

# Orphan-Arzneimittel nach Indikationen

Gemäß der Verordnung (EG) 141/2000 zu Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten zugelassene Präparate: **147**

Derzeit sind in der Europäischen Union die in der nachfolgenden Tabelle genannten 147 Medikamente als Orphan Drugs zugelassen. Davon sind die einige Wirkstoffe gegen mehr als eine seltene Erkrankung angezeigt und tauchen deshalb in der Liste mehrfach auf. Die Erkrankten-Zahlen basieren auf dem Dokument der Zuerkennung des Orphan-Status der europäischen Zulassungsbehörde EMA. Nach dem Vollzug des Brexit wurde die Zahl auf die aktuelle Bevölkerungszahl der EU hochgerechnet (446 Mio. Einwohner). Unterschiedliche Zahlen der Betroffenen in einem bestimmten Anwendungsgebiet sind in unterschiedlichen Alters- und Patientengruppen begründet.

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
<b>Achondroplasie</b> Skelettdysplasie / Kleinwuchs mit gestörter Knorpel- und Knochenbildung	<b>Vosoritid</b>	Voxzogo®	Aug 2021	BioMarin Europe	17.900
<b>ADA-SCID</b> schwerer kombinierter Immundefekt aufgrund von Adenosin-Desaminase-Mangel (ADA-SCID)	<b>Autologe CD34+-Zellen, die für ADA kodieren</b>	Strimvelis®	Mai 2016	Fondazione Thelethon	1.800
<b>Aderhautmelanom</b> Krebs, der die Uvea/Aderhaut des Auges betrifft	<b>Tebentafusp</b>	Kimtrak®	Apr 2022	Immunocore	4.000
<b>Adipositas durch Leptin-Rezeptor-Mangel</b> genetisch bedingter Mangel an Bindestellen für das Hormon Leptin, das Sättigung signalisiert	<b>Setmelanotid</b>	Imcivree®	Jul 2021	Rhythm Pharmaceuticals	4.500
<b>Adipositas durch Proopiomelanocortin-Mangel</b> unzureichende Hungerkontrolle durch Mangel dieser Hormonvorstufe	<b>Setmelanotid</b>	Imcivree®	Jul 2021	Rhythm Pharmaceuticals	4.500
<b>Akanthamöben-Keratitis</b> Hornhautentzündung durch Amöben-Infektion	<b>Polihexanid</b>	Akantior®	Aug 2024	SIFI	4500

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Akromegalie, Erhaltungstherapie</b> Riesenwuchs	<b>Octreotid</b>	Mycapssa®	Dez 2022	Amryt	89.000
<b>Alpha-Mannosidose</b> erbliche lysosomale Speicherkrankheit	<b>Velmanase alfa</b>	Lamzede®	Mrz 2018	Chiesi Farmaceutici	4.300
<b>Amyotrophe Lateralsklerose</b> fortschreitende Degeneration der Bewegungsneuronen	<b>Tofersen</b>	Qalsody®	Mai 2024	Biogen	4.500
<b>Angioödem, hereditäres, Prophylaxe</b> z. T. beträchtliche Schwellung tieferer Gewebe der Haut und der Schleimhäute	<b>Lanadelumab</b>	Takhzyro®	Nov 2018	Takeda	22.500
<b>Aromatische-L-Aminosäure- Decarboxylase-Mangel</b> Störung des Signalaustauschs im Gehirn	<b>Eladocagen Exuparvovec</b>	Upstaza®	Jul 2022	PTC Therapeutics	4.500
<b>Aspergillose, invasive</b> seltene lebensbedrohliche Pilzinfektion	<b>Isavuconazol</b>	Cresemba®	Okt 2015	Basilea	88.000
<b>Bardet Biedl Syndrom</b> genetisch bedingte Fehlfunktion von Zellbestandteilen (Zilien) in vielen Organen	<b>Setmelanotid</b>	Imcivree®	Sep 2022	Rhythm Pharmaceuticals	8.900
<b>Barraquer-Simons-Syndrom</b> atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	<b>Metreleptin</b>	Myalepta®	Jul 2018	Chiesi Farmaceutici	100
<b>Berardinelli-Seip-Syndrom</b> atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	<b>Metreleptin</b>	Myalepta®	Jul 2018	Chiesi Farmaceutici	450
<b>Beta-Thalassämie</b> genetisch bedingte Fehlbildung der roten Blutkörperchen	<b>Exagamglogen Autotemcel</b>	Casgevy®	Feb 2024	Vertex	35.680
<b>Beta-Thalassämie-bedingte Anämie</b> genetisch bedingte Fehlbildung der roten Blutkörperchen	<b>Luspatercept</b>	Reblozyl®	Jun 2020	Bristol Myers Squibb	44.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Blastische plasmazytoide dendritische Zellneoplasien</b> Blutkrebs (Überproduktion plasmazytoider dendritischer Zellen)	<b>Tagraxofusp</b>	Elzonris®	Jan 2021	Stemline Therapeutics	4.500
<b>B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL)</b> Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	<b>Axicabtagen Ciloleucel</b>	Yescarta®	Aug 2018	Gilead	205.000
<b>B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL)</b> Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	<b>Tafasitamab</b>	Minjuvi®	Aug 2021	Incyte Biosciences	178.000
<b>B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL)</b> Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	<b>Glofitamab</b>	Columvi®	Jul 2023	Roche	205.000
<b>B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL)</b> Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	<b>Polatuzumab Vedotin</b>	Polivy®	Jan 2020	Roche	200.000
<b>B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL)</b> Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	<b>Tisagen Leclucel</b>	Kymriah®	Aug 2018	Novartis	205.000
<b>B-Zell-Lymphom, primär, mediastinal, groß (PMLBCL)</b> Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen, die sich häufig im Brustraum ansammeln	<b>Axicabtagen Ciloleucel</b>	Yescarta®	Aug 2018	Gilead	22.000
<b>Candidiasis, invasiv</b> Pilzinfektion	<b>Rezafungin</b>	Rezzayo®	Dez 2023	Mundipharma	53.000
<b>Cholangiokarzinom</b> Krebs im Gallengang	<b>Pemigatinib</b>	Pemazyre®	Mrz 2021	Incyte Biosciences	67.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Cholangiokarzinom</b> Krebs des Gallengangs	<b>Ivosidenib</b>	Tibsovo®	Mai 2023	Laboratoires Servier	58.000
<b>Cholangitis, primär biliäre</b> entzündliche Veränderung der Gallenwege, Autoimmunerkrankung	<b>Elafibranor</b>	Iqirvo®	Sep 2024	Ipsen Pharma	21.800
<b>Cholestase, progressive familiäre intrahepatische</b> gestörter Transport von Gallenflüssigkeit mit daraus folgender Leberschädigung	<b>Odevixibat</b>	Bylvay®	Jul 2021	Ipsen Pharma	1.300
<b>Cholestase, progressive familiäre intrahepatische</b> Stau von Gallenflüssigkeit in den Gallengängen	<b>Maralixibat</b>	Livmarli®	Jun 2024	Mirum	2.700
<b>Cholestatischer Pruritus bei Alagille Syndrom</b> Ansammlung von Gallensäure in der Leber, die Leberschäden und Juckreiz verursacht	<b>Maralixibat</b>	Livmarli®	Dez 2022	Mirum	13.400
<b>Cushing Syndrom</b> durch Tumor der Hypophyse verursachte stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut	<b>Osilodrostat</b>	Isturisa®	Jan 2020	Novartis	31.000
<b>Cystinablagerungen in der Hornhaut</b> Überschüssiges Cystin wird nicht abgebaut	<b>Mercaptamin</b>	Cystadrops®	Jan 2017	Recordati	4.300
<b>Cytomegalievirus(CMV)-Infektion und/oder -Erkrankung</b> Infektion, die bei immungeschwächten Personen zu Organschäden führen kann	<b>Maribavir</b>	Livtency®	Nov 2022	Takeda	44.600
<b>Cytomegalievirus-Reaktivierung oder -Erkrankung (Prophylaxe)</b> bei Empfängern einer allogenen hämatopoetischen Stammzelltransplantation	<b>Letermovir</b>	Prevymis®	Jan 2018	MSD Sharp & Dohme	168.000
<b>Diabetes mellitus, neonataler</b>	<b>Glibenclamid</b>	Amglidia®	Mai 2018	AMMTek	850

