

Weniger als
5 von 10.000
Einwohnern in der EU¹

ca. 4 Mio
in Deutschland¹

30.000
bekannte Krankheiten, davon werden
7.000 bis 8.000
als Seltene eingestuft¹

75%
sind Kinder¹
35%
der Todesfälle im
1. Lebensjahr sind durch
eine Seltene Erkrankung
bedingt²

80%
sind genetisch bedingt
oder mitbedingt.
Selten sind sie heilbar^{1,3}



GERINGE FALLZAHLEN


ÄRZTLICHE VERSORGUNG


DIAGNOSEFINDUNG


Herausforderung:
Seltene Erkrankungen


Kleinwuchs
Hämophilie A + B
akute lymphatische Leukämie
ATTR-PN
Akromegalie
mRCC
AML
Lymphangioliomyomatose
Wachstumshormonmangel bei Erwachsenen
PanNET
und viele mehr...

 **32 Zentren**
in Deutschland⁹

 Seit 2000 sind in der EU über
160 Medikamente für Seltene
Erkrankungen (Orphan Drugs)
zugelassen worden⁷

 Anteil der Gesamtarzneiausgaben der **IAG 2018 bei nur rund 4 %**⁸

 Rund **2.100 Arzneimitteltherapien**
mit Orphan Drug Status sind in der
Entwicklung⁷

 Für **knapp 3 %** bestehen
spezifische, zugelassene
Behandlungskonzepte⁶



Komplexes Krankheitsbild
mit chronischem Verlauf und
schwerwiegenden Folgen wie
Invalidität oder deutlich
verkürzte Lebenserwartung⁴



Durchschnittlich **sehr viele Jahre bis zur Diagnose**. Bis zu 30 Jahre warten 25 % der Patienten auf die richtige Diagnose.⁵



Bis zur richtigen Diagnose werden **2 bis 3 Fehldiagnosen** gestellt⁴



¹ EURODIS: What is a rare disease? Onlinequelle, URL: www.eurordis.org/sites/default/files/publications/Fact_Sheet_RD.pdf, zuletzt abgerufen am 16.01.2020

² PHRMA: Medicines in Development. Rare Diseases. Onlinequelle: http://phrma-docs.phrma.org/sites/default/files/pdf/Rare_Diseases_2013.pdf, zuletzt abgerufen am 16.01.2020

³ Bundesministerium für Gesundheit: Seltene Erkrankungen. Onlinequelle, URL: <https://www.bundesgesundheitsministerium.de/themen/praevention/gesundheitsgefahren/seltene-erkrankungen.html#c3521>, zuletzt abgerufen am 16.01.2020

⁴ Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit Seltene Erkrankungen: Seltene Erkrankungen. Onlinequelle. URL: <http://www.namse.de/seltene-erkrankungen.html>, zuletzt abgerufen am 15.01.2020

⁵ EURODIS: Nicht diagnostizierte seltene Erkrankungen. Onlinequelle, URL: <https://www.eurordis.org/de/content/nicht-diagnostizierte-seltene-erkrankungen>, zuletzt abgerufen am 05.12.2018

⁶ European Commission (2016): Orphan Medicinal Products. Onlinequelle. URL: http://ec.europa.eu/health/human-use/orphan-medicines/index_en.htm, zuletzt abgerufen am 15.01.2020

⁷ vfa: Zugelassene Orphan Drugs. Onlinequelle. URL: <https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/datenbanken-zu-arzneimitteln/orphan-drugs-list>, zuletzt abgerufen am 15.01.2020

⁸ vfa: Medikamente gegen seltene Erkrankungen. URL: <https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/woran-wir-forschen/orphan-drugs-medikamente-gegen-seltene-erkrankungen.html>, zuletzt abgerufen am 14.01.2020

⁹ se-atlas: Zentren für seltene Erkrankungen. Onlinequelle. URL: <https://www.se-atlas.de/map/zse/>, zuletzt abgerufen am 14.01.2020