

**Gemeinsame Pressemitteilung
vom 23. Februar 2018**

Seite 1/4

**Medikamente gegen seltene Krankheiten:
Fortschritt muss die Patienten erreichen**

- Am 28. Februar ist „Tag der Seltenen Erkrankungen“
- Das Nationale Aktionsbündnis für Menschen mit seltenen Erkrankungen verdient die Unterstützung der Regierung
- Mittlerweile sind 144 Medikamente gegen seltene Krankheiten entwickelt zugelassen worden

Berlin. Seit 2010 arbeitet das Nationale Aktionsbündnis für Menschen mit seltenen Erkrankungen (NAMSE) daran, entlang seines Aktionsplans die Situation von vier Millionen Patientinnen und Patienten im Land zu verbessern. Diese wichtige Arbeit verdient auch in der neuen Legislaturperiode die Unterstützung der Bundesregierung. Das betonen der Verband der forschenden Pharma-Unternehmen (vfa) und der Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie (BPI) – beide Mitglied des NAMSE – anlässlich des „Tags der Seltenen Erkrankungen“ am 28. Februar 2018.

Etwas Besonderes zu sein, macht das Leben manchmal schwerer. Davon können Millionen Menschen in Deutschland, die unter einer von schätzungsweise 8000 seltenen Erkrankungen leiden, aus oft leidvoller Erfahrung berichten. An jeder davon leiden nicht mehr als fünf von 10.000 EU-Bürgern. Vielfach dauert es Jahre, bis ihre Krankheit diagnostiziert ist, und nur wenige Ärzte kennen sich mit der Behandlung aus; und trotz wachsender Zahl entsprechender Medikamente ist für viele Krankheiten noch keine Therapie gefunden worden.

Immerhin haben Pharma-Unternehmen seit dem Jahr 2000 schon 144 Orphan Drugs, also Medikamente gegen seltene Krankheiten, zur

Zulassung gebracht, und weitere befinden sich in Entwicklung. Im Jahr 2000 begann die EU, die Entwicklung von Orphan Drugs durch eine Verordnung zu fördern.

Seite 2/4

Dr. Norbert Gerbsch, stellvertretender Hauptgeschäftsführer des BPI: „Forschung und Innovation in diesem Bereich müssen anerkannt werden. Denn nur wo geforscht wird, entstehen neue Wirkstoffe und Therapiemöglichkeiten, die die Lebenssituation von Menschen mit seltenen Erkrankungen nachhaltig verbessern können. Wer nur für ganz kleine Patientengruppen forscht und produziert, muss daher sicher sein können, dass die Arzneimittel nach der Zulassung den Patienten erreichen und entsprechend erstattet werden. Das gilt auch für die Methoden der Diagnosestellung, die Voraussetzung für eine Behandlung der Menschen mit einer seltenen Erkrankung ist.“

Gemeinsame
Pressemitteilung
vom 23. Februar 2018

Birgit Fischer, Hauptgeschäftsführerin des vfa: „Rund ein Viertel der Medikamente, die jährlich die Zulassung erhalten, können die Leiden von Patienten und Patientinnen mit seltenen Erkrankung lindern. Das Gesundheitssystem muss aber zuverlässige Wege schaffen, auf dem die Medikamente im Behandlungsalltag ankommen. Bei Medikamenten und auch in anderen Bereichen benötigen Patienten weitere Fortschritte. Das zeigt der Aktionsplan des Aktionsbündnisses NAMSE. Deshalb sollte die Unterstützung von NAMSE bei der neuen Regierung hoch auf der Agenda stehen.“

Über Seltene Krankheiten

Heute sind weltweit rund 8000 seltene Krankheiten – Krankheiten, an denen weniger als 5 von 10.000 EU-Bürgern leiden – bekannt. 80 Prozent davon sind genetisch bedingt. Dazu zählen auch bestimmte Infektionskrankheiten, Autoimmunkrankheiten oder Krebsformen. Seltene Erkrankungen sind sehr oft chronisch und führen zu Invalidität oder gar zum Tod. Für 95 Prozent der seltenen Erkrankungen besteht derzeit noch keine Behandlungsoption.

Der Tag der Seltene Erkrankungen findet am 28. Februar 2018 zum 11. Mal statt. In diesem Jahr liegt der Fokus des Aktionstages auf dem Thema Forschung und Versorgung (#ShowYourRare).