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Dravet Syndrom</b> Form der Epilepsie	<b>Cannabidiol</b>	Epidyolex®	Sep 2019	Jazz Pharmaceuticals	22.500
<b>Dravet Syndrom</b> Form der Epilepsie	<b>Fenfluramin</b>	Fintepla®	Dez 2020	UCB	20.000
<b>Duchenne Muskeldystrophie</b> Muskelschwund wegen Dystrophinmangel	<b>Vamorolon</b>	Agamree®	Dez 2023	Santhera	35.700
<b>Eierstock-, Eileiter, Peritonealkarzinom</b> Eierstockkrebs	<b>Mirvetuximab Soravtansin</b>	Elahere®	Nov 2024	AbbVie	25.200
<b>Eierstockkrebs</b> Tumore, die in den Eierstöcken beginnen und sich auf umliegendes Gewebe ausbreiten	<b>Niraparib</b>	Zejula®	Nov 2017	Tesaro	190.000
<b>Epidermolysis bullosa, Behandlung von Hautwunden</b> genetische Hauterkrankung, bei der sich einzelne Hautschichten voneinander trennen	<b>Birkenrindenextrakt</b>	Filsuvez®	Jun 2022	Chiesi Farmaceutici	27.000
<b>epileptische Anfälle durch CDKL5-Mangel</b> CDKL5-Mangel, verursacht durch Mutationen im Cyclin-abhängigen Kinase-ähnlichen 5 (CDKL5) Gen	<b>Ganaxolon</b>	Ztalmy®	Jul 2023	Marinus	26.750
<b>Epstein-Barr-Virus positive Posttransplantations-proliferative Erkrankung</b> Krebserkrankung durch die immunsuppressive Therapie nach Transplantation	<b>Tabelecleucel</b>	Ebvallo®	Dez 2022	Pierre Fabre	71.400
<b>Faktor X-Mangel</b> Blutgerinnungsstörung	<b>Humaner Gerinnungsfaktor X</b>	Coagadex®	Mrz 2016	BPL Bioproducts	44.000
<b>Familiäre partielle Lipodystrophie</b> atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	<b>Metreleptin</b>	Myalepta®	Jul 2018	Chiesi Farmaceutici	1.300

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Familiäres Chylomikronämie Syndrom</b> angeborene sehr hohe Triglycerid-Spiegel und Ablagerung von Triglyceriden an Organen	<b>Volanesorsen</b>	Waylivra®	Mai 2019	Akcea	4.300
<b>Faziale Angiofibrome aufgrund tuberöser Sklerose</b> gutartige Tumore im Gesicht	<b>Sirolimus</b>	Hyftor®	Mai 2023	Plusultra	44.600
<b>Folikuläres Lymphom</b> übermäßige Vermehrung von B-Zellen und deren Ansammlung in Lymphknoten	<b>Tisagen Lecluceel</b>	Kymriah®	Mai 2022	Novartis	219.000
<b>Folikuläres Lymphom</b> übermäßige Vermehrung von B-Zellen und deren Ansammlung in Lymphknoten	<b>Mosunetuzumab</b>	Lunsumio®	Jun 2022	Roche	214.000
<b>Folikuläres Lymphom</b> übermäßige Vermehrung von B-Zellen und deren Ansammlung in Lymphknoten	<b>Obinutuzumab</b>	Gazyvaro®	Jun 2016	Roche	178.000
<b>Folikuläres Lymphom</b> übermäßige Vermehrung von B-Zellen und deren Ansammlung in Lymphknoten	<b>Axicabtagen Ciloleucel</b>	Yescarta®	Jun 2022	Gilead	218.000
<b>Friedreichs Ataxie</b> fortschreitende Bewegungskoordinationsstörungen durch Gewebeverhärtungen im Rückenmark und Gehirn	<b>Omaveloxolon</b>	Skyclarys®	Feb 2024	Biogen	22.300
<b>Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore (Behandlung)</b> Tumor der neuroendokrinen Zellen in Pankreas und Darm	<b>Lutetium (177Lu) Oxodotreotid</b>	Lutathera®	Sep 2017	Advanced Accelerator Applications	71.000
<b>Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore (Diagnose)</b> Lokalisierung von Primärtumoren und deren Metastasen per PET	<b>Edotreotid</b>	Somakit TOC®	Dez 2016	Advanced Accelerator Applications	155.000
<b>Gastrointestinale Stromatumore</b> Sarkome des Magen-Darmgewebes	<b>Avapritinib</b>	Ayvakyt®	Sep 2020	Blueprint Medicines	130.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Gastrointestinale Stromatumore</b> Sarkome des Magen-Darmgewebes	<b>Ripretinib</b>	Qinlock®	Nov 2021	Deciphera	133.000
<b>Gliom, niedrig- und hochgradig maligne</b> Hirntumor	<b>Trametinib</b>	Spexotras®	Jan 2024	Novartis	116.000
<b>Gliome, hoch- oder niedriggradig maligne</b> Hirntumor	<b>Dabrafenib</b>	Finlee®	Nov 2023	Novartis	115.000
<b>Granulomatose mit Polyangiitis</b> Entzündung von Blutgefäßen, die zu deren Absterben führt	<b>Avacopan</b>	Tavneos®	Jan 2022	Vifor Pharma	72.000
<b>Hämophilie A</b> Faktor VIII-Mangel, Blutgerinnungsstörung	<b>Valoctocogen Roxaparvovec</b>	Roctavian®	Aug 2022	BioMarin Europe	35.700
<b>Hämophilie A</b> Blutgerinnungsstörung; Mangel an Blutgerinnungsfaktor VIII	<b>Efanesoctocog alfa</b>	Altuvoct®	Jun 2024	Swedish Orphan Biovitrum	35.700
<b>Hämophilie B</b> Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	<b>Eftrenonacog alpha</b>	Alprolix®	Mai 2016	Swedish Orphan Biovitrum	8.500
<b>Hämophilie B</b> Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	<b>Etranacogen Dezaparvovec</b>	Hemgenix®	Feb 2023	CSL Behring	8.900
<b>Hämophilie B</b> Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	<b>Albutrepenonacog</b>	Idelvion®	Mai 2016	CSL Behring	8.500
<b>Harnstoffzyklusstörung</b> Harnstoffzyklusstörung aufgrund verschiedener Enzymmangelerkrankungen	<b>Glycerolphenylbutyrat</b>	Ravicti®	Nov 2015	Immedica	53.000
<b>Hepatitis D</b> Leberentzündung; immer zusammen mit Hepatitis B	<b>Bulevirtid</b>	Hepcludex®	Jul 2020	Gilead	177.000
<b>Hutchinson-Gilford-Progerie</b> frühzeitige, sehr schnelle Alterung	<b>Lonafarnib</b>	Zokinvy®	Jul 2022	The Medicines Company	450

