen jedoch sprunghaft an, wenn die Gehfähigkeit verloren geht, was weitreichende Einschnitte in den Alltag der Patienten und deren Angehörige hat. Ab dem Todeszeitpunkt geht aus gesellschaftlicher Sicht jedes Jahr ein «ganzes» Lebensjahr verloren. Bewertet man dieses mit der durchschnittlichen Lebensqualität in der Bevölkerung, gehen jährlich 0,93 QALY verloren. Aufsummiert über den gesamten durchschnittlichen **Lebensverlauf gehen aufgrund DMD rund 60 QALYs verloren**. Rund 20 QALYs davon ergeben sich aus der verringerten Lebensqualität während Lebzeiten des Patienten, weitere 40 QALYs aufgrund der niedrigen Lebenserwartung von rund 35 Jahren und somit dem vorzeitigen Tod. Therapien, die die Lebenserwartung für DMD erhöhen, können sowohl die indirekten Kosten als auch Leid und Schmerz für die Patienten und deren Angehörige effektiv senken.

## 4 Fazit

Die vorliegende Studie analysiert die **gesellschaftlichen Kosten** der Duchenne-Muskeldystrophie (DMD) in Österreich. DMD ist eine seltene, genetisch bedingte Muskelerkrankung, die fast ausschließlich Buben betrifft. Die Erkrankung führt zu fortschreitendem Muskelschwund, Verlust der Gehfähigkeit, starker Pflegebedürftigkeit und einem vorzeitigen Tod. In Österreich lebten laut Modellschätzungen 2023 rund **230 Personen mit DMD**.

Die Studie quantifiziert die gesellschaftlichen Kosten aus volkswirtschaftlicher Perspektive. Dabei werden **direkte** medizinische und nicht-medizinische Kosten, **indirekte** Kosten (etwa durch Produktivitätsverluste und Pflege durch Angehörige) sowie **intangibile** Kosten (z. B. psychische Probleme, Leid, Stress, allgemein: Lebensqualitätsverluste) berücksichtigt. Besonders relevant ist, dass DMD überwiegend außerhalb des klassischen Gesundheitssystems Kosten verursacht.

Im Jahr 2023 schätzen wir die gesamten gesellschaftlichen Kosten für DMD in Österreich auf rund **30 Millionen EUR** – das entspricht etwa **131.000 EUR pro Patient**. Der größte Kostenanteil entfällt auf die indirekten Kosten (78 %), insbesondere auf informelle Pflege und Erwerbsausfälle der Angehörigen. Die direkten medizinischen Kosten machen hingegen nur etwa 9 % aus. Die höchsten Pro-Kopf-Kosten entstehen in den **späten Krankheitsstadien**, in denen Patienten auf Rollstühle, Beatmung und umfassende Betreuung angewiesen sind. Im Late-non-ambulatory-Stadium betragen die jährlichen Kosten pro Patienten geschätzte 152.000 EUR. Den **vorzeitigen Tod** bewerten wir mit rund 888.000 EUR aufgrund entgangener Arbeitsjahre.

Über den **gesamten Krankheitsverlauf** eines durchschnittlichen Patienten summieren sich die gesellschaftlichen Kosten auf geschätzte **4,7 Millionen EUR** – davon etwa 1 Mio. EUR direkte und 3,7 Mio. EUR indirekte Kosten. Zusätzlich gehen rund 60 qualitätsbereinigte Lebensjahre (QALYs) verloren, wovon etwa zwei Drittel auf den vorzeitigen Tod zurückzuführen sind. Diese Zahlen verdeutlichen die massive individuelle und volkswirtschaftliche Belastung, die mit DMD verbunden ist.

DMD stellt nicht nur eine medizinische, sondern eine **umfassende gesellschaftliche Herausforderung** dar. Innovative Therapien bieten das Potenzial, Lebensqualität und Lebensdauer signifikant zu verbessern. Intangible Effekte wie gewonnene Lebensjahre und reduzierte familiäre Belastung sollten in die Bewertung solcher Therapien zwingend einfließen.

