

ÜBER SELTENE ERKRANKUNGEN

In der EU gilt eine **Erkrankung als selten** (engl. rare oder orphan disease), wenn nicht mehr als **500 von 1 Million** Menschen betroffen sind.^{1,2}

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



MADDOX
LEBT MIT HPP

ZAHLEN UND FAKTEN

- **Weltweit** leiden rund **400 Millionen** Menschen an einer seltenen Erkrankung.³
- Allein in **Deutschland** sind es **4 Millionen**.²
- Insgesamt gibt es etwa **11.000 verschiedene** seltene Erkrankungen³– nur für **5 %** davon gibt es eine zugelassene **Therapie**.⁴
- Durchschnittlich wartet ein Betroffener **4,8 Jahre** auf die **korrekte Diagnose**.⁵
- **50 %** aller Betroffenen sind **Kinder**.⁵
- **3 von 10 Kindern** mit einer seltenen Erkrankung **erleben ihren fünften Geburtstag nicht**.⁵
- **2 Stunden täglich** verbringen 2/3 der **Betreuenden** mit **krankheitsbedingten Tätigkeiten**.⁵

~ **85.000**

leiden an Typ-1 oder Typ-2 Diabetes⁷

~ **500**

leiden an einer der vielen seltenen Erkrankungen²

< **20**

leiden an einer der sogenannten „sehr seltenen“ Erkrankungen²



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:innen 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.



VICTOR
LEBT MIT aHUS

Führend seit 30 Jahren im Bereich der Komplementbiologie und bei seltenen Erkrankungen – seit 15 Jahren in Deutschland etabliert.

Das Ziel von Alexion ist es, das Leben von Menschen mit seltenen Erkrankungen zu verbessern, indem wir lebensverändernde Therapien sowie unterstützende Dienstleistungen und Gesundheitstechnologien entdecken, entwickeln und bereitstellen.

Unsere therapeutischen Kernbereiche sind:

- HÄMATOLOGIE
- NEPHROLOGIE
- NEUROLOGIE
- STOFFWECHSELSTÖRUNGEN
- KARDIOLOGIE
- OPHTHALMOLOGIE



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. Mit Blick auf die nächsten 30 Jahre setzt sich Alexion weiterhin dafür ein, die Grenzen der Wissenschaft auszuweiten, Innovation voranzutreiben und weltweit noch mehr Menschen mit seltenen Krankheiten Zugang zu Arzneimitteln zu ermöglichen.

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 pflegt ein großes Netzwerk und arbeitet mit Organisationen und Verbänden zusammen, um die **Versorgung** von Menschen mit seltenen Erkrankungen **zu verbessern**.



MONIKA MIT IHREM EHEMANN
LEBT MIT gMG

REFERENZEN

1. Orphanet, EURORDIS, Orphanet Island: Estimating cumulative point prevalence of rare diseases: analysis of the Orphanet database. <https://www.nature.com/articles/s41431-019-0508-0>. Zuletzt geöffnet September 2022
2. Bundesgesundheitsministerium. <https://www.bundesgesundheitsministerium.de/themen/praevention/gesundheitsgefahren/seltene-erkrankungen.html>. Zuletzt geöffnet September 2022
3. The Power of Being Counted | RARE-X. <https://rare-x.org/wp-content/uploads/2022/05/be-counted-052722-WEB.pdf>. Zuletzt geöffnet Oktober 2022
4. National Plan of Action for People with Rare Diseases. https://www.bundesgesundheitsministerium.de/fileadmin/Dateien/3_Downloads/N/NAMSE/National_Plan_of_Action.pdf. Zuletzt geöffnet September 2022
5. WHO. <https://globalgenes.org/rare-disease-facts>. Zuletzt geöffnet Juli 2022
6. Rare Barometer. Juggling care and daily life: the balancing act of the rare disease community. https://download2.eurordis.org/rbv/2017_05_09_Social%20survey%20leaflet%20final.pdf. Zuletzt geöffnet September 2022
7. RKI. Diabetes-Surveillance. <https://diabsurv.rki.de/Webs/Diabsurv/DE/startseite/startseite-node.html>. Zuletzt geöffnet September 2022.