



Tag der seltenen Krankheiten: neue EU-Plattform für bessere Diagnose und Behandlung

Brüssel, 28. Februar 2019

Am heutigen Tag der seltenen Krankheiten schaltet die Europäische Kommission eine neue Online-Plattform für den Wissensaustausch frei, die die Diagnose und Behandlung von mehr als 30 Millionen Europäerinnen und Europäern, die an einer seltenen Krankheit leiden, verbessern soll.

Derzeit ist eine große Fülle an Daten über Patienten mit seltenen Krankheiten auf rund 600 „Register“, d. h. Datenbanken mit Informationen über Patienten mit bestimmten Leiden, über ganz Europa verstreut. Die Daten werden nicht EU-weit gesammelt, und es gibt keine gemeinsamen Normen für die Auswertung der verfügbaren Informationen über seltene Krankheiten. Auf der neuen [Europäischen Plattform für die Registrierung seltener Krankheiten](#) werden diese Daten zusammengeführt. Dadurch wird die Spitzenforschung gefördert, die die Diagnose und die Behandlungsergebnisse und damit auch die Lebensqualität der Patienten und ihrer Familien verbessern kann.

Vytenis **Andriukaitis**, EU-Kommissar für Gesundheit und Lebensmittelsicherheit, erklärte dazu: *„Seltene Krankheiten sind ein Problem im Gesundheitsbereich, bei dem Maßnahmen und Zusammenarbeit auf EU-Ebene eindeutig einen Mehrwert schaffen. Gemeinsam vermögen wir so viel mehr als die Summe unserer Beiträge. Diese neue EU-Plattform für die Registrierung seltener Krankheiten soll der Fragmentierung von Daten über seltene Krankheiten entgegenwirken, die Interoperabilität der bestehenden Register fördern und zur Einrichtung neuer Register beitragen. Außerdem kommt die Plattform den Europäischen Referenznetzwerken – einer wahren EU-Erfolgsgeschichte – zugute, da diese in die Lage versetzt werden, anonymisierte Informationen über einen großen Patientenbestand zu nutzen, und dadurch den Betroffenen eine bessere Behandlung bieten können.“*

Tibor **Navracsics**, Kommissar für Bildung, Kultur, Jugend und Sport und zuständig für die [Gemeinsame Forschungsstelle](#), fügte hinzu: *„Diese Plattform wird es Wissenschaftlern, politischen Entscheidungsträgern und Patienten gleichermaßen ermöglichen, vorhandene Daten über seltene Krankheiten, die bisher weitgehend ungenutzt blieben, sinnvoll zu verwenden. Indem wir EU-weite Normen für die Erhebung und den Austausch von Daten festlegen, können Informationen zudem künftig in Europa leichter miteinander verglichen werden. Die Patienten können sich darauf verlassen, dass ihre vertraulichen Daten auch vertraulich bleiben – und gleichzeitig von einer verbesserten Diagnose und Behandlung profitieren!“*

Eine seltene Krankheit kann bereits ab der Geburt auftreten, wie z. B. Mukoviszidose, oder aber zu einem späteren Zeitpunkt, wie beispielsweise Chorea Huntington. Obwohl es in Europa insgesamt zahlreiche Betroffene gibt, werden Informationen über wirksame Diagnose- und Behandlungsstrategien nicht einheitlich erfasst und oft nicht zwischen den einzelnen Registern oder über Ländergrenzen hinweg ausgetauscht. Die Patienten bleiben daher mit ihrem Leiden oft allein und haben kaum Hoffnung auf Heilung.

Es gibt in der Tat nur sehr wenige nationale Register für seltene Krankheiten in der EU; die meisten werden von einzelnen Krankenhäusern, Forschungseinrichtungen, Pharmaunternehmen oder Patientenorganisationen geführt. Es werden die unterschiedlichsten Daten erfasst. Einige betreffen die Entwicklung von Medikamenten zur Behandlung bestimmter Krankheiten, während andere beispielsweise eher geeignet wären, das Auftreten seltener Krankheiten im Laufe der Zeit zu verfolgen.

Die neue Plattform wird hier spürbare Verbesserungen bewirken. Auf der Plattform, die online verfügbar und öffentlich zugänglich ist, werden die Datenquellen der Register zusammengeführt, um eine ausreichende Menge von Patientendaten für die Durchführung pharmakologischer, translationaler oder wissenschaftlicher Studien zu erhalten.