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Hyperargininämie</b> Arginase 1-Mangel	<b>Pegzilarginase</b>	Loargys®	Dez 2023	Immedica	850
<b>Hypoparathyreoidismus</b> Unterfunktion der Nebenschilddrüse	<b>Palopegteriparatid</b>	Yorvipath®	Nov 2023	Ascendis	130.000
<b>Hypoparathyreoidismus</b> Unterfunktion der Nebenschilddrüse	<b>Parathyroidhormon (rekombinant)</b>	Natpar®	Apr 2017	Shire	155.000
<b>Hypophosphatämie mit Osteomalazie i.V.m. phosphaturischen mesenchymalen Tumoren</b> Tumor-assoziierte Demineralisierung der Knochen	<b>Burosumab</b>	Crysvita®	Jul 2022	Kyowa Kirin	450
<b>Hypophosphatämie, X-chromosomale, mit röntgenologisch nachgewiesener Knochenerkrankung</b> erblich bedingte hohe FGF23-Werte, die einen Mangel an für den Knochenaufbau wichtigem Phosphat verursachen	<b>Burosumab</b>	Crysvita®	Feb 2018	Kyowa Kirin	26.500
<b>Hypophosphatasie</b> Behandlung der Knochenmanifestationen der Krankheit	<b>Asfotase alfa</b>	Strensiq®	Aug 2015	Alexion	450
<b>Immunglobulin A-Nephropathie, primäre</b> Ansammlung von fehlerhaftem Immunglobulin A in der Niere	<b>Budesonid</b>	Kinpeygo®	Jul 2022	Stada	178.500
<b>Kälteagglutinin-Krankheit</b> Immunsystem zerstört die roten Blutkörperchen	<b>Sutimlimab</b>	Enjaymo®	Nov 2022	Genzyme	116.000
<b>Karzinoid-Syndrom</b> Krebs in Hormon-produzierenden Zellen	<b>Telotristat</b>	Xermelo®	Sep 2017	Ipsen Pharma	31.000
<b>Keratitis, neurotrophe</b> degenerative Erkrankung der Hornhaut des Auges	<b>Cenegermin</b>	Oxervate®	Jul 2017	Dompé	185.500



<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Keratokonjunktivitis, vernale</b> chronische schwere allergische Entzündung des Augenlids	<b>Ciclosporin</b>	Verkazia®	Jul 2018	Santen Oy	142.000
<b>Krampfanfälle im Zusammenhang mit Tuberöser Sklerose</b> Bildung von Tumoren und Wucherungen in Organen und Geweben	<b>Cannabidiol</b>	Epidyolex®	Apr 2021	Jazz Pharmaceuticals	45.000
<b>Lawrence-Syndrom</b> atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	<b>Metreleptin</b>	Myalepta®	Jul 2018	Chiesi Farmaceutici	45
<b>Lebersche ererbte Amaurose</b> ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut	<b>Voretigen Neparvovec</b>	Luxturna®	Nov 2018	Novartis	8.500
<b>Lebersche ererbte Optikusneuropathie (LHON)</b> akuter, meist schmerzloser Verlust der Sehkraft innerhalb weniger Monate	<b>Idebenon</b>	Raxone®	Sep 2015	Santhera	8.500
<b>Leichtketten-(AL)-Amyloidose, systemisch</b> Ansammlung eines fehlgefalteten Proteins im Körper	<b>Daratumumab</b>	Darzalex®	Jan 2021	Janssen	10.250
<b>Lennox-Gastaut-Syndrom</b> schwere Form der Epilepsie (bei Kindern)	<b>Fenfluramin</b>	Fintepla®	Jan 2022	UCB	89.000
<b>Lennox-Gastaut-Syndrom</b> schwere Form der Epilepsie (bei Kindern)	<b>Cannabidiol</b>	Epidyolex®	Sep 2019	Jazz Pharmaceuticals	89.000
<b>Leukämie, akute lymphatische</b> akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs)	<b>Blinatumomab</b>	Blinicyto®	Nov 2015	Amgen	79.500
<b>Leukämie, akute lymphatische</b> Krebs der B-Zell-Vorläufer	<b>Brexucabtagen Autoleucel</b>	Tecartus®	Sep 2022	Kite	62.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Leukämie, akute lymphatische</b> Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	<b>Tisagen Leclucel</b>	Kymriah®	Aug 2018	Novartis	53.500
<b>Leukämie, akute lymphatische</b> akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs)	<b>Inotuzumab Ozogamicin</b>	Besponsa®	Jun 2017	Pfizer	17.000
<b>Leukämie, akute myeloische</b> Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	<b>Daunorubicin / Cytarabin</b>	Vyxeos Liposomal®	Aug 2018	Jazz Pharmaceuticals	44.000
<b>Leukämie, akute myeloische</b> Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	<b>Gilteritinib</b>	Xospata®	Okt 2019	Astellas	62.000
<b>Leukämie, akute myeloische</b> Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion); mit FLT3-Mutation	<b>Midostaurin</b>	Rydapt®	Sep 2017	Novartis	30.500
<b>Leukämie, akute myeloische</b> Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	<b>Glasdegib</b>	Daurismo®	Jun 2020	Pfizer	58.000
<b>Leukämie, akute myeloische</b> Blutkrebs (Myeloblastenüberproduktion)	<b>Gemtuzumab Ozogamicin</b>	Mylotarg®	Apr 2018	Pfizer	44.000
<b>Leukämie, akute myeloische</b> Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	<b>Ivosidenib</b>	Tibsovo®	Mai 2023	Laboratoires Servier	49.000
<b>Leukämie, chronisch myeloische</b> Blutkrebs mit verkürztem Chromosom 22	<b>Asciminib</b>	Scemblix®	Aug 2022	Novartis	62.500
<b>Lungenhochdruck, arterieller</b> Bluthochdruck in den Lungenarterien	<b>Sotatercept</b>	Winrevair®	Aug 2024	MSD Sharp & Dohme	62.500
<b>Lungenhochdruck, chronisch thromboembolischer</b> chronisch-thromboembolischer Bluthochdruck in der Lunge	<b>Treprostinil Natrium</b>	Trepulmix®	Apr 2020	SciPharm	45.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Lungenkrebs, kleinzellig, fortgeschritten</b> Krebs der endokrinen Zellen in der Lungenschleimhaut	<b>Serplulimab</b>	Hetronifly®	Feb 2025	Henlius	1.200
<b>Lysosomaler saurer Lipase-Mangel</b> Enzymmangel-Erkrankung	<b>Sebelipase alfa</b>	Kanuma®	Aug 2015	Alexion	8.500
<b>Magenkrebs</b> Krebs im Magen und am Übergang zur Speiseröhre	<b>Zolbetuximab</b>	Vyloy®	Sep 2024	Astellas	25.000
<b>Malaria, schwere Verläufe</b> Infektionskrankheit mit dem Risiko lebensbedrohlicher Komplikationen	<b>Artesunat</b>	Artesunat Amivas®	Nov 2021	Amivas	5.150
<b>Mantelzell-Lymphom</b> Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen (B-Lymphozyten)	<b>Brexucabtagen Autoleucel</b>	Tecartus®	Dez 2020	Kite	23.000
<b>Mastozytose</b> Anreicherung zu vieler Mastzellen (ein Typ weißer Blutkörperchen) in den Organen	<b>Midostaurin</b>	Rydapt®	Sep 2017	Novartis	40.000
<b>Mastozytose, fortgeschritten systemisch</b> Anhäufung von Mastzellen in Haut und Organen	<b>Avapritinib</b>	Ayvakyt®	Mrz 2022	Blueprint Medicines	134000
<b>Merkelzellkarzinom</b> Hautkrebs, der in den Merkelzellen beginnt	<b>Retifanlimab</b>	Zynyz®	Apr 2024	Incyte Biosciences	17.500
<b>Metachromatische Leukodystrophie</b> durch Enzymmangel verursachte toxische Anlagerung von Fetten an Nervenzellen	<b>Atidarsagen Autotemcel</b>	Libmeldy®	Dez 2020	Orchard Therapeutics	400
<b>Molybdän-Cofaktor Mangel Typ A</b> Enzymausfall, weil ohne den Cofaktor Enzymproduktion unmöglich	<b>Fosdenopterin</b>	Nulibry®	Sep 2022	TMC	450
<b>Morbus Fabry</b> vererbter Enzymmangel	<b>Migalastat</b>	Galafold®	Mai 2016	Amicus Therapeutics	102.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Morbus Gaucher Typ 1</b> vererbter Enzymmangel	<b>Eliglustat</b>	Cerdelga®	Jan 2015	Genzyme	13.000
<b>Mukopolysaccharidose Typ IVA</b> Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	<b>Elosulfase alfa</b>	Vimizim®	Apr 2014	BioMarin Europe	1.300
<b>Mukopolysaccharidose Typ VII, Sly Syndrom</b> Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	<b>Vestronidase alfa</b>	Mepsevii®	Aug 2018	Ultragenyx	30
<b>Mukormykose</b> seltene lebensbedrohliche Pilzinfektion	<b>Isavuconazol</b>	Cresemba®	Okt 2015	Basilea	2.500
<b>Mukoviszidose mit bestimmten F508del- Mutationen im CTFR-Gen</b> vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports	<b>Ivacaftor / Tezacaftor / Elexacaftor</b>	Kaftrio®	Aug 2020	Vertex	45.000
<b>Mukoviszidose mit bestimmten Mutationen im CTFR-Gen</b> vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports	<b>Tezacaftor / Ivacaftor</b>	Symkevi®	Okt 2018	Vertex	41.500
<b>Multiple Myelom</b> Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	<b>Idecabtagen Vicleucel</b>	Abecma®	Aug 2021	Bristol Myers Squibb	205.000
<b>Multiple Myelom</b> Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	<b>Ixazomib</b>	Ninlaro®	Nov 2016	Takeda	177.000
<b>Multiple Myelom</b> Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	<b>Ciltacabtagene Autoleucel</b>	Carvykti®	Mai 2022	Janssen	205.000
<b>Multiple Myelom</b> Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	<b>Daratumumab</b>	Darzalex®	Mai 2016	Janssen	177.000
<b>Multiple Myelom</b> Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	<b>Carfilzomib</b>	Kyprolis®	Nov 2015	Amgen	146.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Multiples Myelom</b> Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	<b>Panobinostat</b>	Farydak®	Aug 2015	zr pharma	146.000
<b>Multiples Myelom</b> Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	<b>Talquetamab</b>	Talvey®	Aug 2023	Janssen	192.000
<b>Myasthenia gravis</b> Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden	<b>Efgartigimod alpha</b>	Vyvgart®	Aug 2022	argenx	88.900
<b>Myasthenia gravis</b> Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden	<b>Eculizumab</b>	Soliris®	Aug 2017	Alexion	165.000
<b>Myasthenia gravis, generalisiert</b> Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden	<b>Rozanolixizumab</b>	Rystiggo®	Jan 2024	UCB	89.000
<b>Mycosis fungoides oder Sézarny Syndrom</b> beides sind kutane T-Zell-Lymphome	<b>Mogamulizumab</b>	Poteligeo®	Nov 2018	Kyowa Kirin	116.000
<b>Myelodysplastisches Syndrom-bedingte Anämie</b> Erkrankung der blutbildenden Stammzellen im Knochenmark	<b>Luspatercept</b>	Reblozyl®	Jun 2020	Bristol Myers Squibb	89.000
<b>Myelofibrose, sekundär, post- Polycythaemia vera</b> krankhafte Veränderung des Knochenmarks nach einer Polycythaemia vera	<b>Fedratinib</b>	Inrebic®	Feb 2021	Bristol Myers Squibb	7.000
<b>Myelofibrose, primär</b> krankhafte Veränderung des Knochenmarks	<b>Fedratinib</b>	Inrebic®	Feb 2021	Bristol Myers Squibb	13.000
<b>Myelofibrose, primär</b> krankhafte Veränderung des Knochenmarks	<b>Momelotinib</b>	Omjara®	Jan 2024	GlaxoSmithKline	13.400

