

Paper of the month, März 2019

Cost of illness in Charcot-Marie-Tooth neuropathy: Results from Germany

Schorling S, Thiele S, Gumbert G, Krause S, Klug C, Schreiber-Katz O, Reilich P, Nagels K, Walter MC

Neurology 2019 Mar 27.

Charcot-Marie-Tooth Neuropathien (CMT) gehören mit einer Häufigkeit von 1:2.500 zu den häufigsten vererblichen neuromuskulären Erkrankungen. In Deutschland leben schätzungsweise 33.000 CMT-Patienten. Das Erkrankungsbild ist heterogen und häufig gekennzeichnet durch eine Muskelschwäche und -verschmächtigung, Skelettanomalien an den Füßen, Sensibilitätsstörungen und einem langsam fortschreitenden Verlauf. Da keine Heilung möglich ist, beschränkt sich die Behandlung bislang auf die Versorgung mit Hilfs- und Heilmitteln, z. B. Gehhilfen und Physiotherapie, chirurgischen Korrekturen und die medikamentöse Schmerztherapie. Ziel dieser vom Bundesministerium für Bildung und Forschung (BMBF) im Rahmen des Netzwerkverbundes "CMT-NET" geförderten Studie war die Ermittlung der Kosten, die mit einer CMT in Verbindung stehen. Hierfür wurden 397 Patienten mit genetisch gesicherter Diagnose aus Deutschland über das nationale Patientenregister (www.cmt-register.de) kontaktiert und unter anderem zu ihrer Inanspruchnahme gesundheitlicher Leistungen befragt. Diese Informationen wurden entweder mit standardisierten Kostensätzen oder Angaben der Patienten zu den angefallenen Kosten bewertet.

Die Gesamtkosten der CMT lagen bei \$ 22.362 (17.427 €) pro Patient und Jahr. Etwa zwei Drittel entfielen auf direkte Kosten. Einerseits fallen diese Kosten durch die Inanspruchnahme medizinischer Leistungen an. Bei CMT waren dies vor allem Hilfsmittel, Arztbesuche und Heilmittel, wobei Heilmittel wie Physiotherapie mit \$ 1.677 (1.307 €) den größten Anteil ausmachten. Andererseits zählen hierzu Kosten nicht-medizinischer Leistungen, die z. B. durch die Pflege Angehöriger entstehen. Diese sogenannte informelle Pflege war der größte einzelne Kostenfaktor mit durchschnittlich \$ 7.518 (5.859 €) pro Patient und Jahr. Indirekte Kosten stellen hingegen Produktivitätsverluste dar, die z. B. durch Arbeitsausfälle aufgrund der Erkrankung entstehen. Diese lagen bei \$ 7.610 (5.931 €). Unterschiede in den Gesamtkosten bestanden unter anderem in Abhängigkeit von Erkrankungsschwere und -dauer, vorliegenden Begleiterkrankungen sowie der subjektiv wahrgenommenen Einschränkung in Alltag bzw. Beruf. Hochgerechnet auf Deutschland ergaben sich jährliche Gesamtkosten der CMT in Höhe von \$ 735 Mio. (573 Mio. €).

Diese Kostenschätzung aus Deutschland ist die erste Berechnung der CMT-Krankheitskosten weltweit. Die Ergebnisse verdeutlichen die ökonomische Relevanz der CMT und können Anreize für die Entwicklung neuer Therapien liefern. Zudem zeigte sich, dass die durch die Patienten wahrgenommene Erkrankungsschwere in einem engen Zusammenhang mit der Inanspruchnahme der Leistungen und den damit verbundenen Kosten steht. Die Patientenperspektive sollte daher zukünftig stärker Berücksichtigung finden.

Kommentar von: Dr. Elisabeth Schorling

Paper of the month, march 2019

Cost of illness in Charcot-Marie-Tooth neuropathy: Results from Germany

Schorling S, Thiele S, Gumbert G, Krause S, Klug C, Schreiber-Katz O, Reilich P, Nagels K, Walter MC

Neurology 2019 Mar 27.

Charcot-Marie-Tooth neuropathies (CMT) is one of the most common inherited neuromuscular disorders with a prevalence of 1:2,500. Approximately 33,000 CMT patients live in Germany. CMT is associated with heterogeneous symptoms, e. g. muscle weakness and atrophy, foot deformities, sensory loss, and a slowly progressive course of the disease. There is no cure until now; therefore, the treatment encompasses medical aids and therapies such as walking aids and physiotherapy, surgical interventions and pain medication. The aim of this study, supported by the German Ministry of Education and Research (BMBF) within the network CMT-NET, was to estimate the cost associated with CMT. For this purpose, 397 patients with a genetically confirmed CMT diagnosis were contacted via the national CMT patient registry (www.cmt-register.de) and were asked, among other things, for their use of health services. This information was valued monetarily by standardized unit prices or patient reported cost.

The total cost of CMT was \$ 22,362 (17,427 €) per patient and year. About two thirds of this sum was direct cost. On the one hand, direct costs are associated with the consumption of health care interventions. In CMT the use of medical aids, medical consultations and further therapies was particularly often and expenditures for further therapies such as physiotherapy represented the highest amount with \$ 1,677 (1,307 €). On the other hand, direct nonmedical costs, for example due to care provided by relatives, are counted as direct costs. This so-called informal care was the highest single cost factor with a mean of \$ 7,518 (5,859 €) per patient and year. By contrast, indirect costs reflect productivity losses, e. g. due to an incapacity for work because of the disease. Indirect cost in CMT was estimated to be \$ 7,610 (5,931 €). Differences in total cost existed, among others, depending on severity of disease, disease duration, reported comorbidities and the subjectively evaluated impairments in daily activities or work. For Germany, annual total cost of CMT of \$ 735 million (573 million €) was extrapolated.

This estimate from Germany is the first calculation of the cost of illness of CMT worldwide. The results illustrate the economic relevance of CMT and may support the development of new therapies. Moreover, the results indicate the correlation between the subjectively evaluated severity of disease of the patient and the consumption of resources and the associated cost. Therefore, greater consideration should be paid to the patient perspective in future studies.

Comment by Dr. Elisabeth Schorling