

## *A ritka betegségek elleni gyógyszerek fejlesztésének helyzete*

PZ online, 28.02.2021 12:00

**Kulcsszavak:** gyógyszer, gyógyszerpiac, ritka betegségek elleni gyógyszerek, orphan drugs, kutatás-fejlesztés, innováció, nemzetközi

**Forrás Internet-helye:** [https://www.pharmazeutische-zeitung.de/diese-orphan-drugs-befinden-sich-in-der-pipeline-124048/?utm\\_source=E-Mail&utm\\_medium=Newsletter&utm\\_campaign=TDT-01-03-2021](https://www.pharmazeutische-zeitung.de/diese-orphan-drugs-befinden-sich-in-der-pipeline-124048/?utm_source=E-Mail&utm_medium=Newsletter&utm_campaign=TDT-01-03-2021)

Az elmúlt évtizedekben 183 ritka betegség elleni gyógyszer került piacra, viszont további 8.000 ritka betegség gyógyítására szolgáló gyógyszer még kísérleti fázisban van.

Az összesen mintegy 8.000 ritka betegség becslések szerint a lakosság 6-8%-át érinti, tehát minden 14-ik személyt.

**A ritka betegség definíciója:** az Európai Unióban 10.000 lakosra kevesebb mint 5 eset, az Egyesült Államokban 10.000 lakosra 7,5 eset, Ausztráliában 10.000 lakosra kevesebb mint egy eset, Svájcban 10.000 lakosra kevesebb mint 0,1 eset.

Ezek a betegek a diagnózis megállapításáig hosszú utat járnak be, utána viszont alig találnak szakértőt és gyógyszert. Erre a **ritka betegségek világnapja** emlékeztet: minden évben február 28-án, szökőévekben február 29-én.

Az Európai Unió 2000. óta támogatja a ritka betegségek elleni gyógyszerek fejlesztését. Azóta 183 ilyen gyógyszert kifejlesztésre került sor, de az EU szerint 2020 áprilisában »csak« 102 gyógyszer rendelkezett *orphan drug* státusszal, ami különleges szabályozási és gazdasági feltételekkel függ össze, lejártak (a szabadalom tíz évig, gyermekgyógyszereknél tizenkét évig érvényes), vagy már nem is forgalmazzák őket.

2020-ban 13 új *orphan drug*-ot engedélyeztek, többek között: a Hepatitis D kezelésére szolgáló első gyógyszert (*Bulevirtid*, *Hepcludex*®), a Cushing szindróma elleni *Osilodrostat*-ot (*Isturisa*®), valamint az 1-es típusú spinális izomatrófia (SMA1) elleni *Onasemnogen-Abepravovec* génterápiát (*Zolgensma*™). Csak rákos megbetegedések ellen hat új *orphan drug* került forgalomba.

**Tájékoztató a ritka betegségekről és a terápiás lehetőségekről:** [www.orpha.net](http://www.orpha.net) .