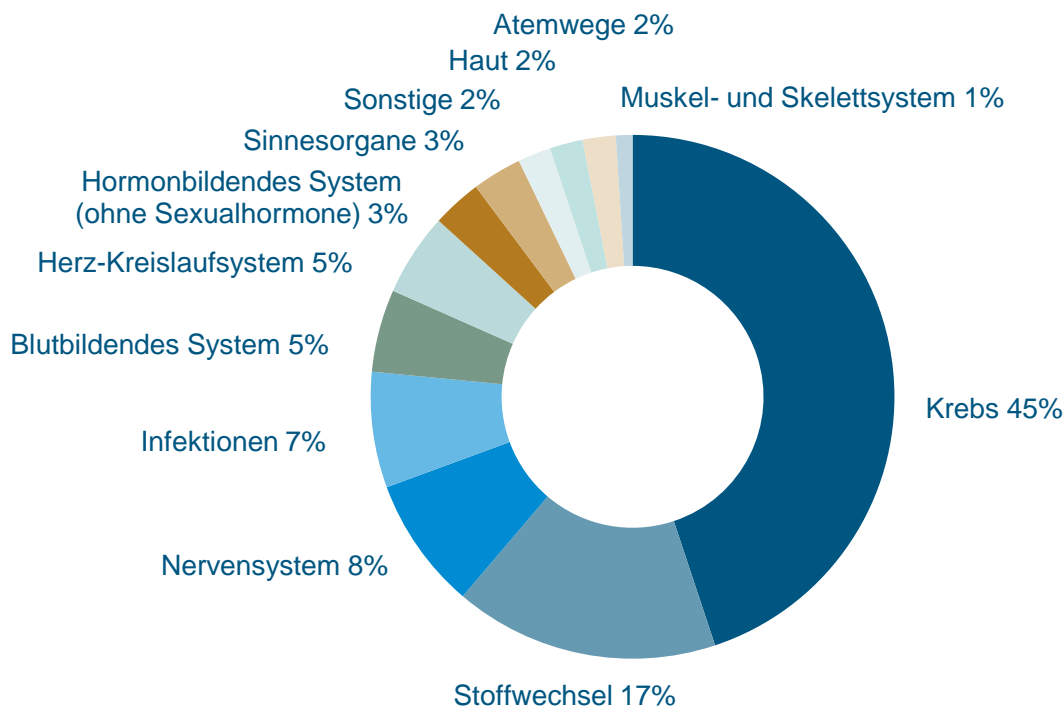


# Spezifische Therapien für seltene Erkrankungen

Rund ein **Fünftel der Medikamente, die jährlich in der EU neu auf den Markt kommen, sind Orphan Drugs** (Arzneimittel, die speziell zur Behandlung von seltenen Erkrankungen entwickelt wurden). Diese Zahlen zeigen deutlich, dass sich die pharmazeutische Industrie auch auf diesem Gebiet engagiert, um Betroffenen Therapien zur Verfügung stellen zu können.

Mit Stand Dezember 2017 gab es in der EU **142 zugelassene Orphan Drugs** - 94 davon mit der insgesamt für 10 Jahre begrenzten Orphan Drug Marktexklusivität und 48 Arzneimittel, die den aktiven Orphan Drug Status nicht mehr haben, die meisten davon sind jedoch weiterhin erhältlich. Zusätzlich zu diesen Orphan Drugs **stehen über 100 Arzneimittel** mit europäischer Marktzulassung zur spezifischen Behandlung seltener Erkrankungen zur Verfügung.

## Orphan Drugs pro Krankheitsbereich – Stand Oktober 2017



## Ein paar Beispiele

Für **neurodegenerative Erkrankungen** wie der Transthyretin-assoziierten familiären Amyloid-Polyneuropathie (TTR-FAP), die zu lebensbedrohlichen Anreicherungen abnorm veränderter Proteine führt, gibt es inzwischen erstmals eine **spezifische medikamentöse Therapie**. Die TTR-FAP besitzt eine Häufigkeit von ca. 1 Person pro 100.000 Einwohner in Europa.

Zur Behandlung der Lipoproteinlipasedefizienz (LPLD), einer **Stoffwechselerkrankung**, die zu diversen lebensbedrohlichen Gewebeschädigungen führt, konnte das **erste Gentherapeutikum** mit einem kurativen Ansatz in Europa zugelassen werden. Die LPLD besitzt eine Häufigkeit von ca. 1 Person pro 1 Million Einwohner in Europa.

