

colourUp4RARE – Politischer Appell zu Seltenen Erkrankungen

Seltene Erkrankungen betreffen in Europa rund 30 Millionen Menschen; in Deutschland sind es fast vier Millionen. Für über 90 % der Seltenen Erkrankungen gibt es keine zugelassene Behandlung. Der Weg zur Diagnose dauert im Schnitt fast fünf Jahre, viele Betroffene werden zunächst falsch diagnostiziert und nicht in spezialisierte Zentren überwiesen. Das führt zu persönlichen Belastungen, Erwerbseinbußen und gesellschaftlichen Kosten.

Deutschland ist beim Zugang zu Orphan Drugs international führend – ein Erfolg von Wissenschaft, Politik, Kliniken, Ärzteschaft und Patientenorganisationen. Damit dieser Vorsprung hält, braucht es verlässliche Rahmenbedingungen, die Forschung, Entwicklung und Zugang zu bestmöglicher Versorgung dauerhaft ermöglichen.

colourUp4RARE klärt über Seltene Erkrankungen auf, stärkt Bewusstsein und fordert konkrete Verbesserungen in der Versorgung. Die EU-Orphan-Drug-Verordnung (2000) und das AMNOG (2011) haben wichtige Anreize gesetzt und einen schnellen Marktzugang ermöglicht. Heute stehen laut vfa rund 250 Orphan Drugs für mehr als 130 Seltene Erkrankungen zur Verfügung – ein Fortschritt, der aber bei weitem nicht ausreicht, solange die Mehrheit der Erkrankungen unbehandelt bleibt. Forschung zu Seltenen Erkrankungen ist komplex und risikoreich; politische Planbarkeit und stabile Anreize sind entscheidend.

Unsere zentralen Forderungen:

- **Verlässliche regulatorische und wirtschaftliche Rahmenbedingungen:** Europäische Anreize wie Marktexklusivität und Schutzfristen für Orphan Drugs erhalten und zielgerichtet weiterentwickeln. Abschwächungen, wie im EU-Pharmapaket diskutiert, darf es nicht geben, da sie Investitionen in die Entwicklung innovativer Therapien gefährden.
- **Zugang erhalten und Bewertung anpassen:** Den frühen Marktzugang in Deutschland sichern und Evidenzherausforderungen bei kleinen Patientinnen- und Patientenpopulationen angemessen berücksichtigen.
- **Das AMNOG weiterentwickeln,** um Besonderheiten von Orphan Drugs nachhaltig abzubilden und langfristige Planbarkeit zu gewährleisten.
- **Solidarische Finanzierung sicherstellen:** Die Versorgung in der gesetzlichen Krankenversicherung (GKV) auch in schwieriger Finanzlage stabil halten; Seltene Erkrankungen dürfen nicht aufgrund von Kostenrestriktionen vernachlässigt werden.

- **Versorgung und Wissenstransfer verbessern:** „Recht auf Gefundenwerden“ praktisch umsetzen – mit erleichtertem Zugang zur genetischen Diagnostik, dem Ausbau zertifizierter Zentren und interoperablen, telemedizinisch vernetzten Strukturen sowie ein deutschlandweites Register für Seltene Erkrankungen etablieren.
- **Politische Zusagen umsetzen:** Maßnahmen aus dem Koalitionsvertrag – digital vernetzte Zentren, zeitgemäße Regelungen für Zell- und Gentherapien – konsequent realisieren und messbar in der Versorgung verankern.
- **Patient:innenstimme stärken:** Patientenorganisationen verlässlich finanzieren, frühzeitig und verbindlich in Entscheidungen einbinden und bei Forschungs- und Versorgungsprojekten unterstützen.
- **Perspektive auf Seltene Erkrankungen ändern:** Seltene Erkrankungen sind kein Kostenrisiko, sondern Baustein einer patientenorientierten, modernen medizinischen Versorgung, der zu Recht eine hohe gesamtgesellschaftliche Relevanz zukommt.

Über colourUp4RARE:

- **Initiative:** *colourUp4RARE* ist eine indikationsunabhängige, unternehmensübergreifende Initiative zur Unterstützung der Aktivitäten rund um den Tag der Seltenen Erkrankungen (jährlich am letzten Februartag).
- **Zielsetzung:** Die Initiative informiert über Seltene Erkrankungen, stärkt das Bewusstsein in Öffentlichkeit und Versorgung und fordert konkrete Verbesserungen in der Betreuung von Menschen mit seltenen Erkrankungen.
Trägerschaft und Finanzierung: *colourUp4RARE* wird gemeinschaftlich von zwölf Gesundheitsunternehmen getragen und finanziert: Alexion Pharma Germany GmbH, Amgen GmbH, Avanzanite Bioscience B.V., Chiesi GmbH, CSL Vifor | Vifor Pharma Deutschland GmbH, Daiichi Sankyo Deutschland GmbH, Ipsen Pharma GmbH, Novartis Pharma GmbH, Novo Nordisk Pharma GmbH, Servier Deutschland GmbH, Takeda Pharma Vertrieb GmbH & Co. KG, UCB Pharma GmbH
- **Inhaltliche Unabhängigkeit:** Dieses Positionspapier spiegelt die Zielsetzung der Initiative wider und wurde im Rahmen der Multi-Company-Zusammenarbeit erstellt. Produkt- oder unternehmensspezifische Interessen standen nicht im Vordergrund.
- **Zielgruppen:** Politik, Fachöffentlichkeit, Patientenorganisationen, Medien und interessierte Öffentlichkeit.
- **Kontakt:** Für Rückfragen zur Initiative: colourUp4RARE@schalk-and-friends.de.

Stand: Februar 2026