

ÜBER SELTENE ERKRANKUNGEN



SELTENE ERKRANKUNGEN¹⁻³

Seltene Erkrankungen (engl.: rare oder orphan diseases) betreffen weniger als 650 Patienten pro 1 Million Einwohner. Von einer sehr seltenen (engl.: ultra rare) Erkrankung spricht man, wenn weniger als 20 Patienten pro 1 Million Einwohner betroffen sind.

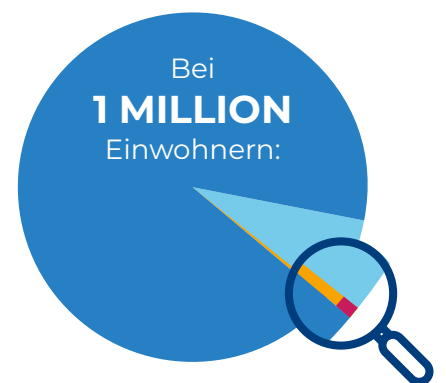
ZAHLEN UND FAKTEN⁴

- **WELTWEIT** leiden rund **300 MILLIONEN** Menschen an einer seltenen Erkrankung.
- Allein in **DEUTSCHLAND** sind es **4 MILLIONEN**.
- Insgesamt gibt es etwa **7.000** verschiedene seltene Erkrankungen – nur für **5 %** davon gibt es eine zugelassene **THERAPIE**.
- Durchschnittlich wartet ein Betroffener **4,8 JAHRE** auf die **KORREKTE DIAGNOSE**.
- **50 %** aller Betroffenen sind **KINDER**.
- **3 VON 10 KINDERN** mit einer seltenen Erkrankung **ERLEBEN IHREN FÜNFTEN GEBURTSTAG NICHT**.

85.000
leiden an Diabetes

650
leiden an einer
seltene Erkrankung

< 20
leiden an einer sehr
seltene Erkrankung



BESONDERE HERAUSFORDERUNGEN

Seltene Erkrankungen stellen besondere **Herausforderungen** an das Gesundheitswesen:

- Nur wenige Mediziner kennen sich mit der Diagnose und Behandlung von seltenen Erkrankungen aus. Dadurch kann es zu **Fehldiagnosen, verspäteten Diagnosen** oder unangemessenen Behandlungen kommen.
- Nur wenige Wissenschaftler oder Unternehmen erforschen seltene Erkrankungen, da die Arzneimittelentwicklungen in diesem Bereich mit **hohen Risiken und Investitionen** verbunden sind, z.B.:
 - Erhöhtes regulatorisches Risiko und Kosten
 - Notwendigkeit ausreichender Patientenzahl für klinische Studien

ALEXION ENGAGIERT SICH

Unser Ziel ist es medizinische Durchbrüche zu erzielen und damit Patienten und Familien, die von seltenen und sehr seltenen Krankheiten betroffen sind, durch die Erforschung, Entwicklung und Vermarktung lebensverändernder Therapien zu helfen.

Unsere therapeutischen Kernbereiche sind:

- HÄMATOLOGIE
- NEPHROLOGIE
- NEUROLOGIE
- STOFFWECHSELSTÖRUNGEN



Zugang zu Therapien schaffen

In vielen Ländern erkennen Regierungen und Kostenträger mittlerweile den Wert, den innovative Arzneimittel für Patienten mit seltenen Erkrankungen haben, an.

So können durch die Zusammenarbeit von Regierungen und Unternehmen wie Alexion medizinische Forschung und Entwicklung unterstützt und Arzneimittel zugänglich gemacht werden, sobald diese verfügbar sind.



SELBSTHILFGRUPPEN UND ORGANISATIONEN

Wird ein Patient mit einer seltenen Erkrankung diagnostiziert, kann ein unterstützendes Umfeld genauso wichtig sein wie der richtige Arzt und die richtige medizinische Behandlung. Hierfür gibt es eine Vielzahl von **Organisationen und Einrichtungen**, an die sich Patienten und Angehörige wenden können.

In Deutschland ist die **ACHSE** (Allianz chronischer seltener Erkrankungen e.V. – www.achse-online.de) der größte Zusammenschluss von Selbsthilfegruppen – auf europäischer Ebene ist es **EURORDIS** (Europäische Gesellschaft für Seltene Erkrankungen – www.eurordis.org).

Alexion arbeitet mit Organisationen und Verbänden zusammen, um die **Versorgung** von Menschen mit seltenen Erkrankungen **zu verbessern**.

Referenzen:

1. World Health Organization. Diabetes Fact Sheet. <http://www.who.int/mediacentre/factsheets/fs312/en/index.html>. Zuletzt geöffnet: Februar 2020.
2. US Food and Drug Administration. Definition of Disease Prevalence for Therapies Qualifying Under Orphan Drug Act. <http://www.ecfr.gov/cgi-bin/retrieveECFR?gp=&SID=91b7be5e87481538e33a4c0a76ba7183&n=21y5.011.6.3&r=SUBPART&ty=HTML>. Zuletzt geöffnet: Februar 2020
3. Regulation (EU) No 536/2014 of the European Parliament and of the Council of 16 April 2014 on clinical trials on medicinal products for human use, and repealing Directive 2001/20/EC. EUR-Lex website. <http://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/PDF/?uri=CELEX:32014R0536&qid=1421232837997&from=EN>. Zuletzt geöffnet: Februar 2020.
4. Rare Disease Day 2020. https://download2.eurordis.org/documents/pdf/PressRelease_RareDiseaseDay2020.pdf. Zuletzt geöffnet: Februar 2020.