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Myelofibrose, sekundär, post-essentielle Thrombozythämie</b> krankhafte Veränderung des Knochenmarks	<b>Momelotinib</b>	Omjjara®	Jan 2024	GlaxoSmithKline	6.700
<b>Myelofibrose, sekundär, post-essenzielle Thrombozythämie</b> krankhafte Veränderung des Knochenmarks nach essenzieller Thrombozythämie	<b>Fedratinib</b>	Inrebic®	Feb 2021	Bristol Myers Squibb	7.000
<b>Myelofibrose, sekundär, post-Polycythaemia vera</b> krankhafte Veränderung des Knochenmarks	<b>Momelotinib</b>	Omjjara®	Jan 2024	GlaxoSmithKline	6.700
<b>Myotonie</b> ererbte Störung der Entspannung von Muskeln, die mit Schmerzen und Steifigkeit einhergeht	<b>Mexiletin</b>	Namuscla®	Dez 2018	Lupin	53.500
<b>Narkolepsie mit oder ohne Kataplexie</b> Exzessive Tagesschläfrigkeit	<b>Pitolisant</b>	Wakix®	Mrz 2016	Bioprojet Pharma	177.000
<b>Neuroblastom (Hochrisiko)</b> solider Tumor der Nervenzellen; häufig im Bauch oder an der Wirbelsäule	<b>Dinutuximab beta</b>	Qarziba®	Mai 2017	Eusa Pharma	44.000
<b>Neurofibromatose 1 (plexiforme Neurofibrome)</b> gut- und bösartige Tumore der Haut und der Nerven	<b>Selumetinib</b>	Koselugo®	Jun 2021	AstraZeneca	134.000
<b>Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen</b> Entzündungserkrankungen, die vor allem Sehnerv und Rückenmark betreffen und schädigen	<b>Satralizumab</b>	Enspryng®	Jun 2021	Roche	18.000
<b>Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen</b> entzündliche Autoimmunerkrankungen, die v.a. Sehnerv, Rückenmark oder Hirnstamm betreffen	<b>Eculizumab</b>	Soliris®	Aug 2019	Alexion	18.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Neuronale Ceroid-Lipofuszinose</b> Mangel an Tripeptidyl-Peptidase 1, einem Enzym zum Proteinabbau in den Zellen	<b>Cerliponase alfa</b>	Brineura®	Mai 2017	BioMarin Europe	13.000
<b>Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndrom</b> Tag-Nacht-Rhythmus-Störungen bei Blinden	<b>Tasimelteon</b>	Hetlioz®	Jul 2015	Vanda	146.000
<b>Nicht-tuberkulöse mykobakterielle Lungeninfektionen</b> verursacht durch Mycobacterium avium Complex	<b>Amikacin</b>	Arikayce liposomal®	Okt 2020	Insmed	27.000
<b>Niemann Pick Typ A, B</b> Lysosomale Speichererkrankung durch Mangel an saurer Sphingomyelinase	<b>Olipudase alpha</b>	Xenpozyme®	Jun 2022	Genzyme	4.500
<b>Ösophagitis, eosinophile</b> Speiseröhrenentzündung durch Eosinophile (weiße Blutkörperchen)	<b>Budesonid</b>	Jorveza®	Jan 2018	Dr. Falk Pharma	137.000
<b>Pankreaskarzinom</b> Krebs der Bauchspeicheldrüse	<b>Irinotecan</b>	Onivyde®	Okt 2016	Laboratoires Servier	71.000
<b>Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie</b> Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen	<b>Pegcetacoplan</b>	Aspaveli®	Dez 2021	Swedish Orphan Biovitrum	17.500
<b>Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie</b> Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen	<b>Iptacopan</b>	Fabhalta®	Mai 2024	Novartis	9.000
<b>Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie</b> Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen	<b>Danicopan</b>	Voydeya®	Apr 2024	Alexion	9.000
<b>Phenylketonurie</b> genetisch bedingte Störung des Abbaus des Proteins Phenylalanin	<b>Pegvaliase</b>	Palynziq®	Mai 2019	BioMarin Europe	86.000
<b>Polyangiitis, mikroskopische</b> Entzündung der kleinen Blutgefäße im Körper	<b>Avacopan</b>	Tavneos®	Jan 2022	Vifor Pharma	45.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Porphyrie, akute hepatische</b> Enzymdefekt, der eine Ansammlung des Porphyrins Häm im Körper verursacht	<b>Givosiran</b>	Givlaari®	Mrz 2020	Alnylam	4.300
<b>Primäre Hyperoxalurie Typ 1</b> fehlerhaftes Enzym verursacht Oxalsäureansammlung im Körper	<b>Lumasiran</b>	Oxlumo®	Nov 2020	Alnylam	2.250
<b>Primäre IgA Nephropathie</b> Entzündung der Nierenkörperchen durch Ablagerungen, die durch fehlerhaftes IgA ausgelöst werden	<b>Sparsentan</b>	Filspari®	Apr 2024	Vifor Pharma	178.000
<b>Pyruvat-Kinase-Mangel</b> Enzymmangel, der zu stark funktionseingeschränkten Blutzellen führt	<b>Mitapivat</b>	Pyrukynd®	Nov 2022	Agios	22.300
<b>Retinits pigmentosa</b> ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut	<b>Voretigen Neparvovec</b>	Luxturna®	Nov 2018	Novartis	132.000
<b>Sichelzellkrankheit</b> fehlerhafte rote Blutkörperchen transportieren keinen Sauerstoff	<b>Exagamglogen Autotemcel</b>	Casgevy®	Feb 2024	Vertex	58.000
<b>Spinale Muskelatrophie</b> Erkrankung der Motoneuronen durch Mangel an Survival Motoneuron-Protein (SMN)	<b>Nusinersen</b>	Spinraza®	Mai 2017	Biogen	18.000
<b>Spinale Muskelatrophie Typ 1</b> Muskelabbau durch fehlendes bzw. nicht ausreichend produziertes SMN-Protein	<b>Onasemnogen Abeparvovec</b>	Zolgensma®	Mai 2020	Novartis	18.000
<b>Stammzelltransplantation; hämatopoetische (Konditionierungstherapie)</b> Vorbereitung der Stammzelltransplantation bei verschiedenen Krebskrankungen	<b>Treosulfan</b>	Trecondi®	Jun 2019	Medac	31.000
<b>Thrombotische thrombozytopenische Purpura, erworbene</b> Blutgerinnungsstörung	<b>Caplacizumab</b>	Cablivi®	Aug 2018	Ablynx	112.000



