

Umsetzung der EU bei seltenen Krankheiten für Patienten und Angehörige

Februar 2026

Wussten Sie, dass?

Zwischen
27 und 36
Millionen
Menschen in der
EU leben mit
einer seltenen
Erkrankung.

Zwischen
6 000 und 8 000
Seltene Erkrankungen
existieren heute
schätzungsweise
in der EU.



Während eine seltene Krankheit nur eine Handvoll Patienten betreffen kann, können bei einer anderen bis zu **245 000 Patienten betroffen sein.**

Rund **80 %** der seltenen Erkrankungen sind genetischen Ursprungs und **70 %** beginnen bereits im Kindesalter.

Worauf konzentriert sich die Kommission?

Verstärkte europäische Maßnahmen zur Bekämpfung seltener Krankheiten

Die Maßnahmen der EU im Bereich seltener Krankheiten zielen darauf ab, den Zugang zu Wissen, Diagnose und Behandlung von Patienten mit seltenen Erkrankungen zu verbessern, indem die Forschung zu seltenen Krankheiten und das Neugeborenen-Screening finanziert werden, indem spezielle Instrumente wie das Telemedizin-Tool zur Verfügung gestellt werden, und Ressourcen gebündelt werden.

24 Europäische Referenznetzwerke (ERN) für seltene und komplexe Krankheiten sind eingerichtet und voll funktionsfähig.

Dazu gehören **1 606 spezialisierte Zentren** und **375 Krankenhäuser** in 27 EU-Mitgliedstaaten und Norwegen.

Seit ihrer Einrichtung im Jahr 2017 haben die ERN EU-Mittel und kürzlich einen direkten Zuschuss in Höhe von mehr als **77 Mio. EUR** für ihre Tätigkeiten im Zeitraum 2023-2027 erhalten.

Was waren die wichtigsten Errungenschaften im Jahr 2024?



Bessere Verfügbarkeit von und besserer Zugang zu Arzneimitteln und Medizinprodukten für Patienten mit seltenen Krankheiten in der EU

Bis Ende 2025 **wurden 280 Arzneimittel für seltene Leiden zugelassen**. Von den rund 3 200 Produkten, die als Produkte für seltene Erkrankungen eingestuft wurden, befinden sich mehr als 2 150 noch in der Entwicklung. Ein Programm, das 2024 im Rahmen von EU4Health gestartet wurde, unterstützt die Entwicklung von Medizinprodukten für seltene Leiden.

Im Jahr 2025 **wurden 18 Arzneimittel für seltene Leiden zugelassen** und rund **160 Produkte** erhielten **den Status eines Arzneimittels für seltene Erkrankungen**.

In den im Juni 2024 veröffentlichten Leitlinien auf EU-Ebene wurden zum ersten Mal Kriterien für Medizinprodukte festgelegt, die für kleine Patientenpopulationen (z. B. von einer seltenen Krankheit betroffen) bestimmt sind, um als "Produkt für seltene Leiden" eingestuft zu werden. Diese Geräte können von einer kostenlosen Beratung durch Expertengremien profitieren.



Die erste Evaluierung der ERN zeigte positive Ergebnisse

Der ERN-Evaluierungsbericht kam zu dem Schluss, dass die Ziele des ERN-Systems korrekt verfolgt werden und die ERN hochspezialisierte Arbeit für Patienten mit seltenen Krankheiten leisten. Dazu gehören Beratungen zu Diagnose und Therapien, spezialisierte Fortbildungsmaßnahmen, die Arbeit an Registern und klinischen Leitlinien.

Die ERN müssen jedoch besser in die nationalen Gesundheitssysteme integriert werden, um ihre Nachhaltigkeit zu gewährleisten.

An der Evaluierung nahmen 24 ERNs und 836 Angehörige der Gesundheitsberufe teil. 100 %

der ERN und fast 96 % ihrer Mitglieder erzielten zufriedenstellende Ergebnisse, und 4 % der Mitglieder wurde ihre Mitgliedschaft gekündigt. Im Vergleich dazu haben 72 Mitglieder (8,6 %) der ERN mit unzufriedenstellenden Ergebnissen einen Plan vorgelegt, der 2025 neu bewertet wird.



Das CPMS 2.0 - Clinical Patient Management System wurde aktualisiert

Es wurde eine neue, dedizierte und sichere IT-Plattform entwickelt, zur:

- Erleichterung von Diskussionen zwischen Angehörigen der Gesundheitsberufe in der EU und Norwegen
- Unterstützung der Diagnose und Behandlung von seltenen Krankheiten, Krankheiten mit niedriger Prävalenz und komplexen Krankheiten.

Das CPMS 2.0 ist einfacher, **benutzerfreundlicher**, sicherer, vollständig DSGVO-konform und wird unter einer Open-Source-Lizenz vertrieben. Dies **erleichtert die Zusammenarbeit zwischen den ERN** und kann von anderen Gesundheitsnetzwerken auf nationaler oder europäischer Ebene genutzt werden.



Die Gemeinsame Aktion (JARDIN) hat begonnen

Im März 2024 wurde die Gemeinsame Maßnahme zur Integration der ERN in die nationalen Gesundheitssysteme ([JARDIN](#)) ins Leben gerufen, um die Nachhaltigkeit der ERN zu gewährleisten und **ihre Zugänglichkeit zu verbessern**.

