



In einem vollen Fußballstadion mit 75.000 Besuchern hätten etwa 5.400 Menschen Typ 2 Diabetes, während gerade einmal 2 Menschen mit der seltenen Erkrankung Myelofibrose zu finden wären.

06.01.2020 11:33 CET

## Seltene Erkrankungen: Eine Herausforderung für die Forschung

Eine seltene Erkrankung zu haben bedeutet, man ist nur **Einer von sehr Wenigen** mit genau dieser Erkrankung. Denn es sind nicht mehr als 5 von 10.000 Menschen von einer einzelnen seltenen Erkrankung betroffen. Zum Vergleich: In einem vollen Fußballstadion mit 75.000 Besuchern hätten etwa 5.400 Menschen Typ 2 Diabetes, während gerade einmal 2 Menschen mit der seltenen Erkrankung Myelofibrose zu finden wären.

### Die Stecknadel im Heuhaufen finden

Das seltene Auftreten einer Erkrankung bringt ungeahnte Herausforderungen für Ärzte, aber auch für die Forschung mit sich: Das Wissen über die Ursachen, Symptome und Therapiemöglichkeiten ist oft so gering, dass eine seltene Erkrankung erst nicht erkannt wird. Bis die richtige Diagnose gestellt wird, können daher Jahre vergehen. Ist einmal die Ursache erkannt, heißt es jedoch noch lange nicht, dass eine Therapie zur Verfügung steht, mit der diese Erkrankung geheilt werden kann. Die Belastung für Betroffene und ihre Angehörigen ist kaum vorstellbar.

Bevor ein Patient überhaupt mit einem in Frage kommenden Wirkstoff – sollte dieser gefunden werden – behandelt werden kann, sind eine ganze Reihe Schritte notwendig. Dazu gehören auch Studien, an denen Patienten mitwirken. In diesem Stadium wird geprüft, ob ein Medikament wirksam, sicher und verträglich ist. Da immer nur sehr wenige Menschen von jeder dieser Erkrankungen betroffen sind, ist es sehr schwierig für solche Studien genügend freiwillige Patienten zu finden.



### Wie die Politik die Forschung fördert

Die Politik hat diese Herausforderungen erkannt und verspricht sich mit einer besonderen Förderung der Forschung an seltenen Erkrankungen eine nachhaltige Lösung für die Menschen in Not. Die EU bietet Pharmaunternehmen, die an der Entwicklung von entsprechenden Medikamenten, so genannten Orphan Drugs, arbeiten, besondere Anreize. Warum? Ganz einfach: Das Risiko zu scheitern ist extrem hoch, und damit sind die Kosten der Forschungsaktivitäten nicht einschätzbar.

Um diese Förderung zu erhalten, muss zunächst eine Arbeitsgruppe der europäischen Behörden, das COMP, den Antrag auf den Orphan Drug Status prüfen, bevor dieser durch die Europäische Kommission zuerkannt wird. Um den Status zu erhalten, müssen strenge Kriterien erfüllt werden:

1. Die Erkrankung muss selten sein, das heißt nicht mehr als 5 von 10.000 Menschen in der EU dürfen betroffen sein
2. Die Erkrankung muss schwer sein, also lebensbedrohlich oder

- muss zu chronischer Invalidität führen
3. Das Medikament muss einen signifikanten Nutzen für die Betroffenen haben. Diesen erhält es, wenn es bislang keine zufriedenstellende Behandlungsoption gibt oder ein signifikanter Nutzen gegenüber einer bestehenden Behandlungsoption erwartet wird.

Nach Erhalt des Status garantiert die EU forschenden Arzneimittelherstellern eine 10-jährige Marktexklusivität. Die EMA verzichtet außerdem ganz oder teilweise auf normalerweise anfallende Gebühren und gewährt eine wissenschaftliche Beratung.

Speziell in Deutschland müssen allerdings auch Orphan Drugs, wie andere Medikamente, den [AMNOG](#) (Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz)-Prozess durchlaufen, wobei der erhaltene Orphan Drug Status hierbei als Nachweis eines Zusatznutzens gilt. Der G-BA muss demnach nur noch über das Ausmaß des Zusatznutzens entscheiden. Danach müssen die Orphan Drugs Hersteller – so wie auch alle anderen Arzneimittel-Hersteller – mit dem Spitzenverband der Krankenkassen einen Erstattungsbetrag aushandeln, der ab dem 13. Monat nach Markteinführung gilt.

## Der Regulatorische Weg der Zulassung



## Die Bedeutung der Erforschung von seltenen Erkrankungen

Gerade, weil es sich meist um lebensbedrohliche oder sehr schwere Erkrankungen handelt, ist die Erforschung und die Entwicklung von innovativen Medikamenten besonders wichtig. Trotz der großen Herausforderungen sollten auch Menschen mit seltenen Erkrankungen von bestmöglichen Behandlungsoptionen und einer hochwertigen medizinischen Versorgung profitieren können. Deswegen arbeiten wir aktuell beispielsweise

an einem Antikörper, um die Regeneration von Nervenbahnen bei Patienten mit schwerwiegenden Rückenmarksverletzungen zu erreichen.

Bei AbbVie hat die Entwicklung neuer Therapiemöglichkeiten den höchsten Stellenwert“, so Stefan Simianer, Geschäftsführer F&E bei AbbVie Deutschland. „2018 haben wir dafür zum Beispiel 16,5 Prozent unseres Umsatzes investiert.“ AbbVie will damit Innovationen vorantreiben, die dringend benötigt werden.

---

AbbVie (NYSE:ABBV) ist ein globales, forschendes BioPharma-Unternehmen. AbbVie hat sich zum Ziel gesetzt, neuartige Therapien für einige der komplexesten und schwerwiegendsten Krankheiten der Welt bereitzustellen und die medizinischen Herausforderungen von morgen anzugehen. AbbVie will einen echten Unterschied im Leben von Menschen machen und ist mit dem Zusammenschluss mit Allergan weltweit in verschiedenen wichtigen Therapiegebieten tätig, wie Immunologie, Onkologie, Neurologie, Augenheilkunde, Virologie und Frauengesundheit. Hinzu kommt das Portfolio von Allergan Aesthetics in der medizinischen Ästhetik.

In Deutschland ist AbbVie an seinem Hauptsitz in Wiesbaden und seinem Forschungs- und Produktionsstandort in Ludwigshafen, sowie mit Allergan in Frankfurt vertreten. Insgesamt beschäftigt AbbVie inklusive Allergan weltweit 47.000 und in Deutschland rund 2.800 Mitarbeiter\*innen. Weitere Informationen zum Unternehmen finden Sie unter <http://www.abbvie.com> und [www.abbvie.de](http://www.abbvie.de). Folgen Sie [@abbvie\\_de](https://twitter.com/abbvie_de) auf Twitter oder besuchen Sie unsere Profile auf [Facebook](https://www.facebook.com/abbvie.de) oder [LinkedIn](https://www.linkedin.com/company/abbvie). Unter [www.abbvie-care.de](http://www.abbvie-care.de) finden Sie umfangreiche Informationen zu den Therapiegebieten, in denen AbbVie tätig ist.

## Kontaktpersonen



### **Christine Blindzellner**

Manager Communication & Content Strategies / Brand

Communication Manager Neurologie

[christine.blindzellner@abbvie.com](mailto:christine.blindzellner@abbvie.com)