<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Thrombotische thrombozytopenische Purpura, kongenital</b> Bildung kleiner Blutgerinnsel im ganzen Körper durch Enzymmangel	<b>rADAMTS13</b>	Adzynma®	Aug 2024	Takeda	98.000
<b>Thyreotoxikose bei Allan-Hernon-Dudley-Syndrom</b> Gendefektbedingte Störung des Transports eines Schilddrüsenhormons in Nervenzellen	<b>Tiratricol</b>	Emcitate®	Feb 2025	Rare Thyroid Therapeutics	430
<b>Toxische Methotrexat-Plasmakonzentrationen</b> Verhinderung toxischer Auswirkungen bei Patienten mit verzögerter Methotrexat-Ausscheidung	<b>Glucarpidase</b>	Voraxaze®	Jan 2022	SERB S.A.	133.000
<b>Transthyretin-Amyloidose mit Polyneuropathie</b> Ansammlung von Proteinen (Transthyretine) in Organen	<b>Inotersen</b>	Tegsedi®	Jul 2018	Akcea	132.000
<b>Transthyretin-Amyloidose, ererbte</b> Ansammlung von fehlgefaltetem Transthyretin in Organen	<b>Vutrisiran</b>	Amvuttra®	Sep 2022	Alnylam	80.000
<b>Transthyretin-Amyloidose, ererbte</b> Einlagerung von Proteinen im Herzen und im Nervensystem	<b>Patisiran</b>	Onpattro®	Aug 2018	Alnylam	6.000
<b>Transthyretin-Amyloidose, ererbte oder Wildtyp</b> Ansammlung von fehlgefaltetem Transthyretin in Organen	<b>Tafamidis</b>	Vyndaqel®	Feb 2020	Pfizer	134.000
<b>Tuberkulose</b> Lungentuberkulose, multiresistent	<b>Delamanid</b>	Deltyba®	Apr 2014	Otsuka	89.000
<b>Tuberkulose, MDR, XDR</b> Behandlung multiresistenter (MDR) und extensiv resistenter (XDR) Tuberkulose	<b>Pretomanid</b>	Dovprela®	Jul 2020	Mylan	86.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>T-Zell-Lymphom, kutan (Typ Mycosis fungoides)</b> Krebs des Lymphsystems; Überproduktion von T-Zellen (weiße Blutkörperchen)	<b>Chlormethin</b>	Ledaga®	Mrz 2017	Helsinn-Birex	114.000
<b>Verhinderung der Abstoßung von Nierentransplantaten</b>	<b>Imlifidase</b>	Idefirix®	Aug 2020	Hansa Biopharma	31.000
<b>Wachstumstörungen</b> unzureichende Ausschüttung von Wachstumshormon	<b>Somatrogon</b>	Ngenla®	Feb 2022	Pfizer	205.000
<b>Wachstumstörungen</b> Mangel an Wachstumshormonen	<b>Lonapegsomatropin</b>	Skytrofa® (früher: Lonap	Jan 2022	Ascendis	218.500
<b>Wachstumstörungen</b> Mangel an Wachstumshormonen	<b>Somapacitan</b>	Sogroya®	Mrz 2021	Novo Nordisk	210.000
<b>Xanthomatose, zerebrotendinöse</b> Störung der Gallensaftbildung aufgrund eines Sterol-27-Hydroxylase Mangels	<b>Chenodesoxycholsäure</b>	Chenodesoxycholsäure Le	Apr 2017	Leadiant	8.500

# Arzneimittel mit früherem Orphan-Status

Die folgenden Medikamente besitzen den Orphan-Status nicht mehr; die meisten dieser Medikamente stehen aber nach wie vor zur Behandlung der seltenen Krankheiten, gegen die sie entwickelt worden sind, zur Verfügung.

Die Anzahl der Erkrankten entspricht der Angabe in der Zuerkennung des Orphan-Status auf der Webseite der EMA.

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Akromegalie</b>	<b>Pasireotid</b>	Signifor®	Novartis	Nov 2014	Nov. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	88.000
<b>Akromegalie</b>	<b>Pegvisomant</b>	Somavert®	Pfizer	Nov 2002	Nov. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	27.000
<b>Angioödem, hereditäres; Behandlung akuter Attacken</b>	<b>Icatibant</b>	Firazyr®	Takeda	Jul 2008	Jul. 2020	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	111.000
<b>Apnoe bei Frühgeborenen, primäre</b>	<b>Coffeincitrat</b>	Peyona®	Chiesi Farmaceutici	Jul 2009	Jul. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	37.500
<b>Atypisches Hämolytisch-Urämisches Syndrom (aHUS)</b>	<b>Eculizumab</b>	Soliris®	Alexion	Nov 2011	Nov. 2023	Ablauf des zwölfjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.300