## 5 Quellenverzeichnis

- Audhya, I., Dunne, J., Patel, S., Szabo, S., Friesen, M., & Gooch, K., 2024, Characterizing The Experience of Caregiving For Those With Duchenne Muscular Dystrophy: Results From a Cross-Sectional Survey. Gehalten auf der ISPOR, Atlanta.
- Becker, T., 2011, Soziale Kosten des Glücksspiels in Deutschland. Lang.
- Bill, M., Sager, T., & Telser, H., 2022, Die gesellschaftlichen Kosten von Duchenne-Muskeldystrophie in der Schweiz (Analyse im Auftrag von Pfizer AG). Polynomics, Olten.
- Broomfield, J., Hill, M., Chandler, F., Crowther, M.J., Godfrey, J., Guglieri, M., Hastie, J., u. a., 2024, Developing a Natural History Model for Duchenne Muscular Dystrophy. *Pharmacoecon Open* 8, 79–89. doi:10.1007/s41669-023-00450-x
- Bushby, K., Finkel, R., Birnkrant, D.J., Case, L.E., Clemens, P.R., Cripe, L., Kaul, A., u. a., 2010, Diagnosis and management of Duchenne muscular dystrophy, part 1: diagnosis, and pharmacological and psychosocial management. *The Lancet Neurology* 9, 77–93. doi:10.1016/S1474-4422(09)70271-6
- Cavazza, M., Kodra, Y., Armeni, P., De Santis, M., López-Bastida, J., Linertová, R., Oliva-Moreno, J., u. a., 2016, Social/economic costs and health-related quality of life in patients with Duchenne muscular dystrophy in Europe. *Eur J Health Econ* 17, 19–29. doi:10.1007/s10198-016-0782-5
- 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 J Rare Dis* 15, 141. doi:10.1186/s13023-020-01430-8
- Diel, K.E., 2011, Finanzierung von Hilfsmitteln in Österreich. Hindernis-Marathon mit ungewissen Erfolgchancen durch einen schwer durchschaubaren bürokratischen Dschungel, in: Kerbl, R., Thun-Hohenstein, L., Damm, L., & Waldhauser, F. (Hrsg.), *Kinder und Jugendliche im besten Gesundheitssystem der Welt*. Springer Vienna, Vienna, S. 197–208. doi:10.1007/978-3-7091-0883-3\_16
- Flores, D., Ribate, M.P., Montolio, M., Ramos, F.J., Gómez, M., & García, C.B., 2020, Quantifying the economic impact of caregiving for Duchenne muscular dystrophy (DMD) in Spain. *Eur J Health Econ* 21, 1015–1023. doi:10.1007/s10198-020-01197-6
- Grochtdreis, T., Dams, J., König, H.-H., & Konnopka, A., 2019, Health-related quality of life measured with the EQ-5D-5L: estimation of normative index values based on a representative German population sample and value set. *Eur J Health Econ* 20, 933–944. doi:10.1007/s10198-019-01054-1
- Hiebeler, M., Thiele, S., Reilich, P., Bernert, G., & Walter, M.C., 2023, Time to diagnosis of Duchenne muscular dystrophy in Austria and Germany. *Sci Rep* 13, 179. doi:10.1038/s41598-022-27289-2
- 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. *J Neurol* 263, 906–915. doi: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, 529–536. doi:10.1212/WNL.0000000000000669

- Lorenz, C., Kapoor, A., Tomar, A., Ondhia, U., Pane, M., Straub, V., & Walter, M.C., 2023, EPH77 An Incidence- and Survival-Based Epidemiological Model for the Prevalence of Duchenne Muscular Dystrophy in Nine Countries. *Value in Health* 26, S216. doi:10.1016/j.jval.2023.09.1119
- Lorenz, C., & Ondhia, U., 2022, Roche - Duchenne Epidemiology model.
- Manzur, A.Y., Kuntzer, T., Pike, M., & Swan, A.V., 2008, Glucocorticoid corticosteroids for Duchenne muscular dystrophy. John Wiley & Sons, Ltd, Chichester, UK. doi: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 J Rare Dis* 9, 210. doi:10.1186/s13023-014-0210-9
- Schweizerischen Gesellschaft für Pädiatrie, 2012, Wachstumskurven.
- 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, 877–884. doi: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, i89-91. doi:10.1136/ard.2009.117150
- Zhang, W., & Anis, A.H., 2011, The Economic Burden of Rheumatoid Arthritis: Beyond Health Care Costs. *Clinical Rheumatology* 30, 25–32. doi:10.1007/s10067-010-1637-6