Aber auch für einige **seltene Krebserkrankungen** gelang in den letzten Jahren ein Durchbruch in der Therapie. Wie etwa für das Multiple Myelom, eine Krebserkrankung des blutbildenden Systems. Hier konnten z.B. hochwirksame **immunmodulatorische Therapieoptionen** entwickelt werden. Die Anzahl an Neuerkrankungen beim Multiplen Myelom liegt bei ca. 6 Personen pro 100.000 Einwohner in Europa.

## Eine Therapiemöglichkeit ist grundlegend lebensverändernd

Es ist aber noch viel zu tun, denn für die meisten Erkrankungen, über 95%, gibt es noch keine spezifische Therapie. Die Erfolge der letzten Jahre sollen daher motivieren, die **Forschungsanstrengungen zu intensivieren**, um durch neue Therapiemöglichkeiten die Situation von noch mehr Menschen mit seltenen Erkrankungen zu verbessern. Die Unterstützung und Förderung von nachhaltiger und innovativer Forschung ist dabei ein wesentliches Element.

## Die pharmazeutische Industrie entwickelt nicht nur Medikamente

Die pharmazeutische Industrie tritt nicht nur als Entwicklerin und Vermarkterin von Arzneimitteln auf, sondern ist auch eine wichtige Systempartnerin und Expertin im Gesundheitswesen. Sie unterstützt zahlreiche gesundheitsrelevante Projekte und Programme und setzt sich für die Stärkung der Patientenrechte ein.

- Speziell bei Patienten mit komplexen und seltenen Erkrankungen sind **zusätzliche Serviceleistungen notwendig**, um eine optimale Versorgung zu gewährleisten. In Kooperation mit Behandlungszentren und Selbsthilfegruppen ermöglicht die pharmazeutische Industrie die Umsetzung solcher Leistungen.
- In Österreich gibt es – anders als etwa in Deutschland - **keine gesetzliche Verankerung der Selbsthilfe**. Die Selbsthilfeorganisationen sind daher auf Spenden und Finanzierungsunterstützungen von Dritten angewiesen. Diese Unterstützung wird zum Großteil von der pharmazeutischen Industrie geleistet.

## Zugang zu Therapien

Orphan Drugs werden EU weit zentral zugelassen. Die **Regelungen zur Erstattung** von Arzneimitteln sind jedoch **Ländersache**. Jedes Land muss sicherstellen, dass Patienten mit seltenen Erkrankungen Zugang zu den für sie lebensnotwendigen Therapien haben.

**Menschen mit seltenen Erkrankungen haben in Österreich denselben Versicherungsanspruch** wie Patienten, die an häufigeren Erkrankungen leiden. Um einen bestmöglichen Zugang zu wirksamen und innovativen Therapien zu gewährleisten, sollten die administrativen Hürden speziell für Patienten mit seltenen Erkrankungen so gering wie möglich gehalten werden.

### Wo findet man allgemeine Informationen zu seltenen Erkrankungen und Orphan Drugs?

- EURORDIS - Die Stimme der Menschen mit seltenen Krankheiten in Europa  
<http://www.eurordis.org/de>
- ORPHANET - Das Portal für seltene Krankheiten und Orphan Drugs  
<http://www.orpha.net/>
- Öffentliches Gesundheitsportal Österreichs  
[www.gesundheit.gv.at/krankheiten/seltene-krankheiten/](http://www.gesundheit.gv.at/krankheiten/seltene-krankheiten/)
- „AM PLUS Symptomdatenbank für seltene Erkrankungen“ - ein Diagnosetool insbesondere für Allgemeinmediziner, um seltene Erkrankungen frühzeitig zu erkennen. [www.symptomsuche.at](http://www.symptomsuche.at)
- Die European Public Assessment Reports (EPAR) der EMA geben einen aktuellen Überblick über alle in der EU zugelassenen Arzneimittel  
[http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/landing/epar\\_search.jsp&mid=WC0b01ac058001d125](http://www.ema.europa.eu/ema/index.jsp?curl=pages/medicines/landing/epar_search.jsp&mid=WC0b01ac058001d125)