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Barrett-Ösophagus (photodynamische Therapie)</b>	<b>Porfimer natrium</b>	PhotoBarr®	Pinnacle Biologics	Mrz 2004	Mai. 2012	Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen	159.000
<b>Beta-Thalassämie</b>	<b>Betibeglogen Autotemcel</b>	Zynteglo®	bluebird bio	Mai 2019	Mrz. 2022	Rückgabe der Zulassung aus firmenstrategischen Gründen	31.000
<b>B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL)</b>	<b>Epcoritamab</b>	Tepkinly®	AbbVie	Sep 2023	Jul. 2024	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	192.000
<b>Castleman-Krankheit</b>	<b>Siltuximab</b>	Sylvant®	Janssen-Cilag	Mai 2014	Mai. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
<b>Cholangitis, primäre biliäre</b>	<b>Obeticholsäure</b>	Ocaliva®	Intercept	Dez 2016	Aug. 2024	Rücknahme der Zulassung, weil neue Studiendaten Wirksamkeit nicht belegen konnten	172.500
<b>Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome</b>	<b>Canakinumab</b>	Ilaris®	Novartis	Okt 2009	Dez. 2010	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	2.200
<b>Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome</b>	<b>Rilonacept</b>	Rilonacept Reg	Regeneron	Okt 2009	Okt. 2012	Rückgabe der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen, Medikament war nie im Markt	2.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Cushing Syndrom</b>	<b>Ketoconazol</b>	Ketoconazole H	Laboratoire HRA Pharma	Nov 2014	Nov. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	40.000
<b>Dermatofibrosarcoma protuberans</b>	<b>Imatinib</b>	Glivec®	Novartis	Sep 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500
<b>Duchenne Muskeldystrophie</b>	<b>Ataluren</b>	Translarna®	PTC Therapeutics	Jul 2014	Aug. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	17.000
<b>Ductus arteriosus bei Frühgeborenen</b>	<b>Ibuprofen</b>	Pedea®	Orphan Europe	Jul 2004	Jul. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	92.000
<b>Eierstock-, Eileiter, Peritonealkarzinom</b>	<b>Rucaparib</b>	Rubraca®	zr pharma	Mai 2018	Dez. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status vor Erscheinen des OMAR, in dem COMP um weitere Daten hins. Significant benefit gebeten hat	208.000
<b>Eierstockkrebs</b>	<b>Trabectedin</b>	Yondelis®	Pharma Mar	Okt 2009	Okt. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	104.000
<b>Eierstockkrebs</b>	<b>Olaparib</b>	Lynparza®	AstraZeneca	Dez 2014	Mrz. 2018	Erweiterung der Indikation auf nicht-seltene Erkrankung	132.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Eisenüberladung, chronisch</b>	<b>Deferasirox</b>	Exjade®	Novartis	Aug 2006	Aug. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	119.000
<b>Erythropoetische Protoporphyrrie, Phototoxizität</b>	<b>Afamelanotid</b>	Scenesse®	Clinuvel	Dez 2014	Dez. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	8.500
<b>Extravasation durch Anthracycline</b>	<b>Dexrazoxan</b>	Savene®	CNX Therapeutics	Jul 2006	Jul. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	1.250
<b>Familiäre adenomatöse Polyposis</b>	<b>Celecoxib</b>	Onsenal®	Pfizer	Okt 2003	Mrz. 2011	Marktrücknahme, da als Zulassungsaufgabe geforderte Daten nicht geliefert werden konnten	13.000-44.000
<b>Familiäre Lipoproteinlipasedefizienz mit Pankreatitisschüben</b>	<b>Alipogen tiparvovec</b>	Glybera®	uniQure biopharma	Okt 2012	Okt. 2017	Rückgabe der Zulassung (keine Verlängerung) aus wirtschaftlichen Gründen	850
<b>Gallensäuresynthesestörung</b>	<b>Cholsäure</b>	Kolbam®	Retrophin Europe	Apr 2014	Jul. 2020	Rückgabe der Zulassung durch Zulassungshaber	3.500
<b>Gallensäuresynthesestörung</b>	<b>Cholsäure</b>	Orphacol®	Laboratoires CTRS	Sep 2013	Sep. 2023	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	3.500

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Gastrointestinale Stromatumore</b>	<b>Sunitinib</b>	Sutent®	Pfizer	Jul 2006	Jul. 2008	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	13.000
<b>Gastrointestinale Stromatumore</b>	<b>Imatinib</b>	Glivec®	Novartis	Mai 2002	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	2.500
<b>Gliom, malignes</b>	<b>5-Aminolaevulinsäure</b>	Gliolan®	photonamic	Sep 2007	Sep. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	44.000
<b>Haarzell-Leukämie</b>	<b>Moxetumomab Pasudotox</b>	Lumoxiti®	AstraZeneca	Feb 2021	Jul. 2021	Rückgabe der Zulassung aus kommerziellen Gründen	44.500
<b>Haarzell-Leukämie</b>	<b>Cladribin</b>	Litak®	Lipomed	Apr 2004	Apr. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	157.000
<b>Hodgkin Lymphom</b>	<b>Brentuximab Vedotin</b>	Adcetris®	Takeda	Okt 2012	Jun. 2024	wirtschaftliche Gründe	44.000
<b>Homocystinurie</b>	<b>Betain</b>	Cystadane®	Orphan Europe	Feb 2007	Feb. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	7.000
<b>Hyperammonämie aufgrund verschiedener seltener Erkrankungen</b>	<b>Carglumsäure</b>	Carbaglu®	Recordati	Mai 2011	Jun. 2021	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	2.500

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Hyperammonämie wegen primären N-acetylglutamat Synthasemangels</b>	<b>Carglumsäure</b>	Carbaglu®	Recordati	Jan 2003	Jan. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	70
<b>Hypereosinophiles Syndrom / Leukämie, chronische eosinophile</b>	<b>Imatinib</b>	Glivec®	Novartis	Nov 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500
<b>Idiopathische thrombozytopenische Purpura</b>	<b>Romiplostim</b>	Nplate®	Amgen	Feb 2009	Feb. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	43.000
<b>Idiopathische thrombozytopenische Purpura</b>	<b>Eltrombopag</b>	Revolade®	Novartis	Mrz 2010	Dez. 2011	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	108.000
<b>Interstitielle Lungenerkrankung bei systemischer Sklerose</b>	<b>Nintedanib</b>	Ofev®	Boehringer Ingelheim	Apr 2020	Mai. 2020	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	156.000
<b>Kurzdarmsyndrom</b>	<b>Teduglutid</b>	Revestive ®	Takeda	Aug 2012	Sep. 2024	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	19.000
<b>Lambert-Eaton-Myasthenisches Syndrom</b>	<b>Amifampridin</b>	Firdapse®	BioMarin Europe	Dez 2009	Dez. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500



<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Leberzellkrebs</b>	<b>Sorafenib</b>	Nexavar®	Bayer	Okt 2007	Okt. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
<b>Lennox-Gastaut-Syndrom</b>	<b>Rufinamid</b>	Inovelon®	Eisai	Jan 2007	Jan. 2019	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000-88.000
<b>Leukämie, akute lymphatische</b>	<b>Ponatinib</b>	Iclusig®	Incyte Biosciences	Jul 2013	Jul. 2023	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
<b>Leukämie, akute lymphatische</b>	<b>Mercaptopurin</b>	Xaluprine®	Nova Laboratories	Mrz 2012	Mrz. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	52.500
<b>Leukämie, akute lymphatische</b>	<b>Imatinib</b>	Glivec®	Novartis	Sep 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	21.500
<b>Leukämie, akute lymphatische</b>	<b>Clofarabin</b>	Evoltra®	Genzyme	Mai 2006	Jun. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	17.500
<b>Leukämie, akute lymphatische</b>	<b>Dasatinib</b>	Sprycel®	Bristol Myers Squibb	Nov 2006	Nov. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	31.500