## Anhang A - Methoden

### Gesellschaftliche Kosten

#### Direkte medizinische Kosten

##### Ambulant

Die Kosten der ambulanten Versorgung schätzen wir mit der durchschnittlichen Anzahl Konsultationen eines Patienten in einem Jahr (vgl. Tabelle 4). Die Annahmen wurden mit Experten abgestimmt. Die Preise entnehmen wir den Tarifverträgen der jeweiligen Fachrichtung.<sup>3</sup> Wir berechnen durchschnittliche Konsultationen unter Berücksichtigung der Fallpauschalen sowie DMD-spezifischen Sonderleistungen je Fachgebiet.

Tabelle 4 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
Spezialisten	Anzahl Kons.	4	2	6	6
Physiotherapie	Anzahl Kons.	24	52	52	52
	Dauer pro Kons.	45 min	45 min	45 min	45 min
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

*Wir nehmen an, dass DMD-Erkrankte bis zur Volljährigkeit den Kinderfacharzt konsultieren und danach zum Allgemeinmediziner wechseln. Im Ambulatory-Stadium berücksichtigen wir Konsultationen in der Neurologie, im Non-ambulatory-Stadium zusätzlich in den Fachrichtungen Pneumologie, Kardiologie und Orthopädie.*

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

##### Medikamente

Die pharmakologische (und nicht-pharmakologische) Behandlung von DMD basiert derzeit auf der Prävention und Behandlung von Symptomen und Komplikationen (Birnbrant 2018b). Wir berücksichtigen in unseren Berechnungen die aktuelle Standardtherapie mit Kortikoidsteroid. Das modifizierte Kortikosteroid Vamorolone ist erst seit Anfangs 2024 in Österreich verfügbar

<sup>3</sup> Vgl. Tarif für Allgemeine Vertragsfachärztinnen/Vertragsfachärzte: Fachgebiet Kinder- und Jugendheilkunde, verfügbar unter <https://www.gesundheitskasse.at/cdscontent/load?contentid=10008.765751&version=1724922796>, zuletzt aufgerufen am 06.06.2025 und Tarif für Allgemeine Vertragsfachärztinnen/Vertragsfachärzte: ausgenommen Fachärztinnen/Fachärzte für Kinder- und Jugendheilkunde, verfügbar unter <https://www.gesundheitskasse.at/cdscontent/load?contentid=10008.766092&version=1649663214>, zuletzt aufgerufen am 06.06.2025

und der Histondeacetylase (HDAC)-Inhibitor Givinostat wurde im Juni 2025 in Europa zugelassen, ist jedoch aktuell noch nicht verfügbar. Entsprechend berücksichtigen wir diese zwei Produkte nicht in unseren Berechnungen für 2023.

Zur Schätzung der Arzneimittelkosten aufgrund der Kortikoidsteroidtherapie verwenden wir die Dosierungsempfehlung aus Manzur et al. (2008) zu Prednison.<sup>4</sup> Zur Berechnung der Tagesdosis verwenden wir das Gewicht nach Alter eines durchschnittlichen Patienten pro Krankheitsstadium gemäss den Wachstumskurven der Schweizerischen Gesellschaft für Pädiatrie (2012).<sup>5</sup>

Hiebeler u. a. (2023) weisen den Anteil Patienten mit einer Kortikosteroidtherapie nach Altersklassen in Österreich aus. Wir übernehmen den Wert für unter Fünfjährige für das Early-ambulatory-Stadium, den Wert der 6–18-Jährigen für das Late-ambulatory-Stadium, den Mittelwert der 6–18-Jährigen und 19–34-Jährigen sowie den Wert der 19–34-Jährigen für das Early- respektive Late-non-ambulatory-Stadium. Als Preis berücksichtigen wir den Mittelwert des Apotheken-Verkaufspreises pro mg aller im Warenverzeichnis gelisteten Produkte des Wirkstoffes Prednison.

In der verfügbaren Zeit zur Entwicklung des Berichtes war eine direkte Erhebung der Verabreichungsdaten nicht möglich. Aufgrund dieser fehlenden Angaben berücksichtigen wir nur die Kortikosteroidtherapie. Die Arzneimittelkosten werden dadurch tendenziell unterschätzt, da im fortgeschrittenen Stadium auch weitere Medikamente wie z. B. Betablocker, ACE-Hemmer oder Laxanzien zum Einsatz kommen.

