

DIE ZUKUNFT SELTENER ERKRANKUNGEN: NIEMANDEN ZURÜCKLASSEN

Die Wichtigsten Ergebnisse über die Meinungen von Menschen mit seltenen Erkrankungen zu Politiken, die sich auf ihr Leben auswirken könnten

June 2021



30 MILLIONEN

Menschen in Europa und weltweit
300 Millionen mit einer seltenen
Erkrankung



KEINE HEILUNG

für die überwiegende Mehrheit der
Erkrankungen und wenig Therapien
verfügbar

Obwohl während des letzten Jahrzehnts große Fortschritte zur Verbesserung der Lebensqualität von Menschen mit seltenen Erkrankungen erzielt wurden, verbleiben viele nicht erfüllte Bedürfnisse. Ziel der Rare-2030-Umfrage war es, einen Einblick in die Perspektiven von Patienten mit seltenen Erkrankungen über die Zukunft seltener Erkrankungen zu gewinnen und sich auf diese bei der Ausarbeitung der [Rare-2030-Empfehlungen](#) zu stützen. Die

Umfrage zeigt, seltene Erkrankungen erfordern einen ganzheitlichen Ansatz für Forschung, Diagnose, Behandlung, Versorgung und für das Ausschöpfen neuer technologischer Möglichkeiten. Die dafür notwendigen Politiken müssen bis 2023 in ein neues europäisches Rahmenwerk für seltene Erkrankungen integriert werden, um die nationalen Pläne für seltene Erkrankungen anzuleiten, damit niemand mit einer seltenen Erkrankung zurückgelassen wird.

ERGEBNISSE VON DIE WICHTIGSTEN ERGEBNISSE DER RARE-2030-UMFRAGE

Eine großzahlige quantitative Umfrage von Rare Barometer

3 DEZEMBER 2020

17 JANUAR 2021

3998 Umfrageteilnehmer
weltweit

23 Sprachen

70 Länder

ZIELGRUPPE:

Patienten mit einer seltenen Erkrankung oder Familienmitglieder (Eltern und nahe Verwandte)

978 Repräsentierte
Erkrankungen

1 MENSCHEN MIT EINER SELTENEN ERKRANKUNG DENKEN, IHRE LEBENSQUALITÄT KÖNNTE DURCH INTEGRIERTE GESUNDHEITLICHE UND SOZIALE VERSORGUNG VERBESSERT WERDEN

Die meisten Menschen mit einer seltenen Erkrankung erwarten nicht, innerhalb der nächsten 10 Jahre geheilt zu werden, aber halten es für möglich, ihre Lebensqualität durch die Nutzung integrierter gesundheitlicher und sozialer Versorgung verbessern zu können.



der Menschen mit einer seltenen Erkrankung erwarten nicht, innerhalb der nächsten 10 Jahre von ihrer seltenen Erkrankung geheilt zu werden, aber sie hoffen auf:



58% Unterstützung bei der Bewältigung psychologischer oder emotionaler Aspekte der seltenen Erkrankung



53% eine Stabilisierung ihrer seltenen Erkrankung



49% Bewältigung der Symptome ihrer seltenen Erkrankung, selbst wenn diese noch fortschreiten



44% Zugang zu angepassten und erreichbaren Beschäftigungsmöglichkeiten sowie flexible Arbeitszeitregelungen



39% Akzeptanz ihrer seltenen Erkrankung oder Behinderung/Einschränkung in den verschiedenen Aspekten des täglichen Lebens

“Natürlich möchte ich, dass eine Heilung gefunden wird, aber falls dies nicht möglich ist (was ich für die nächsten 10 Jahre bezweifle), dann möchte ich zumindest als Patient mit einer chronischen Erkrankung behandelt werden, denn das sind wir bereits und wir sollten Zugang zu den gleichen Vorteilen, wie Patienten mit chronischen Erkrankungen haben.“ **Person mit einer seltenen Erkrankung, Spanien**



Ist es Ihrer Ansicht nach möglich und realistisch, dass Sie oder die Person, die Sie betreuen, innerhalb der nächsten 10 Jahre ...

Für die Verbesserung ihrer Versorgung sind die wichtigsten Prioritäten für Menschen mit einer seltenen Erkrankung:

-  **50%** Behandlungen und/oder Therapien, die bis jetzt noch nicht vorhanden sind
-  **44%** Bessere Koordinierung zwischen allen Gesundheitsdienstleistern, die an der medizinischen Versorgung der Erkrankung beteiligt sind
-  **33%** Beratungen durch Gesundheitsdienstleister, die sich auf die Erkrankung spezialisiert haben
-  **28%** Bessere gesellschaftliche Anerkennung der Erkrankung

“ Bis 2030 möchte ich auf neue Arzneimittel und neue Technologien; gute, spezialisierte und interdisziplinäre medizinische Versorgung und permanente Psychotherapie zugreifen können. Ich wünsche mir bessere soziale Anerkennung und Eingliederung von Menschen mit einer seltenen Erkrankung: Zugang zu angemessenen Hilfsmitteln für die Teilnahme am täglichen Leben und an der Arbeitswelt würden helfen, Vorurteile zu überwinden und das Armutsrisiko zu vermeiden.“ **Person mit einer seltenen Erkrankung, Deutschland**

Zugang zu Diagnose ist die Hauptpriorität der Umfrageteilnehmer, die noch nicht diagnostiziert sind.