Die Infrastruktur des Registers auf der Plattform besteht aus

- dem Europäischen Verzeichnis der Register, das Angaben über alle teilnehmenden Register enthält;
- dem zentralen Metadaten Speicher, in dem alle Arten von Variablen abgelegt sind, die von den

Registern verwendet werden;

- einem Datenschutzinstrument, mit dem gewährleistet wird, dass die Patientendaten unter einem Pseudonym geführt werden und nicht mit der betroffenen Personen in Verbindung gebracht werden können.

Durch die Festlegung EU-weiter Normen für die Erhebung und gemeinsame Nutzung von Daten wird es nun zum ersten Mal möglich sein, nach Daten von Patienten mit seltenen Krankheiten zu suchen. Durch diesen wichtigen Fortschritt kann essenzielles Wissen über einzelne Krankheiten zusammengetragen werden, wodurch die Forschung gefördert und Patienten, Gesundheitsdienstleister und politische Entscheidungsträger unterstützt werden.

Die Plattform wird ein wichtiges Instrument für das [Gemeinsame europäische Programm zur Erforschung seltener Krankheiten](#) sein, das sich als Kanal für Forschung und Innovation versteht, damit Forschungsergebnisse möglichst rasch in klinische Anwendungen umgesetzt werden und so in die Gesundheitsversorgung einfließen. Im Rahmen dieses Programms können die Ressourcen der Plattform in künftigen Forschungsprojekten eingesetzt und einem größeren Kreis von Wissenschaftlern und Ärzten, die im Bereich der seltenen Krankheiten tätig sind, sowie von Betroffenen in der EU und darüber hinaus zugänglich gemacht werden.

Hintergrund

Die Europäische Plattform für die Registrierung seltener Krankheiten steht im Einklang mit den Zielen der [Mitteilung der Kommission über seltene Krankheiten – eine Herausforderung für Europa](#) und der [Empfehlung des Rates für eine Maßnahme im Bereich seltener Krankheiten](#). Diese beiden Texte, die die Kodierung und die Erstellung einer Bestandsaufnahme seltener Krankheiten fordern, bildeten die Grundlage für die Maßnahmen der EU im Bereich der seltenen Krankheiten in den letzten zehn Jahren.

Die Plattform dient auch der Umsetzung der [Richtlinie über die Ausübung der Patientenrechte in der grenzüberschreitenden Gesundheitsversorgung](#) und insbesondere der Arbeit der Europäischen Referenznetzwerke im Bereich seltener Krankheiten. Nach dem Motto, dass nicht der Patient, sondern vielmehr das Wissen weitergereicht wird, bringen diese Netzwerke Fachärzte und Wissenschaftler zusammen und bieten Patienten Beratung.

Seltene Krankheiten gehören seit mehr als zwanzig Jahren zu den [Prioritäten der EU-Rahmenprogramme für Forschung und Innovation](#). Durch die Förderung der Interoperabilität und der Weiterverwendbarkeit von Registerdaten unterstützt die Plattform auch die von der EU finanzierte Forschung und Innovation zur Bekämpfung seltener Krankheiten.

Als wissenschaftlicher Dienst der Europäischen Kommission unterstützt die Gemeinsame Forschungsstelle die EU-Strategien mit unabhängigen wissenschaftlichen Erkenntnissen über den gesamten politischen Entscheidungsprozess hinweg.

Weitere Informationen

[Europäische Plattform für die Registrierung seltener Krankheiten](#)

[Factsheet zur Plattform](#)

[Informationen der Kommission zum Welttag der seltenen Krankheiten](#)

[Aktivitäten der Kommission auf dem Gebiet der seltenen Krankheiten](#)

[Europäische Referenznetzwerke](#)

IP/19/1414

Kontakt für die Medien:

[Nathalie VANDYSTADT](#) (+32 2 296 70 83)

[Anca PADURARU](#) (+ 32 2 299 12 69)

[Joseph WALDSTEIN](#) (+ 32 2 29 56184)

[Aikaterini APOSTOLA](#) (+32 2 298 76 24)

Kontakt für die Öffentlichkeit: [Europe Direct](#) – telefonisch unter [00 800 67 89 10 11](#) oder per [E-Mail](#)