#### 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.

Preisseitig berücksichtigen wir die Angaben zu den durchschnittlichen (Elektro-)Rollstuhlpreisen in Österreich gemäss Diel (2011). Wir rechnen die Preise aus 2011 mit dem Verbraucherpreisindex auf das Jahr 2023 um.<sup>6</sup> Beim Elektrorollstuhl gehen wir von zusätzlichen Wartungskosten von jährlich 5% des Kaufpreises aus. Wir nehmen eine Abschreibungsdauer von fünf respektive acht Jahren bei Hand- respektive Elektrorollstühlen an.

Die Beatmungsgeräte bewerten wir mit den öffentlich verfügbaren Preisen von Herstellern. Als Mittelwert nehmen wir Kosten von 8.000 respektive 10.000 EUR für ein invasives respektive nicht-invasives Beatmungsgerät an. Wir rechnen mit jährlich 10% Verbrauchsmaterial und Wartungskosten und schreiben die Geräte über fünf Jahre ab. Zusätzlich berücksichtigen wir ein zweites Backup-Gerät, welches wir über zehn Jahre abschreiben.

Neben Rollstühlen und Beatmungsgeräten benötigen DMD-Patienten je nach Krankheitsstadium weitere Hilfsmittel wie z. B. Stehtrainer, Patientenhebeseysteme etc. Da dazu weder Preis- noch Mengenangaben verfügbar sind, haben wir diese Kosten nicht berücksichtigt, was zu einer

<sup>4</sup> Für Prednison interpolieren wir die Dosierung der mittleren zwei Krankheitsstadien linear zwischen dem ersten und letzten Krankheitsstadium. Deflazacort ist aktuell in Österreich nicht verfügbar.

<sup>5</sup> Als Referenzalter verwenden wir 6, 12, 17 und 18+ Jahre, aufsteigend nach Krankheitsstadium. Die Zahlen basieren auf den WHO Child Growth Standards, vgl. <https://www.who.int/tools/child-growth-standards>.

<sup>6</sup> Vgl. Statistik Austria, Verbraucherpreisindex, verfügbar unter <https://www.statistik.at/statistiken/volkswirtschaft-und-oeffentliche-finanzen/preise-und-preisindizes/verbraucherpreisindex-vpi/hvpi>, zuletzt aufgerufen am 16.06.2025.

Unterschätzung der Hilfsmittelkosten führt. Die Kosten für Rollstühle und Beatmungsgeräte sollten jedoch den Grossteil der Hilfsmittelkosten abdecken.

### Stationär

Bei Personen mit DMD kann es immer wieder zu stationären Aufenthalten in Krankenhäusern 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 Schätzung der stationären Krankenhausaufenthalte verwenden wir die Summe der LKF-Punkte von allen Fällen mit der Hauptdiagnose ICD-10-Code G71.0 (Muskeldystrophie). Die Daten wurden von Roche für die Jahre 2019 bis 2023 nach Altersklassen zur Verfügung gestellt. Da aufgrund der niedrigen Prävalenz die Hospitalisierungen und somit die stationären Kosten stark variieren können, verwenden wir die durchschnittlichen LKF-Punkte pro Altersklasse von 2019 bis 2023. Der ICD-10-Code G71.0 enthält neben DMD auch andere Muskeldystrophien, wie z. B. Becker-MD (BMD), fazio-skapulo-humerale MD etc. Die häufigsten Dystrophien sind die DMD und BMD. DMD ist die einzige MD, die bereits vor dem 30. Lebensjahr relevante stationäre Kosten impliziert (im Durchschnitt). Wir nehmen deshalb an, dass alle LKF-Punkte der <30-Jährigen bei DMD entstanden sind. Von 30- bis 45-jährigen nehmen wir an, dass 75 % aufgrund DMD anfallen (zwar wenig Patienten, jedoch teure Aufenthalte, da bettlägerige Patienten mit invasiver Beatmung). Die Kosten von über 45-Jährigen berücksichtigen wir nicht, da der Anteil DMD-Patienten in diesem Alter unwesentlich sein dürfte. Die so berechnete Summe der LKF-Punkte dividieren wir durch die Prävalenz pro Krankheitsstadium und erhalten die Kosten pro Patienten pro Jahr.

