

Erfolgsgeschichte der Orphan Drugs

- 183 Medikamente für Medikamente gegen seltene Krankheiten (Orphan Drugs) seit dem Jahr 2000
- Europäische Fördermaßnahmen wirken
- Krankenkassen geben 4,4 % ihres Arzneimittelbudgets für Orphan Drugs aus

Berlin (vfa). Seit dem Jahr 2000 fördert die EU die Behandlung von Menschen mit seltenen Erkrankungen, indem sie geeigneten Medikamenten während ihrer Entwicklung und im ersten Marktjahrzehnt den [Orphan Drug](#)-Status verleiht. Er ist mit Erleichterungen bei Gebühren und im Wettbewerb verbunden. Bedingung ist jedoch, dass sie einen deutlichen Fortschritt gegenüber dem bisherigen Stand der therapeutischen Möglichkeiten bringen.

Dazu sagt vfa-Präsident Han Steutel anlässlich des Tags der Seltenen Erkrankungen am 28. Februar: „Kaum ein medizinisches Programm der EU war so erfolgreich wie die Förderung der Arzneimittelentwicklung gegen seltene Krankheiten. Denn ihre [Orphan Drug](#) Regulation ist die wesentliche Kraft dafür, dass forschende Pharma-Unternehmen seit dem Jahr 2000 schon 183 Mittel gegen solche Erkrankungen entwickelt haben und an zahlreichen weiteren arbeiten. Gleichzeitig gibt es noch für viele Menschen mit tausenden seltenen Krankheiten keine zufriedenstellende Therapiemöglichkeit. Deshalb sollte dieses erfolgreiche Rahmenprogramm uneingeschränkt weitergeführt werden.“

Die EU-Kommission stellt das jedoch derzeit zur Disposition, aufgrund des ungleichen Marktzugangs in den verschiedenen EU-Ländern. Auch steht zur Diskussion, den Förderrahmen auf nur noch ein Medikament pro Krankheit einzuengen. Dabei ist es in der Medizin der Normalfall, dass nicht jede Patientin und jeder Patient gleichermaßen gut auf ein bestimmtes Medikament anspricht oder es gleichermaßen gut verträgt. Daher ist die therapeutische Vielfalt auch für Menschen mit seltenen Erkrankungen wichtig und förderungswert. Eine Einschränkung der Fördermaßnahmen für die Entwicklung von Orphan Drugs würde mit weniger Orphan Drugs in der Zukunft einhergehen, ohne den Marktzugang in den EU-Mitgliedstaaten zu verbessern.

Orphan Drugs auf dem deutschen Markt

In Deutschland wuchs zwar die Zahl von Medikamenten mit Orphan Drug-Status auf dem Markt in den letzten Jahren kontinuierlich an, nicht jedoch deren Anteil an den ambulanten Arzneimittelausgaben der Gesetzlichen Krankenkassen ([GKV](#)). Er betrug 2020 nur 4,4 % (1,99 Milliarden Euro) und damit sogar weniger als 2019, da inzwischen für einige der Orphan Drug-Status ablief.

Knapp zwei Drittel der [ambulant](#) eingesetzten Medikamente mit Orphan-Drug-Status führten 2020 jeweils zu Kassenausgaben unter 10 Millionen Euro (in jedem zweiten Fall sogar unter 1 Million Euro). Für ein weiteres Drittel der Medikamente gaben die Kassen jeweils zwischen 10 und 100 Millionen Euro aus; und nur in vier Fällen mehr. Orphan Drugs sind demnach im Rahmen des [GKV](#)-Systems gut zu finanzieren und bieten die nötige Therapievialfalt für Patienten mit seltenen Leiden.

Die EU-Verordnung

Die EU-Verordnung über Arzneimittel für seltene Erkrankungen (Nr. 141/2000) trat im Januar 2000 in Kraft.

Als selten wertet die EU darin solche Krankheiten, die höchstens fünf von 10.000 EU-Bürgern betreffen. So leiden weniger als drei von 10.000 Bürgern an der Krebserkrankung Mycosis fungoides; und nur wenige mehr an einer [Hepatitis D-Infektion](#). Das familiäre Chylomikronämie-Syndrom betrifft sogar nur einen von 100.000 Bürgern. Alle drei Krankheiten können mit Neueinführungen der letzten zwei Jahre behandelt werden.

Weitere Informationen

- Zugelassene Orphan Drugs, Orphan Drugs auf dem deutschen Markt (mit Grafiken): www.vfa.de/orphandrugs
- Verzeichnis aller zugelassenen Medikamente, die den Orphan Drug-Status haben oder hatten: www.vfa.de/orphans

EU-Initiative zur Revision der EU-Gesetzgebung zu Arzneimitteln für Kinder und gegen seltene Krankheiten:

<https://ec.europa.eu/info/law/better-regulation/have-your-say/initiatives/12767-Revision-of-the-EU-legislation-on-medicines-for-children-and-rare-diseases>

Der vfa ist der Verband der forschenden Pharma-Unternehmen in Deutschland. Er vertritt die Interessen von 47 weltweit führenden Herstellern und ihren über 100 Tochter- und Schwesterfirmen in der Gesundheits-, Forschungs- und Wirtschaftspolitik. Die Mitglieder des vfa repräsentieren rund zwei Drittel des gesamten deutschen Arzneimittelmarktes und beschäftigen in Deutschland ca. 80.000 Mitarbeiter. Mehr als 19.000 davon arbeiten in Forschung und Entwicklung. Folgen Sie uns auf Twitter: www.twitter.com/vfapharma