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Leukämie, akute myeloische</b>	<b>Histamin dihydrochlorid</b>	Ceplene®	Laboratoire s Delbert	Okt 2008	Okt. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	29.000
<b>Leukämie, akute myeloische</b>	<b>Decitabin</b>	Dacogen®	Janssen-Cilag	Sep 2012	Sep. 2024	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	87.000
<b>Leukämie, akute myeloische</b>	<b>Azacitidin</b>	Vidaza®	Bristol Myers Squibb	Dez 2008	Dez. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	87.000
<b>Leukämie, chronisch lymphatische</b>	<b>Ofatumumab</b>	Arzerra®	Novartis	Apr 2010	Feb. 2019	Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen	152.000
<b>Leukämie, chronisch lymphatische</b>	<b>Ibrutinib</b>	Imbruvica®	Janssen	Okt 2014	Okt. 2021	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000
<b>Leukämie, chronisch lymphatische</b>	<b>Venetoclax</b>	Venclyxto®	AbbVie	Dez 2016	Okt. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	215.500
<b>Leukämie, chronisch lymphatische</b>	<b>Obinutuzumab</b>	Gazyvaro®	Roche	Jul 2014	Jul. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	133.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Leukämie, chronisch myeloische</b>	<b>Dasatinib</b>	Sprycel®	Bristol Myers Squibb	Nov 2006	Nov. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	39.000
<b>Leukämie, chronisch myeloische</b>	<b>Nilotinib</b>	Tasigna®	Novartis	Nov 2007	Nov. 2019	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
<b>Leukämie, chronisch myeloische</b>	<b>Imatinib</b>	Glivec®	Novartis	Nov 2001	Nov. 2011	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	40.000
<b>Leukämie, chronisch myeloische</b>	<b>Ponatinib</b>	Iclusig®	Incyte Biosciences	Jul 2013	Jul. 2023	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	35.000
<b>Leukämie, chronisch myeloische</b>	<b>Bosutinib</b>	Bosulif®	Pfizer	Mrz 2013	Mrz. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	70.000
<b>Limbusstammzelleninsuffizienz nach Verbrennung / Verätzung des Auges</b>	<b>Lebendes (Hornhaut) Gewebeäquivalent</b>	Holoclar®	Holostem	Feb 2015	Feb. 2025	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	13.500
<b>Lungenfibrose, idiopathische</b>	<b>Pirfenidon</b>	Esbriet®	Roche	Mrz 2011	Mrz. 2021	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Lungenfibrose, idiopathische</b>	<b>Nintedanib</b>	Ofev®	Boehringer Ingelheim	Jan 2015	Mai. 2020	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000
<b>Lungenhochdruck, arterieller</b>	<b>Iloprost</b>	Ventavis®	Bayer	Sep 2003	Sep. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	97.000
<b>Lungenhochdruck, arterieller</b>	<b>Bosentan</b>	Tracleer®	Janssen-Cilag	Mai 2002	Mai. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	95.000
<b>Lungenhochdruck, arterieller</b>	<b>Sildenafil</b>	Revatio®	Upjohn	Okt 2005	Nov. 2015	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
<b>Lungenhochdruck, arterieller</b>	<b>Macitentan</b>	Opsumit®	Janssen-Cilag	Dez 2013	Dez. 2023	Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	79.000
<b>Lungenhochdruck, arterieller</b>	<b>Ambrisentan</b>	Volibris®	GlaxoSmith Kline	Apr 2008	Apr. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	89.000
<b>Lungenhochdruck, arterieller</b>	<b>Sitaxentan</b>	Thelin®	Pfizer	Aug 2006	Jan. 2011	Marktrücknahme wegen möglicher Leberschäden	82.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Lungenhochdruck, arterieller und chronisch thromboembolischer</b>	<b>Riociguat</b>	Adempas®	Bayer	Mrz 2014	Jun. 2022	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	89.000
<b>Lymphom, anaplastisches großzelliges</b>	<b>Brentuximab Vedotin</b>	Adcetris®	Takeda	Okt 2012	Jun. 2024	wirtschaftliche Gründe	8.500
<b>Magenkrebs</b>	<b>Ramucirumab</b>	Cyramza®	Lilly	Dez 2014	Dez. 2015	Erweiterung der Indikation auf nicht-seltene Erkrankung	176.000
<b>Mantelzell-Lymphom</b>	<b>Lenalidomid</b>	Revlimid®	Celgene	Jul 2016	Dez. 2019	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status, nachdem dieser für Erstindikation abgelaufen war	27.000
<b>Mantelzell-Lymphom</b>	<b>Temsirolimus</b>	Torisel®	Pfizer	Aug 2009	Aug. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	17.000
<b>Mantelzell-Lymphom</b>	<b>Ibrutinib</b>	Imbruvica®	Janssen	Okt 2014	Okt. 2021	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	27.000
<b>Merkelzellkarzinom</b>	<b>Avelumab</b>	Bavencio®	Merck	Sep 2017	Okt. 2019	Erweiterung der Indikation auf nicht-seltene Erkrankung	18.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Milzbrand (Vorbeugung und Behandlung)</b>	<b>Obiltoxaximab</b>	Nyxthracis ® (f	SFL Pharmaceuticals	Nov 2020	Aug. 2024	Rückgabe der Zulassung	450
<b>Morbus Cushing</b>	<b>Pasireotid</b>	Signifor®	Novartis	Apr 2012	Apr. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status bei dieser Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	20.000
<b>Morbus Fabry</b>	<b>Agalsidase beta</b>	Fabrazyme®	Genzyme	Aug 2001	Aug. 2011	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	1.300
<b>Morbus Fabry</b>	<b>Agalsidase alfa</b>	Replagal®	Takeda	Aug 2001	Aug. 2011	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	1.300
<b>Morbus Gaucher Typ 1</b>	<b>Miglustat</b>	Zavesca®	Janssen-Cilag	Nov 2002	Nov. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	26.000
<b>Morbus Gaucher Typ 1</b>	<b>Velaglucerase alfa</b>	VPRIV®	Takeda	Aug 2010	Aug. 2022	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	13.000
<b>Morbus Pompe</b>	<b>Alglucosidase alfa</b>	Myozyme®	Genzyme	Mrz 2006	Mrz. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	6.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Morbus Waldenström</b>	<b>Ibrutinib</b>	Imbruvica®	Janssen	Jul 2015	Okt. 2021	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
<b>Morbus Wilson</b>	<b>Zinkacetat dihydrat</b>	Wilzin®	Orphan Europe	Okt 2004	Okt. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	26.000
<b>Mukopolysaccharidose Typ I</b>	<b>Laronidase</b>	Aldurazyme®	Genzyme	Jun 2003	Jun. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	1.100
<b>Mukopolysaccharidose Typ II (Hunter Syndrom)</b>	<b>Idursulfase</b>	Elaprase®	Takeda	Jan 2007	Jan. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	850
<b>Mukopolysaccharidose Typ VI</b>	<b>Galsulfase</b>	Naglazyme®	BioMarin Europe	Jan 2006	Jan. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	725
<b>Mukoviszidose (als Zusatz zur besten Standardtherapie)</b>	<b>Mannitol</b>	Bronchitol®	Pharmaxis	Apr 2012	Apr. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	30.500
<b>Mukoviszidose mit bestimmten Mutationen im CFTR-Gen</b>	<b>Ivacaftor</b>	Kalydeco®	Vertex	Jul 2012	Jul. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	30.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung</b>	<b>Aztreonamlysin</b>	Cayston®	Gilead	Sep 2009	Okt. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	56.000
<b>Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung</b>	<b>Tobramycin</b>	TOBI Podhaler	Viatrix	Jul 2011	Jul. 2023	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	56.000
<b>Multiples Myelom</b>	<b>Pomalidomid</b>	Imnovid®	Bristol Myers Squibb	Aug 2013	Aug. 2023	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	57.000
<b>Multiples Myelom</b>	<b>Thalidomid</b>	Thalidomide B	Bristol Myers Squibb	Apr 2008	Apr. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	53.000
<b>Multiples Myelom</b>	<b>Belantamab Mafodotin</b>	Blenrep®	GlaxoSmith Kline	Aug 2020	Feb. 2024	Rücknahme der Zulassung	178.000
<b>Multiples Myelom, Erhaltung nach Stammzelltherapie</b>	<b>Lenalidomid</b>	Revlimid®	Celgene	Jun 2007	Jun. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	56.000
<b>Myelodysplastische / Myeloproliferative Erkrankungen</b>	<b>Imatinib</b>	Glivec®	Novartis	Nov 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	70.000



