

ÜBER SELTENE ERKRANKUNGEN

Seltene Erkrankungen (engl.: rare oder orphan diseases) betreffen **weniger als 500 Patient:innen pro 1 Million Einwohner:innen**.

Von einer sehr seltenen (engl.: ultra rare) Erkrankung spricht man, wenn weniger als 20 Patient:innen pro 1 Million Einwohner:innen betroffen sind.¹



ZAHLEN UND FAKTEN²

- **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 Arzneimittelentwicklungen 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 MÄRZ 2022 | 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 Patient:innen 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.



SELBSTHILFEGRUPPEN UND ORGANISATIONEN

Wird ein Patient:in 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 Patient:innen 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. <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/DE/TXT/PDF/?uri=CELEX:02000R0141-20090807&from=NL> Zuletzt geöffnet: März 2021.
2. Global Genes, Rare Disease: Facts and Statistics. https://globalgenes.org/rare-facts/?gclid=EAIaIQobChMIwcyI3eSu6QIVCUqGCh1x6go2EAAYASACEgLQ9_D_BwE. Zuletzt geöffnet: April 2021.