27 Mitgliedstaaten und Norwegen erhielten Fördermittel in Höhe von insgesamt **18,75 Mio. EUR**, um gemeinsam nationale Governance-Modelle für seltene Krankheiten zu entwickeln, **nationalen Pläne für seltene Krankheiten**, nationale Versorgungspfade und Überweisungssysteme zu verbessern und das Datenmanagement in den Mitgliedstaaten zu verbessern.



Kontinuierliche Verbesserung der Erkennung, Sichtbarkeit und Kodierung seltener Erkrankungen

Die **EU unterstützte weiterhin die Europäische Plattform für die Registrierung seltener Krankheiten** ([EU RD Plattform](#)), die der Fragmentierung der Daten von Patienten mit seltenen Krankheiten in mehr als 600 Registern in ganz Europa gerecht wird.

Die Plattform macht die Daten von Registern für

seltene Krankheiten durchsuchbar und auffindbar, erhöht so die Sichtbarkeit jedes Registers, maximiert den Wert der Informationen jedes Registers und ermöglicht eine erweiterte Nutzung und Wiederverwendung von Daten.

Die EU unterstützte [weiterhin Orphanet](#), das europäische Portal für seltene Krankheiten und Arzneimittel für seltene Leiden.

Zu den Aktivitäten von **Orphanet gehört die Entwicklung und Pflege einer Nomenklatur für seltene Krankheiten** ([ORPHAcode](#)), die es erleichtern kann, die Krankheit eines Patienten zu identifizieren und zu diagnostizieren und die Sichtbarkeit seltener Krankheiten im Gesundheits- und Forschungsinformationssystem zu verbessern.



Vor Ort gehen und das Bewusstsein schärfen

Die **Kommission hat gemeinsam** mit den EU-Ländern auf nationaler Ebene 12 [Workshops](#) organisiert, um **das Bewusstsein** für die Patientenrechte in der grenzüberschreitenden Gesundheitsversorgung und für die Existenz der ERN und ihrer Aktivitäten zu schärfen. Bürger, Angehörige der Gesundheitsberufe, Gesundheitsdienstleister, Kostenträger, Verwaltungen und Patientenorganisationen nahmen an den Veranstaltungen teil, an denen Malta, Italien, Irland, Griechenland–Zypern, Estland–Lettland, Polen, Finnland, Belgien–Niederlande, Frankreich, Rumänien–Ungarn, Tschechien, Deutschland–Niederlande.

Darüber hinaus hat die Kommission ihre [Website](#) zu seltenen Krankheiten und ERN überarbeitet. Zum [Tag der Seltenen Erkrankungen 2025](#) wurde eine neue Broschüre **über die ERNs und ihre Erfolgsgeschichten veröffentlicht**. Die Broschüre bietet einen aktualisierten Überblick über die ERN und einige Beispiele für die von den ERN durchgeführten Aktivitäten, **die den Mehrwert für Patienten mit seltenen Krankheiten aufzeigen**.

Was kommt als nächstes?



Reform des EU-Arzneimittelrechts und Förderung von Orphan Drugs

Die EU schlägt die Überarbeitung der Arzneimittelgesetzgebung vor, und **2026 werden große Erfolge erzielt**. Die neuen Rechtsvorschriften zielen darauf ab, **den Zugang zu sicheren und wirksameren Arzneimitteln zu verbessern**, Arzneimittel für unterversorgte seltene Krankheiten zu fördern sowie gezielte Anreize und regulatorische Unterstützung zu fördern, um außergewöhnliche therapeutische Fortschritte zu belohnen.



Förderung der Nutzung von Daten über seltene Krankheiten

Derzeit sind über **90 000 Patienten in allen ERN registriert**. Der Europäische Raum für Gesundheitsdaten wird neue Möglichkeiten für die Forschung zu seltenen Krankheiten eröffnen, EU-weite Register für seltene Krankheiten weiterentwickeln, um die Forschung zu beschleunigen, die Gesundheitsplanung und die Patientenversorgung zu verbessern.



Die Europäische Partnerschaft für seltene Krankheiten

[ERDERA](#) (2025-2031), die Europäische Partnerschaft für seltene Krankheiten, die von der Europäischen Kommission und den EU-Mitgliedstaaten, assoziierten Ländern und darüber hinaus mitbegründet wurde, wurde im September 2024 im Rahmen des [Programms "Horizont Europa" ins Leben gerufen](#). Sie umfasst ein Gesamtbudget von

380 Mio. EUR und ein **EU-Beitrag in Höhe von bis zu 150 Mio. EUR**, unter Beteiligung von mehr als **170 Organisationen aus 37 Ländern**. Sie wird die Forschungslandschaft für seltene Erkrankungen bis 2030 prägen.



Ausbildung einer neuen Generation von Ärzten zu seltenen Krankheiten

Derzeit wird daran gearbeitet, mit dem [Programm Erasmus+ Studierenden](#) an medizinischen Fakultäten die Möglichkeit zu bieten, sich Fachwissen über seltene Erkrankungen anzueignen.

Darüber hinaus gibt es laufende Bemühungen, Lehrpläne für akademische oder Spezialisierungskurse zu seltenen Krankheiten zu entwickeln und die Situation in den Mitgliedstaaten hinsichtlich ihrer Verfügbarkeit zu erfassen.



Mehr und besser kommunizieren

Im Jahr 2026 wird eine Veranstaltung auf EU-Ebene organisiert, um Schlussfolgerungen zu den Lehren aus den verschiedenen nationalen Workshops zu Patientenrechten und ERN zu ziehen. Neues Kommunikationsmaterial zu diesen Themen wird in allen EU-Sprachen veröffentlicht.