<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Myelodysplastisches Syndrom (intermediate-1 + isolated deletion 5q abnormality)</b>	<b>Lenalidomid</b>	Revlimid®	Celgene	Jun 2013	Dez. 2019	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status, nachdem dieser für Erstindikation abgelaufen war	132.000
<b>Myelodysplastisches Syndrom (intermediate-2 + Hochrisiko)</b>	<b>Azacitidin</b>	Vidaza®	Bristol Myers Squibb	Dez 2008	Dez. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	48.000-133.000
<b>Myelofibrose</b>	<b>Ruxolitinib</b>	Jakavi®	Novartis	Aug 2012	Feb. 2015	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	450
<b>Myoklonische Epilepsie / Dravet's Syndrom</b>	<b>Stiripentol</b>	Diacomit®	Biocodex	Jan 2007	Jan. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	17.000
<b>Narkolepsie mit Kataplexie</b>	<b>Natriumoxybat</b>	Xyrem®	UCB	Okt 2005	Jan. 2010	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	218.000
<b>Nebenniereninsuffizienz</b>	<b>Hydrocortison</b>	Plenadren®	Takeda	Nov 2011	Nov. 2021	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	197.000
<b>Nebennierenrindenkarcinom</b>	<b>Mitotan</b>	Lysodren®	Laboratoire HRA Pharma	Apr 2004	Apr. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Nephropathische Cystinose</b>	<b>Cysteamin</b>	Procysbi®	Chiesi Orphan	Sep 2013	Sep. 2023	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.300
<b>Neuroblastom (Hochrisiko)</b>	<b>Dinutuximab</b>	Unituxin®	United Therapeutics	Aug 2015	Mrz. 2017	Rückgabe der Zulassung durch Zulassungsinhaber	48.000
<b>Niemann-Pick Typ C</b>	<b>Miglustat</b>	Zavesca®	Janssen-Cilag	Jan 2009	Jan. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
<b>Nierenzellkrebs</b>	<b>Sunitinib</b>	Sutent®	Pfizer	Jul 2006	Jul. 2008	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	155.000
<b>Nierenzellkrebs</b>	<b>Sorafenib</b>	Nexavar®	Bayer	Jul 2006	Jul. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	133.000
<b>Nierenzellkrebs</b>	<b>Temsirolimus</b>	Torisel®	Pfizer	Nov 2007	Nov. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	155.000
<b>Nierenzellkrebs</b>	<b>Everolimus</b>	Afinitor®	Novartis	Aug 2009	Jul. 2011	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	173.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Osteosarkom</b>	<b>Mifamurtid</b>	Mepact®	Takeda	Mrz 2009	Mrz. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	22.000
<b>Parkinson</b>	<b>Levodopa / Carbidopa</b>	Duodopa® Gel	AbbVie	Jun 2004	Nov. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	104.000
<b>Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie</b>	<b>Eculizumab</b>	Soliris®	Alexion	Jun 2007	Jun. 2019	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
<b>Perianale Fisteln bei Morbus Crohn</b>	<b>Darvadstrocel</b>	Alofisel®	Takeda	Mrz 2018	Dez. 2024	Rücknahme der Zulassung, weil neue Studiendaten Wirksamkeit nicht belegen konnten	155.000
<b>Phenylketonurie und BH4-Mangel</b>	<b>Sapropterin</b>	Kuvan®	BioMarin Europe	Dez 2008	Dez. 2020	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	73.000
<b>Primärer IGF-1-Mangel</b>	<b>Mecasermin</b>	Increlex®	Ipsen Pharma	Aug 2007	Aug. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	87.000
<b>Promyelozyten-Leukämie, akute</b>	<b>Arsentrioxid</b>	Trisenox®	Teva	Mrz 2002	Mrz. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	35.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Riesenaastrozytom aufgrund tuberöser Sklerose, subependymales</b>	<b>Everolimus</b>	Votubia®	Novartis	Sep 2011	Sep. 2023	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
<b>Schilddrüsenkarzinom, medulläres</b>	<b>Cabozantinib</b>	Cometriq®	Ipsen Pharma	Mrz 2014	Mrz. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	31.000
<b>Schilddrüsenkrebs, differenziert</b>	<b>Lenvatinib</b>	Lenvima®	Eisai	Mai 2015	Aug. 2018	Erweiterung der Indikation auf nicht-seltene Erkrankung	133.000
<b>Schilddrüsenkrebs, differenziert</b>	<b>Sorafenib</b>	Nexavar®	Bayer	Mai 2014	Mai. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status für diese Indikation; Medikament weiterhin zugelassen	53.000-172.000
<b>Schmerzen, schwer, chronisch</b>	<b>Ziconotid</b>	Prialt®	Riemser	Feb 2005	Feb. 2015	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	67.000
<b>Sichelzellkrankheit (Behandlung hämolytischer Anämie)</b>	<b>Voxelotor</b>	Oxbryta®	Pfizer	Feb 2022	Sep. 2024	Ruhen der Zulassung wegen Sicherheitsbedenken	89.000
<b>Sichelzellkrankheit (Prävention vasookklusiver Krisen)</b>	<b>Crizanlizumab</b>	Adakveo®	Novartis	Okt 2020	Aug. 2023	Marktrücknahme: als Zulassungsaufgabe geforderte Studien haben Wirksamkeit nicht bestätigt	89.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Sichelzellkrankheit (Prävention vasoookklusiver Krisen)</b>	<b>Hydroxycarbamid</b>	Siklos®	Theravia	Jun 2007	Jul. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	25.500
<b>Sklerodermie, systemische</b>	<b>Bosentan</b>	Tracleer®	Janssen-Cilag	Jun 2007	Mai. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status, nachdem dieser für die Erstindikation abgelaufen war	57.000
<b>Speiseröhrenkrebs</b>	<b>Tislelizumab</b>	Tevimbra®	BeiGene	Sep 2023	Okt. 2023	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Drug-Status	45.000
<b>Spinale Muskelatrophie Typ 1, 2, 3 oder 1 bis 4 SMN2-Kopien</b>	<b>Risdiplam</b>	Evrysdi®	Roche	Mrz 2021	Sep. 2023	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	18.000
<b>Stammzelltransplantation (Mobilisierung von Knochenmarks-Stammzellen)</b>	<b>Plerixafor</b>	Mozobil®	Genzyme	Aug 2009	Aug. 2021	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500
<b>Stammzelltransplantation, hämatopoetische (Vorbereitung)</b>	<b>Busulfan</b>	Busilvex®	Pierre Fabre	Jul 2003	Jul. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; 2023 Marktrücknahme	26.500
<b>Stammzelltransplantation, hämatopoetische (Vorbereitung)</b>	<b>Thiotepa</b>	Tepadina®	Adienne	Mrz 2010	Mrz. 2020	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	27.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Stammzelltransplantation, hämatopoetische, haploidentisch, Begleittherapie</b>	<b>Nalotimagen Carmaleucel</b>	Zalmoxis®	MolMed	Aug 2016	Okt. 2019	Rückgabe der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen	14.000
<b>Stammzelltransplantation, hämatopoetische, hepatische venookklusive Erkrankung</b>	<b>Defibrotid</b>	Defitelio®	Gentium	Okt 2013	Okt. 2023	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	3.000
<b>Thrombozythämie</b>	<b>Anagrelid</b>	Xagrid®	Takeda	Nov 2004	Nov. 2016	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	109.000
<b>Transthyretin-Amyloidose mit Polyneuropathie</b>	<b>Tafamidis</b>	Vyndaqel®	Pfizer	Nov 2011	Nov. 2021	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status bei dieser Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	4.350
<b>Tuberkulose</b>	<b>Bedaquilin</b>	Sirturo®	Janssen-Cilag	Mrz 2014	Mrz. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	87.000
<b>Tuberkulose</b>	<b>Paraaminosalicylsäure</b>	Granupas®	Eurocept International	Apr 2014	Apr. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	62.000
<b>Tyrosinämie Typ I</b>	<b>Nitisinon</b>	Orfadin®	Swedish Orphan Biovitrum	Feb 2005	Feb. 2015	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>T-Zell-Leukämie, akute lymphoblastische und T-Zell-Lymphom, lymphoblastisches</b>	<b>Nelarabin</b>	Atriance®	Novartis	Aug 2007	Aug. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	48.000
<b>T-Zell-Lymphom, kutan</b>	<b>Brentuximab Vedotin</b>	Adcetris®	Takeda	Dez 2017	Jun. 2024	wirtschaftliche Gründe	89.000
<b>Verbrennungen, tiefe</b>	<b>proteolytische Enzyme aus Bromelain</b>	NexoBrid®	MediWound	Dez 2012	Dez. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500
<b>Viszerale Leishmaniose</b>	<b>Miltefosin</b>	Impavido®	Paladin Labs	Dez 2004	Dez. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.000
<b>Weichteilsarkom</b>	<b>Trabectedin</b>	Yondelis®	Pharma Mar	Sep 2007	Sep. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	27.000
<b>Weichteilsarkom</b>	<b>Olaratumab</b>	Lartruvo®	Lilly	Nov 2016	Jul. 2019	Marktrücknahme: neue Daten haben Wirksamkeit nicht belegt	133.000
<b>Zerebrale Adrenoleukodystrophie</b>	<b>Elivaldogen Autotemcel</b>	Skysona®	bluebird bio	Jul 2021	Nov. 2021	Rückgabe der Zulassung aus firmenstrategischen Gründen, Medikament war nie im Markt	22.000