

### **Wissenswertes rund um den „Tag der seltenen Erkrankungen“**

**Wie viele Menschen sind von seltenen Erkrankungen (engl. orphan diseases) betroffen? Wie sieht es mit Forschung und Entwicklung aus, was sind die Herausforderungen in der Diagnose und was ist bzw. regelt die Orphan Regulation? Antworten auf diese und weitere Fragen finden Sie hier.**

#### **Wann spricht man von seltenen Erkrankungen?**

Laut Definition liegt eine seltene Erkrankung vor, wenn weniger als 5 von 10.000 Menschen von ihr betroffen sind. (gemessen am europäischen Durchschnitt).

#### **Wie viele seltene Erkrankungen gibt es?**

Insgesamt sind rund 30.000 Krankheiten weltweit bekannt und basierend auf neuen Forschungsergebnissen werden es immer mehr. Zwischen 6.000 und 8.000 davon zählen zu den seltenen Erkrankungen. Über die Hälfte davon betreffen Kinder.

#### **Wie viele Patient\*innen leiden an seltenen Erkrankungen?**

Auch wenn einzelne seltene Erkrankungen nur wenige Menschen betreffen, sind es in Summe doch viele Menschen: Allein in Österreich leiden etwa 400.000 Menschen (das entspricht 6–8 Prozent der Bevölkerung) an seltenen Erkrankungen. Innerhalb der EU sind es geschätzte 30 Millionen, weltweit rund 300 Millionen Menschen.

#### **Für wie viele seltene Erkrankungen gibt es Therapien?**

Derzeit gibt es nur für etwa 5 Prozent aller seltenen Erkrankungen Therapien.

#### **Was sind die Herausforderungen bei der Diagnose seltener Erkrankungen?**

Teilweise ist das Wissen über Krankheitsbilder seltener Erkrankungen sehr gering, so dass der Weg zur Diagnose in vielen Fällen sehr langwierig ist. Bis zur richtigen Diagnose können viele Jahre vergehen.

#### **Wie wird Forschung & Entwicklung im Bereich Orphan Drugs geregelt?**

Seit dem Jahr 2000 gibt es in der Europäischen Union die „Orphan Regulation“ – die europäische Verordnung über Arzneimittel für seltene Erkrankungen (EG Nr. 141/2000). Sie wurde erlassen, um die Forschung und Entwicklung von Arzneimitteln für seltene Erkrankungen, sogenannte Orphan Drugs, zu fördern.

#### **Was bringt die Orphan Regulation?**

Die Orphan Drug Regulation bietet für die Entwicklung von Orphan Drugs bestimmte Anreize für Unternehmen, stellt gleichzeitig aber auch sehr strikte Kriterien zur Erlangung des Orphan Drug Status auf. Mit der Verordnung wurden Zulassungsgebühren für Orphan Drugs reduziert sowie ein 10-jähriges exklusives Vermarktungsrecht eingeführt. Dazu muss ein Antrag auf Zuerkennung des Orphan Drug-Status (=Designation) bei der europäischen Behörde EMA genehmigt werden.

#### **Wie sieht es mit dem Schutz von Orphan Drugs aus?**

Mit der Zulassung erhält eine Orphan Drug eine 10-jährige Marktexklusivität. D. h., weitere Orphan Drugs können in diesen 10 Jahren zur selben seltenen Erkrankung nur dann zugelassen werden, wenn sie einen signifikanten Benefit vorweisen.

#### **Wie viele Orphan Drugs wurden in den letzten Jahren zugelassen?**

In den Jahren 2000–2020 wurden auf europäischer Ebene 3.678 Anträge auf Erteilung des Orphan Drug-Status gestellt, 2.382 davon erhielten die Zuerkennung. Als Orphan Drug zugelassen sind hiervon bis jetzt nur 190. Zwar zeigt die große Zahl der Anträge (3.678) eine erfreulich hohe Forschungsaktivität in diesem Bereich, die geringe Erfolgsquote (190 Zulassungen) verdeutlicht aber auch das hohe unternehmerische Risiko, das mit der Entwicklung von Orphan Drugs verbunden ist.

### **Was tut Österreich im Bereich seltener Erkrankungen?**

In Österreich gibt es den [Nationalen Aktionsplan für seltene Erkrankungen](#), der für Betroffene eine bessere Versorgung ermöglichen soll. Der Aktionsplan setzt neun zentrale Themenschwerpunkte, die sowohl die europäischen Empfehlungen als auch die nationalen Erfordernisse berücksichtigen. Dazu zählen unter anderem die Abbildung der seltenen Erkrankungen im österreichischen Gesundheits- und Sozialsystem, die Förderung der Forschung oder die Verbesserung des Zugangs zu Therapien.

### **Seit wann gibt es den Tag der seltenen Erkrankungen?**

Erstmals begangen wurde der Tag der seltenen Erkrankungen in Europa und Kanada am 29. Februar 2008. Der Tag wurde bewusst gewählt, da er nur alle vier Jahre vorkommt und damit der seltenste Tag ist. Gibt es keinen 29. Februar, wird der Tag am 28. Februar begangen.

Ziel des Tags der seltenen Erkrankungen ist es, die Öffentlichkeit auf die Interessen der Betroffenen aufmerksam zu machen. Ins Leben gerufen hat den Aktionstag EURODIS, eine nicht-staatliche Allianz von Patientenorganisationen für Patient\*innen mit seltenen Erkrankungen. In Österreich gibt es die Dachorganisation ProRare, die eine Stimme für Patient\*innen mit seltenen Erkrankungen ist.

### **Über AOP Health**

*Die AOP Health Group umfasst mehrere Unternehmen, darunter die AOP Orphan Pharmaceuticals GmbH mit Sitz in Wien, Österreich („AOP Health“). Die AOP Health Group ist der europäische Pionier bei integrierten Therapien für Patient\*innen mit seltenen Erkrankungen sowie in der Intensivmedizin. In den letzten 25 Jahren hat sich die Gruppe zu einem etablierten Anbieter von integrierten Therapielösungen entwickelt, der von seinem Hauptsitz in Wien, seinen Tochtergesellschaften und Repräsentanzen in ganz Europa und dem Nahen Osten sowie über Partner\*innen weltweit tätig ist. Mit dem Claim „Needs. Science. Trust.“ wird die Grundlage des Erfolgs auf den Punkt gebracht: Vertrauen durch kontinuierlich hohe Investitionen in Forschung und Entwicklung und eine sehr konsequente und pragmatische Ausrichtung auf die Bedürfnisse aller Stakeholder\*innen – insbesondere der Patient\*innen und ihrer Angehörigen sowie der behandelnden Ärzt\*innen.*

### **Rückfragehinweis**

DI Isolde Fally  
Isolde.Fally@aop-health.com  
+43-676-500 4048

