

**Gemeinsame Pressemitteilung  
vom 26. Februar 2014** (korrigiert)

vfa und BPI zum Internationalen Tag der Seltenen Erkrankungen

Seite 1/3

**Orphan Drugs helfen immer mehr Menschen**

**Rückfragen an:**

Berlin. Immer mehr seltene Erkrankungen können medikamentös wirksam behandelt werden. Darauf machen der Verband der forschenden Pharma-Unternehmen (vfa) und der Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie (BPI) anlässlich des Internationalen Tages der seltenen Erkrankungen am 28. Februar aufmerksam. Nach Angaben der Europäischen Arzneimittelagentur EMA wurden allein in den letzten drei Jahren mehr als 20 Präparate gegen seltene Leiden zugelassen. Damit stehen jetzt schon über 100 Orphan Drugs zur Verfügung. 24 weitere sind im Zulassungsverfahren. Diese Entwicklung, so die EMA kürzlich, zeige insbesondere den Erfolg der europäischen Orphan-Drug Verordnung aus dem Jahr 2000.

vfa

Dr. Rolf Hömke  
Telefon 030 20604-204  
Telefax 030 20604-209  
r.hoemke@vfa.de

BPI

Joachim Odenbach  
Pressesprecher  
Telefon 030 27909-131  
Telefax 030 27909-331  
jodenbach@bpi.de

„Die großen Fortschritte in der Medizin durch die Entwicklung von Orphan Drugs sind ein Erfolg für alle Beteiligten“, sagt vfa-Hauptgeschäftsführerin Birgit Fischer. „Neue Therapiechancen für Patienten setzen voraus, dass die so geschaffenen Therapiemöglichkeiten die Versorgung erreichen und angewendet werden. Das ist eine Aufgabe, die von den Akteuren des Gesundheitswesens nur gemeinschaftlich gelöst werden kann.“

„Die Industrie ist sich ihrer Verantwortung bewusst und leistet ihren Teil“, betont Henning Fahrenkamp, der Hauptgeschäftsführer des BPI. „Es gibt aber keinen Grund sich zurückzulehnen, denn noch sind die meisten seltenen Erkrankungen nicht wirklich behandel-, geschweige denn heilbar. Die betroffenen Patientinnen und Patienten setzen große Hoffnungen in die Hersteller und das spornt uns zusätzlich an“, so Fahrenkamp.

Seltene Erkrankungen sind kein exotisches Randphänomen. Insgesamt leben in Deutschland rund vier Millionen Menschen mit solchen

Leiden. Selten ist eine Krankheit in Europa dann, wenn sie höchstens fünf von 10.000 Menschen betrifft. Der Einzelne steht mit seiner seltenen Erkrankung häufig allein auf weiter Flur, Therapiemöglichkeiten sind oft noch gar nicht vorhanden. In der EU wurde dieses Defizit erkannt und im Jahr 2000 eine Orphan Drug-Verordnung erlassen, die die Erforschung und Entwicklung geeigneter Medikamente fördert. So werden administrative und finanzielle Hilfestellungen für die Zulassung bei der europäischen Arzneimittelagentur gewährt: Unternehmen erhalten eine teilweise oder vollständige Befreiung von den EMA-Gebühren, wobei kleine und mittelständische Unternehmen von den meisten Gebühren vollständig befreit sind. Vor allem aber erhält der Hersteller bestimmte Exklusivrechte für sein Arzneimittel. Auf diese Weise kann die Industrie Arzneimittel entwickeln, deren Erforschung ansonsten aufgrund der geringen Anzahl an Betroffenen wirtschaftlich nicht darstellbar wäre.

Seite 2/3

Gemeinsame  
Pressemitteilung  
vom 26. Februar 2014

Auf nationaler Ebene haben sich verschiedene Beteiligte im Aktionsbündnis NAMSE – dem Nationalen Aktionsbündnis für Menschen mit Seltenen Erkrankungen – zusammengeschlossen, in das sich vfa und BPI kontinuierlich einbringen. Als ein Ergebnis wurde im August 2013 ein Aktionsplan veröffentlicht, der zahlreiche konkrete Maßnahmen zur Verbesserung der Forschung sowie der Diagnose- und Behandlungsmöglichkeiten vorsieht.

„Die Kooperation im Bereich der Orphan Drugs trägt langsam Früchte“, sagt Henning Fahrenkamp. „Wir können auch nur erfolgreich sein, wenn wir uns gegenseitig ergänzen und an einem Strang ziehen. Ein wichtiger politischer Punkt ist für uns dabei aber auch, dass sich die Anstrengungen der Industrie hinterher in der Erstattung niederschlagen.“

„Für mich ist ein wesentlicher Punkt des nationalen Aktionsplans“, so Birgit Fischer, „dass für die Diagnose und Ersttherapie der Erkrankten spezialisierte Kliniken aufgebaut werden und die Anschlussbehandlung dann wieder wohnortnah durch qualitätsgesicherte Arztpraxen erfolgen soll. Diese Verknüpfung wird der Qualitätssicherung und den Versorgungsbedürfnissen der Betroffenen am besten gerecht.“

Weitere Informationen:

- Was mit dem Orphan Drug-Status für ein Medikament verbunden ist, erläutert: <http://tinyurl.com/oeosp7z>
- Eine Liste aller zugelassenen Medikamente gegen seltene Krankheiten, deren Orphan Drug-Status noch gegeben oder bereits abgelaufen ist, findet sich unter: <http://www.vfa.de/orphans>
- BPI-Informationen zu Seltenen Krankheiten: <http://tinyurl.com/nmkgmfm>

Der **Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI)** vertritt das breite Spektrum der pharmazeutischen Industrie auf nationaler und internationaler Ebene. Über 240 Unternehmen mit ca. 73.000 Mitarbeitern haben sich im BPI zusammengeschlossen.

Ihr Ansprechpartner:  
Joachim Odenbach; Tel.: 030 27909-131; jodenbach@bpi.de

Der **vfa ist der Verband der forschenden Pharma-Unternehmen** in Deutschland. Er vertritt die Interessen von 45 weltweit führenden Herstellern und ihren über 100 Tochter- und Schwesterfirmen in der Gesundheits-, Forschungs- und Wirtschaftspolitik. Die Mitglieder des vfa repräsentieren rund zwei Drittel des gesamten deutschen Arzneimittelmarktes und beschäftigen in Deutschland rund 80.000 Mitarbeiter. Mehr als 18.000 davon arbeiten in Forschung und Entwicklung. Folgen Sie uns auf Twitter: [www.twitter.com/vfapharma](http://www.twitter.com/vfapharma)

Ihr Ansprechpartner:  
Dr. Rolf Hömke, Tel. 030 20604-204; r.hoemke@vfa.de

Seite 3/3

Gemeinsame  
Pressemitteilung  
vom 26. Februar 2014