Orphan Diseases
(Seltene Krankheiten)

Als selten gilt in der EU eine Krankheit, die nicht mehr als **1 von 2.000** Menschen betrifft.

In Deutschland leiden etwa
4 Millionen
Menschen an einer seltenen Krankheit.

Es sind über **6.000** seltene Krankheiten bekannt.

Mehr als **230** Arzneimittel gegen seltene Krankheiten wurden bisher in der EU zugelassen.

- Zu den seltenen Krankheiten zählen z. B. Hämophilie A und B, Spinale Muskelatrophie, alle Arten der Leukämie.
- Eine wirksame Behandlung gegen eine seltene Krankheit zu finden, kann sehr schwierig sein.
- Die EU bietet Anreize (z. B. Markt-exklusivität nach Zulassung) für pharmazeutische Unternehmen, Arzneimittel für Patient:innen seltener Krankheiten zu erforschen und zu entwickeln, die sonst nicht entwickelt würden.
- Um von diesen Anreizen profitieren zu können, prüft der Ausschuss für Arzneimittel für seltene Leiden (Committee for Orphan Medicinal Products, COMP) bei der EMA, den Antrag des Unternehmens das Arzneimittel als sogenanntes „Orphan medicinal product“ einzustufen. Das Paul-Ehrlich-Institut berät hier aktiv, wenn es sich um biomedizinische Arzneimittel handelt.

Paul-Ehrlich-Institut