### Direkte nicht-medizinische Kosten

Direkte nicht-medizinische Kosten entstehen durch Anpassungen an langlebigen Gebrauchsgütern, wie Wohnungen oder Fahrzeugen, zusätzlichen Transportkosten der Patienten zu z. B. Therapien und persönlichen Assistenzpersonen, welche die Patienten in ihren alltäglichen Verrichtungen wie z. B. dem Schulunterricht oder administrativen Tätigkeiten unterstützen (vgl. Schreiber-Katz u. a., 2014).

Mengen- und Preisinformationen zu den oben beschriebenen Komponenten der nicht-medizinischen Kosten sind in der Literatur und in öffentlichen Datenquellen sehr rar. Zur Abschätzung der Kosten müssten viele Annahmen getroffen werden, die schliesslich die realen Kosten nur mit hoher Unsicherheit wiedergeben würden. Entsprechend greifen wir auf die Studie von Schreiber-Katz u. a. (2014) zurück, welche diese Kosten für Deutschland in einer Befragung erhoben hatte, und übertragen diese auf Österreich. Die Kosten haben wir bereits in einem anderen Projekt auf das Jahr 2022 aktualisiert (unveröffentlicht). Dazu verwendeten wir die Preisentwicklung in detaillierten Komponenten der Kostenart.

Die Kosten aus Deutschland übertragen wir auf Österreich, indem wir eine Preiskorrektur mit der Kaufkraftparität (Purchasing Power Parities, PPP) durchführen. Der verwendete PPP-Wechselkurs entspricht dem Verhältnis der Preise eines identischen Produkts in den zwei Ländern. Wir gehen davon aus, dass sich die Menge der konsumierten Leistungen (der nicht-medizinischen Kosten) nicht zwischen Deutschland und Österreich unterscheiden und verzichten entsprechend auf eine Mengenkorrektur. Schliesslich rechnen wir die Kosten mit dem Verbraucherpreisindex vom Jahr 2022 auf das Jahr 2023 hoch.

## Indirekte Kosten

Die indirekten Kosten bewerten wir mit dem Humankapitalansatz (HKA). Beim 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.

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 eine nicht (mehr) arbeitsfähige Person irgendwann ersetzen werden (Becker, 2011; van den Hout, 2010).

## 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 und danach in den Arbeitsmarkt einzusteigen. 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. Wir berücksichtigen die potenzielle Erwerbstätigkeit ab 15 Jahren, d. h. indirekte Kosten fallen nur im Non-ambulatory-Stadium an. Diese bewerten wir mit dem teilzeitbereinigten Bruttomonatseinkommen von Männern (nach Altersklassen), bereinigt um die Erwerbsquote.<sup>7</sup>

Zur Schätzung der indirekten Kosten der Angehörigen verwenden wir die Zeitangaben aus Audhya u. a. (2024) zum Zeitaufwand informeller Pflege der primären und sekundären Pflegeperson. Weiter ist der Anteil Patienten mit einer sekundären Pflegeperson bekannt. Den Anteil der Patienten, die informelle Pflege benötigen (primäre Pflegeperson), übernehmen wir aus Schreiber-Katz u. a. (2014) und teilen diesen auf das Ambulatory- und Non-ambulatory-Stadium auf. Dabei machen wir die Annahme, dass jede Person im Non-ambulatory-Stadium über eine Pflegeperson verfügt.

Die so berechneten Produktivitätsverluste (in Stunden) bewerten wir nach dem Ersetzungskostenansatz, d. h. dem Marktlohn für professionelle Pflege. Dazu verwenden wir das Bruttoeinkommen pro geleistete Arbeitsstunde im Bereich der Alten- und Pflegeheime (ÖNACE 2steller) gemäss Statistik Austria.

## Mortalität

Durch den vorzeitigen Tod der Patienten gehen der Gesellschaft Ressourcen in Form von Zeit verloren. Wiederum entstehen Produktivitätsverluste am Arbeitsmarkt. Zur Bewertung der

<sup>7</sup> Vgl. Statistik Austria, Mikrozensus-Arbeitskräfteerhebung und Lohnsteuer-/DV-Daten, 2023.

