



HAUSANSCHRIFT	Friedrichstraße 108, 10117 Berlin
POSTANSCHRIFT	11055 Berlin
TEL	+49 (0)30 18441-2225
FAX	+49 (0)30 18441-1245
INTERNET	www.bundesgesundheitsministerium.de
E-MAIL	pressestelle@bmg.bund.de

Pressemitteilung

Nr. 44

Berlin, 10. Oktober 2014

Gutachten des IQWiG "Bewertung und Auswertung von Studien bei Seltenen Erkrankungen" veröffentlicht

Unter dem Titel "Bewertung und Auswertung von Studien bei Seltenen Erkrankungen" hat das Institut für Qualität und Wirtschaftlichkeit im Gesundheitswesen (IQWiG) heute ein vom Bundesministerium für Gesundheit (BMG) beauftragtes Gutachten ("Rapid Report") veröffentlicht. Mit der Veröffentlichung des Gutachtens setzt das BMG eine Maßnahme aus dem "Nationalen Aktionsplan für Menschen mit Seltenen Erkrankungen" (NAMSE) um.

Die Durchführung aussagekräftiger Studien zur Bewertung von Interventionen bei Seltenen Erkrankungen stellt eine besondere Herausforderung dar. Mit abnehmender Häufigkeit der Erkrankung wird es zunehmend schwieriger, präzise Ergebnisse zu erzielen. Die veröffentlichte Studie stellt daher methodische Aspekte und Verfahren für die Durchführung klinischer Studien sowie Kriterien zur Bewertung der Ergebnis- und Aussagesicherheit von Studien bei Seltenen Erkrankungen dar.

Zu den Ergebnissen zählt, dass ein überregionaler oder internationaler Ansatz für die klinische, patientenorientierte Erforschung Seltener Erkrankungen besonders wichtig ist. Dabei nehmen Krankheitsregister eine zentrale Rolle ein. Solche Krankheitsregister müssen – um als Basis für hochwertige, klinische, vor allem nicht randomisierte Studien dienen zu können – klaren Qualitätskriterien bezüglich Vollständigkeit und Vollzähligkeit genügen. Ob und wie diese Qualitätsaspekte umgesetzt und gewährleistet werden können, wird Bestandteil weiterer Überlegungen sein.

Veröffentlicht wurde der Nationale Aktionsplan am 28. August 2013. Er enthält 52 Maßnahmen-
vorschläge zur Verbesserung der gesundheitlichen Situation von Menschen mit Seltenen Er-
krankungen, die im Konsens entwickelt wurden. Die Maßnahmen des Nationalen Aktionsplans
dienen dazu, die vordringlichsten Probleme der Betroffenen und ihrer Angehörigen aufzugrei-
fen.

Gegründet wurde der Nationale Aktionsplan im Jahr 2010 auf Initiative des BMG mit dem Bun-
desministerium für Bildung und Forschung (BMBF) und der ACHSE e.V. (Allianz Chronischer
Seltener Erkrankungen), einem Dachverband von Selbsthilfeorganisationen aus dem Bereich
Seltener Erkrankungen. Er besteht inzwischen aus 28 Bündnispartnern, allesamt Spitzen- und
Dachverbände der wesentlichen Akteure im Gesundheitswesen, die nun gemeinschaftlich an der
Umsetzung des Nationalen Aktionsplans arbeiten.

Den Rapid Report „Bewertung und Auswertung von Studien bei Seltenen Erkrankungen“ finden
Sie unter:

[https://www.iqwig.de/download/MB13-01_Rapid-Report_Studien-bei-seltenen-
Erkrankungen.pdf](https://www.iqwig.de/download/MB13-01_Rapid-Report_Studien-bei-seltenen-Erkrankungen.pdf)

Weitere Informationen finden Sie unter:

www.bundesgesundheitsministerium.de

www.achse-online.de

www.namse.de