



ATSE

ARBEITSGEMEINSCHAFT
THERAPIE SELTENE
ERKRANKUNGEN

ORPHAN DRUGS – FÜR MEHR LEBENSQUALITÄT FÜR MENSCHEN MIT SELTENEN ERKRANKUNGEN

Orphan Drugs unterstützen Menschen mit seltenen Erkrankungen dabei trotz ihrer Einschränkungen ein vergleichsweise normales Leben zu führen und tragen erheblich zur Verbesserung ihrer Lebensqualität in allen Lebensabschnitten bei¹



DIE ATSE - ORPHAN DRUG HERSTELLER IN DEUTSCHLAND UND WELTWEIT

Wer oder was ist die ATSE?

- Informelle Arbeitsgruppe von sechs pharmazeutischen Unternehmen mit dem Fokus auf die Erforschung und Entwicklung von Arzneimitteln (so genannten Orphan Drugs) zur Behandlung von Menschen mit seltenen Erkrankungen.
- Die ATSE besteht derzeit aus sechs Unternehmen, die unter anderem auf dem deutschen Markt präsent sind: Alexion (The AstraZeneca Rare Disease Unit), BioMarin, Bristol-Myers Squibb, Chiesi, Takeda und Vertex.

Was sind die Ziele der ATSE?

Um die medizinische Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen zu verbessern, haben sich die ATSE-Mitglieder unabhängig voneinander zum Ziel gesetzt, neue fortschrittliche Therapien für seltene Erkrankungen zu entwickeln.

Um hierfür einerseits ein politisches und andererseits aber auch ein gesellschaftliches Bewusstsein zu schaffen, hat sich die ATSE dem Ziel verpflichtet, die Gesellschaft und die Politik über seltene Erkrankungen, die Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen, sowie zu den bestehenden Herausforderungen im Zusammenhang mit der Erforschung und Entwicklung neuer medikamentöser Therapien, so genannter Orphan Drugs, zu informieren und aufzuklären.



ORPHAN DRUGS – ZAHLEN UND FAKTEN

Was sind Orphan Drugs?



Orphan Drugs sind Medikamente, die entwickelt werden, um Patientinnen und Patienten mit seltenen Erkrankungen zu behandeln.² Die EU-Verordnung 141/2000³ definiert bestimmte Kriterien, die erfüllt werden müssen, damit ein Arzneimittel einen Orphan Drug Status erhalten kann.

Orphan Drugs in Zahlen:



- Rund 8000 seltene Erkrankungen sind bisher bekannt⁴
- 4 Millionen Patienten⁵ in Deutschland (+ Familienangehörige, Betreuer, Freunde, Partner im Kreis der Betroffenen)
- 6-8% der Bevölkerung (27 bis 36 Millionen Menschen) in der EU sind von einer seltenen Erkrankung betroffen⁶
- 134 Orphan Drugs sind in der Europäischen Union zugelassen⁷
- 66 Arzneimittel, deren Orphan Drug-Status verordnungsgemäß nach 10 Jahren bereits abgelaufen ist (Stand: 18.02.2022)⁸

Wussten Sie?



Rund 4 Millionen Menschen in Deutschland leiden an einer seltenen Erkrankung. Eine Erkrankung gilt in der EU (gemäß der Verordnung 141/2000) als selten, wenn in der Bevölkerung nicht mehr als 5 Personen je 100.000⁹ Einwohner von dieser Erkrankung betroffen sind. Oft sind seltene Erkrankungen sogar lebensbedrohend oder können ohne Behandlung zu chronischer Invalidität führen.¹⁰

Gesellschaftlicher Mehrwert von Orphan Drugs: Warum ist die Forschung und Entwicklung von OD so wichtig?



- Orphan Drugs sind oftmals die einzige Behandlungsmöglichkeit für Menschen mit seltenen Erkrankungen.
- Sie können erheblich zu einer Verbesserung der Lebensqualität der Patientinnen und Patienten beitragen.
- Sie wirken sich positiv auf den nachfolgenden Pflege- und Behandlungsaufwand der Betroffenen aus.
- Neue und innovative Forschungsansätze in der Entwicklung von Orphan Drugs können als Grundlagen für anderweitige Forschungsprojekte, u.a. in der Pandemiebekämpfung, dienen.