Kosten eines vorzeitigen Todes im Medianalter von 34,8 Jahren verwenden wir das Bruttojahreseinkommen der unselbstständigen Erwerbstätigen nach Altersklassen sowie deren Erwerbsquote.<sup>8</sup> Die zukünftigen Produktivitätsverluste bis zum Rentenalter von Männern von 65 Jahren diskontieren wir mit einem Zinssatz von 3 % auf das Jahr 2023 ab.

### Intangible Kosten

Die intangiblen Kosten erfassen die Krankheitslast durch krankheitsbedingt reduzierte Lebensqualität sowie verlorene Lebensjahre infolge eines vorzeitigen Todes. DMD hat sowohl Auswirkungen auf das Leben der erkrankten Person als auch auf das ihrer Angehörigen. In der Literatur finden sich Angaben zur Lebensqualität von Patienten (Landfeldt u. a., 2014) sowie von Angehörigen/Pflegepersonen (Landfeldt u. a., 2016) differenziert nach Krankheitsstadium. Basierend auf diesen Daten schätzen wir die Anzahl verlorener QALYs (quality-adjusted life years) aufgrund der Krankheit, wobei ein QALY einem Lebensjahr mit perfekter Gesundheit entspricht.

Die verlorenen QALYs werden geschätzt, indem die Lebensqualität der Patienten mit der durchschnittlichen Lebensqualität der Bevölkerung verglichen wird. Die Differenz gibt an, wie viele QALYs verloren gehen. Das Gleiche kann auch für Betreuungspersonen berechnet werden, indem ihre Lebensqualität mit der durchschnittlichen verglichen wird.

Es ist davon auszugehen, dass bei Angehörigen auch nach dem vorzeitigen Tod von DMD-Patienten noch intangible Kosten anfallen. Es gibt jedoch keine uns bekannte Studie zu diesen Kosten und wir können sie somit nicht bewerten. Sie würden jedoch zu einer Erhöhung der geschätzten verlorenen QALYs führen.

Die intangiblen Kosten von DMD werden in der Literatur gelegentlich monetarisiert. Ein Beispiel ist die Studie von Landfeldt u. a. (2014), in der einem QALY ein monetärer Wert von 75.000 EUR zugewiesen wird. Wir verzichten bewusst auf eine solche Bewertung, da es in Österreich keinen Konsens zum monetären Wert eines QALY gibt und dies auch in anderen (europäischen) Ländern kontrovers diskutiert wird. Eine Monetarisierung der intangiblen Kosten würde die von uns berechneten gesellschaftlichen Kosten jedoch erheblich erhöhen.

### Kosten eines durchschnittlichen Krankheitsverlaufs

Broomfield u. a. (2024) entwickelten ein Modell mit Angaben zur mittleren Verweildauer von Patienten in Krankheitsstadien unter dem aktuellen Behandlungsstandard. Die Definition der Krankheitsstadien weicht jedoch von unseren Stadien ab. Um die Verweildauer auf die für unsere Analyse relevanten Krankheitsstadien zu übertragen, haben wir ein Mapping zwischen den unterschiedlichen Stadien vorgenommen (vgl. Tabelle 5).

---

<sup>8</sup> Vgl. Statistik Austria, Mikrozensus-Arbeitskräfteerhebung und Lohnsteuer-/DV-Daten, 2023.

Tabelle 5 Zuweisung der Stadien gem. Broomfield u. a. (2024) auf die verwendeten Krankheitsstadien

		ambulatory		non-ambulatory	
		Early	Late	Early	late
Gem. Broomfield u.a. (2024)	Early ambulatory	x			
	Late ambulatory		x		
	Transfers			x	
	HTMF, no ventilator			x	
	No HTMF, no ventilator			x	
	HTMF, night-time ventilation				x
	No HTMF, night-time ventilation				x
	No HTMF, full-time ventilation				x

Quelle: Eigene Darstellung Polynomics.

