

## Neue Behandlungsmöglichkeiten für seltene Erkrankungen

Immer mehr Arzneimittel zur Behandlung seltener Erkrankungen stehen zur Verfügung und verdeutlichen das Engagement der pharmazeutischen Industrie für Betroffene.

Wien, 25. Februar 2022 – Mit insgesamt 19 Zulassungen in der EU wurden im Jahr 2021 weitere Fortschritte in der Behandlung von seltenen Erkrankungen erzielt. „Damit hat ein weiterer Kreis von Menschen, die an seltenen Krankheiten leiden, die Chance, dass ihre Lebenssituation dank der neuen Medikamente verbessert wird. An die 200 Medikamente zur Behandlung von seltenen Erkrankungen stehen derzeit Patientinnen und Patienten in der Europäischen Union zur Verfügung. 130 davon mit aktivem Orphan Drug-Status“, sagt PHARMIG-Generalsekretär Alexander Herzog angesichts des bevorstehenden Welttags der seltenen Erkrankungen am 28. Februar.

Der Orphan Drug-Status sichert den Produkten bei Zulassung eine temporäre Marktexklusivität und im Entwicklungsprozess Gebührenreduktion und andere Förderungen zu. An die 70 Medikamente gegen seltene Krankheiten besitzen diesen Status zwar nicht mehr, weil dieser zehn Jahre nach Marktzulassung erlischt oder von der Firma zurückgegeben wurde. Sie zählen damit aber ebenfalls zu den erfolgreichen Entwicklungen der letzten Jahre. Die meisten dieser Arzneimittel sind weiterhin am Markt erhältlich.

Die European Medicines Agency (EMA) hebt in ihrem [Bericht zu den Highlights der Humanarzneimittel 2021](#) von den 19 zugelassenen Medikamenten für seltene Erkrankungen (Orphan Drugs) einige Beispiele hervor, die einen besonders hohen Nutzen aufweisen. Sie stellen erste zielgerichtete Therapiemöglichkeiten für einzelne Erkrankungen auf den Gebieten Neurologie, Onkologie, Immunologie, Gastroenterologie und Stoffwechsel dar.

Vier davon sind gänzlich neue Therapien zur Behandlung von seltenen Erkrankungen im Kindesalter. Darunter eine Monotherapie zur Behandlung von symptomatischen, inoperablen plexiformen Neurofibromen bei Neurofibromatose Typ 1. Auch für die Achondroplasie, eine genetisch bedingte Form von Kleinwuchs, ist eine Behandlung PatientInnen verfügbar, deren Wachstumsfuge noch nicht geschlossen ist. Um ein schwerwiegendes Symptom der progressiven familiären intrahepatischen Cholestase (PFIC) zu behandeln, wurde eine Therapie für Kinder ab sechs Monaten zugelassen sowie eine erste Therapieoption bei einer seltenen genetischen Erkrankung der Fettleibigkeit bedingt durch POMC- oder LEPR-Mangel.

Die Einführung der Orphan Drug Regulation im Jahr 2000 hat die Entwicklung von Medikamenten für seltene Erkrankungen signifikant vorangetrieben. Sie wird derzeit von der EU-Kommission überarbeitet. Eine aktualisierte Regelung ist für das vierte Quartal 2022 avisiert. Dazu Herzog: „In der Evaluierung und Neugestaltung der regulatorischen Rahmenbedingungen für Therapien bei seltenen Erkrankungen gilt es, auf ein Gleichgewicht zu achten, dass einerseits ein zufriedenstellendes Anreizsystem für die Erforschung bei einem enorm hohen Risiko geschaffen wird, und andererseits dafür Sorge zu tragen, dass Betroffene einen gleichberechtigten Zugang zu diesen Therapien erhalten. Diskutiert wird eine Überarbeitung des Rechtsrahmens, etwa mit einer regelmäßigen, automatischen Re-Evaluation der Kriterien sowie einer Anpassung der Marktexklusivität unter bestimmten, noch zu definierenden Voraussetzungen.“

### Rückfragehinweis

PHARMIG – Verband der pharmazeutischen Industrie Österreichs  
Head of Communications & PR  
Peter Richter, BA MA MBA

+43 664 8860 5264

[peter.richter@pharmig.at](mailto:peter.richter@pharmig.at)

[pharmig.at](http://pharmig.at)

**Über die PHARMIG:** Die PHARMIG ist die freiwillige Interessenvertretung der österreichischen Pharmaindustrie. Derzeit hat der Verband ca. 120 Mitglieder (Stand Februar 2022), die den Medikamenten-Markt zu gut 95 Prozent abdecken. Die PHARMIG und ihre Mitgliedsfirmen stehen für eine bestmögliche Versorgungssicherheit mit Arzneimitteln im Gesundheitswesen und sichern durch Qualität und Innovation den gesellschaftlichen und medizinischen Fortschritt.