Innerhalb der nächsten 10 Jahre wären die 3 wichtigsten Prioritäten zur Verbesserung der medizinischen Versorgung Ihrer seltenen Erkrankung, Zugang zu folgenden Optionen:

2 BESSERE ABSTIMMUNG DER GESUNDHEITSVERSORGUNG

Menschen mit einer seltenen Erkrankung würden lieber lokal behandelt werden, aber sind bereit, für einen leichteren Zugang zu multidisziplinärer Gesundheitsversorgung Fernberatungen zu nutzen.



81% sind bereit, Fernberatungen zur Besprechung ihrer Erkrankung mit mehreren Gesundheitsdienstleistern zu nutzen.

“ Die Fachzentren ermöglichen multidisziplinäre Beratungen. Dies ist sehr hilfreich. Aber wir sollten bestimmte Untersuchungen lokaler durchführen lassen können und Zugang zu mehr Fernberatungen haben. Ich kann die Symptome meiner Erkrankung ausreichend von zu Hause aus handhaben, aber es kostet mich viel Zeit und Energie, durchs Land zu reisen, um ein Fachzentrum zu konsultieren.“ **Person mit einer seltenen Erkrankung, Frankreich**



Wären Sie bereit, innerhalb der nächsten 10 Jahre Fernberatungen (über Telefon, Video, E-Mail, Text, App) für die Besprechung Ihrer seltenen Erkrankung mit verschiedenen Gesundheitsdienstleistern (z. B. mit Fachärzten und Ihrem Hausarzt) in Anspruch zu nehmen?

Menschen mit einer seltenen Erkrankung sind sehr gerne bereit, für eine Behandlung in ein anderes Land zu reisen.



85% wären bereit, für die medizinische Behandlung ihrer seltenen Erkrankung in ein anderes Land zu reisen, entweder bedingungslos oder abhängig von der medizinischen Behandlung oder dem Land.



Wären Sie bereit, in den nächsten 10 Jahren und AUSSERHALB VON KRISENZEITEN für die medizinische Behandlung Ihrer seltenen Erkrankung in ein anderes Land zu reisen?

3 MENSCHEN MIT EINER SELTENEN ERKRANKUNG BEFÜRWORTEN DEUTLICH NEUGEBORENE-SCREENING FÜR SELTENE ERKRANKUNGEN



95%

befürworten Neugeborenen-Screening für seltene Erkrankungen

“ Ich habe Bronchiektasie und bei der Diagnose meinten sie, ich hätte es wahrscheinlich seit vielen Jahren. Bei frühzeitigerer Diagnose und Behandlung wären meine Lungen weniger beschädigt und ich bräuchte jetzt weniger Medikamente. Mit einer frühen Diagnose wäre es möglich, Menschen mit seltenen Erkrankungen in Zukunft schneller und angemessen zu behandeln.“ **Person mit einer seltenen Erkrankung, UK**



Sollten Ihrer Meinung nach, Untersuchungen zu seltenen Erkrankungen gleich nach der Geburt des Kindes für die frühzeitige Diagnose durchgeführt werden (z. B. Bluttests, genetisches Screening)?

4 PATIENTENORGANISATIONEN SIND BEREIT, SICH AKTIV AN DER FORSCHUNG FÜR SELTENE ERKRANKUNGEN ZU BETEILIGEN

Für Patientenvertreter, sollten Patientenorganisationen zur Forschung für seltene Erkrankungen beitragen, indem sie:



94%

offizielle Partner oder Co-Prüfer werden



78%

finanzielle Mittel für Forschung im Bereich ihrer Erkrankung aufbringen



71%

eigene Forschungsprojekte leiten

“ Wir brauchen viel Forschung durch Kliniken, Doktorarbeiten, Studien - auch international bitte! Weiterhin sollten Patientenorganisationen mehr an der Forschung und den Versorgungsprozessen beteiligt sein und ihre Arbeit muss anerkannt werden.“ **Person mit einer seltenen Erkrankung, Deutschland**



Denken Sie als Patientenvertreter, dass PATIENTENORGANISATIONEN zur Forschung im Bereich seltener Erkrankungen beitragen sollten, indem sie ...

Für weitere Informationen zu den Fragen der Umfrage oder ihren Ergebnissen [lesen Sie bitte den vollständigen Bericht auf Englisch](#) oder schreiben Sie an rare.barometer@eurordis.org

Falls Sie mehr über die prospektive Studie Rare 2030 erfahren oder an der Rare-2030-Kampagne zur Umsetzung der sich ergebenden Empfehlungen teilnehmen möchten, besuchen Sie bitte action.eurordis.org/de/rare2030action

**HERZLICHEN
DANK**

an alle Menschen mit einer seltenen Erkrankung, die an der Umfrage und den Diskussionsgruppen teilgenommen haben, und an die Rare Barometer Partner und Rare 2030 Partner!