

## Pressemitteilung

---

# DIE ENTWICKLUNG VON THERAPIEN FÜR SELTENE ERKRANKUNGEN BRAUCHT DIE RICHTIGEN IMPULSE

Die Arbeitsgemeinschaft  
Orphan Drugs & ATMPs  
der Pharmainitiative Bayern

 ALEXION

 BeiGene

 Biogen

 Bristol Myers Squibb

 IPSEN

 NOVARTIS

 Roche

 SERVIER

**München, 26. Juli 2024.** In Deutschland leben schätzungsweise etwa vier Millionen Menschen mit einer seltenen Erkrankung. Für ungefähr 95% der weltweit bekannten rund 7.000 seltenen Krankheiten gibt es jedoch noch keine zugelassene Therapie. Dabei sind innovative Therapien für die Betroffenen von großer Bedeutung: Sowohl eine frühzeitige Diagnose als auch der rasche Zugang zu Medikamenten sind entscheidend für die Lebensqualität der Patient\*innen. Deshalb setzen sich die in Bayern ansässigen Pharmaunternehmen Alexion, BeiGene, Biogen, Bristol Myers Squibb, Ipsen, Novartis, Roche und Servier intensiv für die Entwicklung sogenannter Orphan Drugs ein. Der große ungedeckte medizinische Bedarf von Menschen mit seltenen Erkrankungen und die noch unzureichenden Behandlungsmöglichkeiten motivieren diese Unternehmen, sich in diesem Bereich besonders zu engagieren.

Das Beispiel der Spinalen Muskelatrophie (SMA), einer seltenen fortschreitenden neuromuskulären Erkrankung macht deutlich, welche Erfolge durch die Forschung im Bereich der Orphan Drugs möglich sind: Bis es vor wenigen Jahren gelang, eine kausale Therapie zu entwickeln, war die SMA die häufigste genetisch bedingte Todesursache im Säuglingsalter. Heute stehen den Patient\*innen bereits drei Therapieoptionen zur Verfügung.

Bahnbrechende Innovationen im Bereich der seltenen Erkrankungen sollten auch zukünftig möglich sein. Der Fortschritt in der pharmazeutischen Forschung bedarf daher innovationsfreundlicher Rahmenbedingungen, um die hohen wirtschaftlichen Risiken bei gleichzeitig sehr kleinen Patientenpopulationen gut auszubalancieren. Seit Einführung der EU-Verordnung für Arzneimitteln für seltene Erkrankungen im Jahr 2000 wurden in Europa mehr als 230 Orphan

