

# ÜBER SELTENE ERKRANKUNGEN

**Seltene Erkrankungen** (engl.: rare oder orphan diseases) betreffen **weniger als 500 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.<sup>1</sup>



## ZAHLEN UND FAKTEN<sup>2</sup>

- **Weltweit** leiden rund **400 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

**500**

leiden an einer der vielen seltenen Erkrankungen

**< 20**

leiden an einer der sogenannten „sehr seltenen“ Erkrankungen



## 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 Arzneimittel-entwicklungen in diesem Bereich mit **hohen Risiken und Investitionen z. B. bei der Planung und Umsetzung von klinischen Studien** verbunden sind.

# ÜBER SELTENE ERKRANKUNGEN

AKTUALISIERT IM APRIL 2021 | DE/CH/UNB-U/0021

## 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 Verbreitung 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](http://www.achse-online.de)) der größte Zusammenschluss von Selbsthilfegruppen – auf europäischer Ebene ist es **EURORDIS** (Europäische Gesellschaft für Seltene Erkrankungen – [www.eurordis.org](http://www.eurordis.org)).

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

## REFERENZEN

1. <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/DE/TXT/PDF/?uri=CELEX:02000R0141-20090807&from=NL>. Zuletzt geöffnet: März 2021.
2. European Commission, Inception Impact Assessment, ARES (2020) 7081640, [https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=PI\\_COM:Ares\(2020\)7081640](https://eur-lex.europa.eu/legal-content/EN/TXT/?uri=PI_COM:Ares(2020)7081640), November 2020. Zuletzt geöffnet: März 2021.



Weitere Informationen finden Sie unter [alexion.de](http://alexion.de)