Über Medikamente gegen seltene Krankheiten

Mit ihrer Orphan Drug-Verordnung fördert die EU seit 2000 die Entwicklung von Medikamenten gegen seltene Krankheiten, den Orphan Drugs („Waisenmedikamente“). Ob ein Projekt zur Entwicklung eines neuen Medikaments den Orphan Drug-Status erhält, entscheidet die

europäische Arzneimittelbehörde EMA aufgrund der Häufigkeit (die Krankheit darf nicht mehr als 5 von 10.000 EU-Bürgern betreffen) und wissenschaftlichen Kriterien. Der Status ist für die Unternehmen mit einer Gebührenreduktion bei der EMA und einer zehnjährigen Marktexklusivität für das Orphan-Medikament verbunden; letzteres allerdings nur, wenn das Medikament in seinem Zulassungsverfahren einen Zusatznutzen gegenüber bisherigen Therapien zeigt.

Seite 3/4

Gemeinsame
Pressemitteilung
vom 23. Februar 2018

Nach der Markteinführung durchlaufen Orphan-Medikamente in Deutschland wie andere Medikamente auch eine Zusatznutzenbewertung durch den G-BA und Preisverhandlungen zwischen Hersteller und Krankenkassen.

Zum NAMSE

Das Nationale Aktionsbündnis für Menschen mit Seltenen Erkrankungen (NAMSE) ist ein Zusammenschluss des Bundesministeriums für Gesundheit, des Bundesministeriums für Bildung und Forschung, der ACHSE (Allianz Chronischer Seltener Erkrankungen) und weiterer 25 Bündnispartner aus Politik, Gesundheitswesen und Forschung. Zu seinen Zielen gehört, EU-Maßnahmen im Bereich der seltenen Erkrankungen umzusetzen, bestehende Initiativen zu bündeln, gemeinsames Handeln auf dem Gebiet der Seltenen Erkrankungen zu ermöglichen und Projekte und Aktionen im Bereich der Seltenen Erkrankungen anzustoßen. Derzeit arbeitet NAMSE an der Umsetzung seines 2013 verabschiedeten Aktionsplans.

Weitere Informationen:

- Überblick über Orphan Drugs: www.vfa.de/orphandrugs
- Register mit allen Orphan Drugs: www.vfa.de/orphans
- BPI-Informationsbroschüre „Orphan Drugs“:
<http://www.bpi.de/fileadmin/media/bpi/Downloads/Internet/Publikationen/Sonstige/BPI-Informationsbroschure-OrphanDrugs-Arneimittel-fur-seltene-Leiden.pdf>
- Nationales Aktionsbündnis für Menschen mit seltenen Erkrankungen (NAMSE): www.namse.de
- Rare Disease Day: <https://www.rarediseaseday.org/article/show-your-rare>

Kontakt:

Julia Richter, Pressesprecherin BPI
Tel.: 030 27909-131
jrichter@bpi.de

Dr. Rolf Hömke, Senior Referent Wissenschaftspresse vfa
Tel.: 030 20604-204
r.hoemke@vfa.de

Seite 4/4

Gemeinsame
Pressemitteilung
vom 23. Februar 2018

Der Bundesverband der Pharmazeutischen Industrie e. V. (BPI) vertritt mit seiner mehr als 60-jährigen Erfahrung auf den Gebieten der Arzneimittelforschung, -entwicklung, -zulassung, -herstellung und -vermarktung das breite Spektrum der pharmazeutischen Industrie auf nationaler und internationaler Ebene. Rund 250 Unternehmen mit etwa 78.000 Mitarbeitern haben sich im BPI zusammengeschlossen. Dazu gehören klassische Pharma-Unternehmen, Pharma-Dienstleister, Unternehmen aus dem Bereich der Biotechnologie, der pflanzlichen Arzneimittel und der Homöopathie/Anthroposophie.

Der vfa ist der Verband der forschenden Pharma-Unternehmen in Deutschland. Er vertritt die Interessen von 42 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 mehr als 80.000 Mitarbeiter. Mehr als 16.000 davon arbeiten in Forschung und Entwicklung. Folgen Sie uns auf Twitter: www.twitter.com/vfapharma