

# Leserbrief

## Gesundheitsökonomische Aspekte

Leserbrief zu: Hundsberger T, Rohrbach M, Rösler KM. Die Problematik der Enzymersatztherapie beim Morbus Pompe (Glykogenose Typ II) [1].

Sehr geehrter Herr Kollege, mit grossem Interesse habe ich Ihre medizinische Einschätzung der Problematik der Enzymersatztherapie (EET) beim M. Pompe gelesen, besonders bei *Late-onset*-Formen.

Sie beziehen sich u.a. auf die ausführliche Arbeit im NEJM [2].

Besonders positiv beurteile ich in Ihrem Artikel die Thematisierung des gesundheitsökonomischen Aspekts der Problematik der individuellen Therapiekosten für diese Orphan-Disease. Sie fragen: «Was ist uns (gemeint die Gesellschaft?) der Erhalt der Arbeitsfähigkeit einerseits und die Geh- und Atemfähigkeit andererseits bei diesem Patienten wert?» Dieser Aspekt wird aber nicht weiter diskutiert und auch im Artikel im NEJM quantitativ nicht dokumentiert. Wir brauchen darüber mehr Fakten, wenn ausser der Wirksamkeit einer Therapie, bei einer bestimmten Indikation, die Kosten-Wirksamkeit im Rahmen der Beurteilung der Zweckmässigkeit (WZW, KVG) in die Gesamtbetrachtung eingehen soll. Mit andern Worten, es fehlen uns Unterlagen zu einer Cost-of-illness-Studie, welche es uns gestattet, den direkten und indirekten Impact der Krankheit zu evaluieren.

Der englische National Health Service (NHS), jahrelang ein Horror in der helvetischen Diskussion, geht bezüglich Myozyme® beim M. Pompe differenzierter vor. Zur Anwendung von Myozyme® innerhalb des NHS in Wales empfahl eine Expertenkommission schon 2006 die Unterstützung der Anwendung, unter spezifischen Restriktionen:

*«There is presently insufficient evidence of clinical effectiveness in late-onset disease and (the committee) does not endorse its use in this group of patients at this stage.»*

*Aber: «The Committee was however persuaded that alglucosidase alfa (Myozyme) should be available for the treatment of late-onset Pompe disease of the juvenile-onset form.»*

*Und: empfiehlt, dass «Patients receiving alglucosidase alfa will be entered into the Pompe registry».*

Ich würde es begrüßen, wenn die medizinischen Fachgesellschaften auch bei uns bei «umstrittenen Technologien» in einem Zwischenschritt vermehrt von der Möglichkeit zur Registerführung Gebrauch machen würden (Wirksamkeits- und Kostenregister); das KVG erlaubt diese Möglichkeit. Eine vernünftige Zeitdauer

bis zum neuerlichen Assessment liegt zwischen 3 und 5 Jahren, abhängig u.a. von der Zahl der beteiligten Zentren und der Zahl der Patienten.

Nun noch ein Wort zum Revisionsurteil des Bundesgerichts, wonach der finanzielle Gegenwert eines geretteten Menschenlebens pro Jahr «unter gesundheitsökonomischen Gesichtspunkten» ca. 100 000 CHF betrage. Diese apodiktische Aussage stimmt nicht. Weltweit hat bis jetzt keine Behörde einen expliziten Grenzwert für ein Menschenleben festgelegt. Die WHO beispielsweise berücksichtigt bei ihren Empfehlungen die länderspezifische volkswirtschaftliche Leistungsfähigkeit pro Kopf der Bevölkerung. Das BG steht mit seinen 100 Kilofranken allein auf weiter Flur.

Die SAMW ist im Übrigen daran, eine Arbeitsgruppe zur Frage dieses Grenzwertes zu bilden.

Mit freundlichen Grüssen

Bruno Horisberger

### Korrespondenz:

Bruno Horisberger  
Freier Mitarbeiter Winterthurer Institut  
für Gesundheitsökonomie, ZHAW  
Laubeggstrasse 54  
CH-3006 Bern  
[horisbruno5@bluewin.ch](mailto:horisbruno5@bluewin.ch)

### Literatur

- Schweiz Med Forum. 2011;11(25):427–9.
- Van der Ploeg AT, et al. A randomized study of alglucosidase alfa in late-onset Pompe's disease. N Engl J Med. 2010;362(15):1396–406.

### Replik

Sehr geehrter Herr Horisberger

Wir möchten uns für die aufmerksame und kritische Lektüre des erwähnten Artikels bedanken und freuen uns, wenn wir mit unserem Artikel stellvertretend für die «orphan diseases» nicht nur im medizinischen Leserkreis, sondern auch am Institut für Gesundheitsökonomie eine Diskussion angestossen haben.

Sie verweisen bezüglich der Enzymersatztherapie mit Myozyme® bei der «Late-onset»-Form des Morbus Pompe auf die fehlende Kosten-Nutzen-Analyse der beiden signifikanten primären Endpunkte 6-Minuten-Gehtest und vorhergesagte forcierte Vitalkapazität (im Sitzen) der multizentrischen, doppelblinden, randomisierten Phase-III-Studie von van der Ploeg und Mitarbeitern [2] und schlagen in diesem Zusammenhang den Aufbau eines klinischen Registers vor. In diesem sollen die Kosten und die Wirksamkeit der Myozyme®-Therapie analysiert werden. Wir teilen Ihre Forderung

und haben bereits seit längerer Zeit in Anlehnung an Beispiele aus dem Ausland ein solches Register vorgeschlagen und eine standardisierte Indikationsstellung für die Aufnahme und Fortführung nach transparenten und definierten Kriterien gefordert. Auf Initiative der Autoren werden die Bestrebungen für ein schweizweites «Morbus-Pompe-Register» derzeit realisiert. Eine «Cost-off-illness»-Studie, die alle Dimensionen beinhaltet, wie direkte und indirekte Krankheitskosten, ist sicher wünschenswert, wohl aber wegen der geringen Patientenzahl und der langen Krankheitsdauer schwer realisierbar. Bezüglich des zitierten Revisionsurteils des Bundesgerichts und der Festlegung des finanziellen Gegenwer-

tes von 100 000 CHF pro Jahr für ein gerettetes Menschenleben sehen wir Ihre Kritik als ebenso berechtigt an. In diesem Urteil ist nicht ersichtlich, ob der Betrag sowohl für ein Baby als auch für einen Greis, für einen Unfall oder eine Erkrankung, eine medikamentöse Therapie oder einen reinen Aufenthalt auf der Intensivstation gelten soll. Der ärztliche Alltag wird mit dieser ökonomischen Vorgabe auf das Abwägen finanzieller Ressourcen reduziert.

*Thomas Hundsberger,  
Marianne Rohrbach,  
Kai-M. Rösler*