1. Pharmaindustrie-online.de: Seltene Erkrankungen: Vorteil von Orphan Drugs liegt vorrangig beim Patienten, vom 17.10.2016, Zugriff via <https://www.pharmaindustrie-online.de/management/seltene-erkrankungen-der-vorteil-von-orphan-drugs-liegt-vorrangig-beim-patienten>

2. European Medicine Agency (EMA): Orphan designation. Abgerufen am 04.10.2021, via <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview>

3. Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden. Abgerufen am 04.10.2021, via <https://eur-lex.europa.eu/LexUriServ/LexUriServ.do?uri=OJ.L:2000:018:0001:0005:en:PDF>

4. Verband der Universitätskliniken (o.D.): Seltene Erkrankungen. Zahlen und Fakten. Abgerufen am 07.03.2022, via <https://www.unikliniken.de/themen-die-bewegen/seltene-erkrankungen-waisen-der-medizin/seltene-erkrankungen-in-zahlen-fakten/>

5. Bundesministerium für Gesundheit (2021): Seltene Erkrankungen. Abgerufen am 07.03.2022, via <https://www.bundesgesundheitsministerium.de/themen/praevention/gesundheitsgefahren/seltene-erkrankungen.html>

6. Europäische Kommission (2022): Public Health, Non-communicable diseases, Steering Group, Rare diseases. Abgerufen am 18.02.2022, via https://ec.europa.eu/health/non-communicable-diseases/steering-group/rare-diseases_en

7. Verband der forschenden Pharma-Unternehmen (2021): Zugelassene Orphan Drugs. Abgerufen am 04.10.2021, via <https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/datenbanken-zu-arzneimitteln/orphan-drugs-list>

8. Verband der forschenden Pharma-Unternehmen (2021): Zugelassene Orphan Drugs. Abgerufen am 04.10.2021, via <https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/datenbanken-zu-arzneimitteln/orphan-drugs-list>

9. Verordnung (EG) Nr. 141/2000 des Europäischen Parlaments und des Rates vom 16. Dezember 1999 über Arzneimittel für seltene Leiden. Abgerufen am 04.10.2021, via <https://eur-lex.europa.eu/legal-content/DE/TXT/PDF/?uri=CELEX:02000R0141-20090807&from=NL>

10. European Medicine Agency: Orphan designation: Overview. Abgerufen am 18.02.2022, via <https://www.ema.europa.eu/en/human-regulatory/overview/orphan-designation-overview>

VOM START INS LEBEN BIS ZUM LEBENSABEND – DER GESELLSCHAFTLICHE MEHRWERT VON ORPHAN DRUGS FÜR PATIENTINNEN UND PATIENTEN IN JEDEM ALTER



„Hallo, mein Name ist Niklas. Wenige Wochen nach meinem 22. Geburtstag stellte ich die Frage: Was ist denn bitte LHON? Es hatte einige Monate vorher angefangen: Auf meinem rechten Auge sahen die Farben blasser aus als auf dem linken. Also ließ ich mich bei meiner Augenärztin untersuchen. Nach etlichen Untersuchungen brachte ein Gentest das Ergebnis: Ich litt an Leberscher Hereditärer Optikus-Neuropathie. Ich verstand erst mal nur Bahnhof.“



Monikas Erkrankung Myasthenia gravis entwickelte sich ziemlich spät. Eines Tages beim Besuch ihrer Familie traten plötzlich Doppelungen in ihr Sichtfeld (Diplopie). Ihre Erkrankung verursacht viele Schwierigkeiten im Alltagsleben, trotzdem bleibt Monika hoffnungsvoll und tut alles dafür, um ihre Krankheit zu bekämpfen.





**Gemeinsam verändern wir das Leben von Menschen mit seltenen
Erkrankungen, indem wir Arzneimittel und neueste Therapien
erforschen und entwickeln**

ATSE vertreten durch RPP Deutschland GmbH (ATSE Sekretariat)

+ 49 (0)30 84 71 20 420

atse@seltene-erkrankungen.com

www.atse.de