Gemäss Broomfield u. a. (2024) verbleiben die Patienten im Durchschnitt 6,1 Jahre im Early-ambulatory-, 3,4 Jahre im Late-ambulatory-, 6,4 Jahre im Early-non-ambulatory- und 15 Jahre im Late-non-ambulatory-Stadium. Die Medianlebenserwartung beträgt 34,8 Jahre. Rechnet man ausgehend von der Medianlebenserwartung mit Hilfe der durchschnittlichen Verweildauern die Altersgrenzen der Krankheitsstadien zurück, resultiert ein durchschnittliches Diagnosealter von 3,9 Jahren. Hiebeler u. a. (2023) weisen für Patienten im Deutschen DMD-Register ein mittleres Diagnosealter von 3,5 Jahren aus. Österreichspezifische Angaben fehlen in der Literatur, sollten jedoch mit den aus der Literatur übernommenen 3,9 Jahren gut approximiert sein.

## Anhang B - Resultate

Die folgende Tabelle 6 enthält eine Übersicht der geschätzten jährlichen Kosten von DMD in Österreich differenziert nach Krankheitsstadium und Kostenart.

Tabelle 6 Gesamtgesellschaftliche geschätzte Kosten in € für 2023, nach Krankheitsstadien

	Total	Anteil	Ambulatory		Non-Ambulatory		Tod
			Early	Late	Early	Late	
Anzahl Patienten	230		63	26	45	95	7
Ambulante Behandlungen	260.000	1%	74.000	21.000	57.000	108.000	
Stationäre Behandlungen	600.000	2%	56.000	67.000	118.000	358.000	
Nichtärztliche therapeutische Leistungen	891.000	3%	165.000	107.000	200.000	420.000	
Arzneimittel	24.000	0%	7.000	6.000	8.000	3.000	
Medizinische Hilfsmittel	842.000	3%	0	18.000	155.000	668.000	
Pflegeleistungen Zu Hause	196.000	1%	0	0	1.000	195.000	
<b>Total direkte medizinische Kosten</b>	<b>2.810.000</b>	<b>9%</b>	<b>300.000</b>	<b>220.000</b>	<b>540.000</b>	<b>1.750.000</b>	
<b>Total direkte nicht-medizinische Kosten</b>	<b>3.700.000</b>	<b>12%</b>	<b>350.000</b>	<b>100.000</b>	<b>670.000</b>	<b>2.580.000</b>	
<b>Total direkte Krankheitskosten</b>	<b>6.510.000</b>	<b>22%</b>	<b>650.000</b>	<b>320.000</b>	<b>1.210.000</b>	<b>4.330.000</b>	
Absentismus der Angehörigen (inkl. informelle Pflege)	13.400.000	45%	2.110.000	886.000	3.360.000	7.040.000	
Absentismus der Patienten	3.540.000	12%	0	0	418.000	3.120.000	
Vorzeitiger Tod der Patienten	6.610.000	22%	0	0	0	0	6.610.000
<b>Total indirekte Krankheitskosten</b>	<b>23.550.000</b>	<b>78%</b>	<b>2.110.000</b>	<b>890.000</b>	<b>3.770.000</b>	<b>10.170.000</b>	<b>6.610.000</b>
<b>Total Krankheitskosten</b>	<b>30.060.000</b>	<b>100%</b>	<b>2.770.000</b>	<b>1.200.000</b>	<b>4.980.000</b>	<b>14.500.000</b>	<b>6.610.000</b>

Die Tabelle zeigt die geschätzten jährlichen Kosten von DMD in Österreich differenziert nach Krankheitsstadium und Kostenart (direkte und indirekte Kosten). Die Kosten des vierten Stadiums dominieren die Gesamtkosten, weil sowohl die Anzahl Patienten als auch die Kosten pro Patienten in diesem Stadium am höchsten sind. Der zweitgrößte Kostenblock ist das Stadium vorzeitiger Tod mit rund 6.6 Mio. EUR, gefolgt vom early Non-ambulatory-Stadium mit knapp 5 Mio. Euro. Die Kosten des zweiten Stadiums sind am niedrigsten, was insbesondere an den niedrigen Patientenzahlen liegt, die auf die kurze mittlere Verweildauer in diesem Stadium zurückzuführen ist.

Quelle: Eigene Berechnungen Polynomics.

Polynomics AG  
Baslerstrasse 44  
CH-4600 Olten

[www.polynomics.ch](http://www.polynomics.ch)  
[polynomics@polynomics.ch](mailto:polynomics@polynomics.ch)

Telefon +41 62 205 15 70