

Nr. 9/2025
vom 26. Februar 2025

Mehr Medikamente für Menschen mit seltenen Erkrankungen: eine langfristige Aufgabe

- Tag der seltenen Erkrankungen am 28. Februar
- 43 neue Orphan-Medikamente im Zulassungsverfahren oder kürzlich zugelassen
- Keine Experimente bei der Nutzenbewertung!

Rund 8.000 seltene Krankheit sind bekannt. Gegen viele dieser auch Orphan Diseases genannten Leiden gibt es noch keine wirksamen Medikamente. Daran erinnert der Tag der Seltenen Erkrankungen am 28. Februar.

„Es ist eine Jahrhundertaufgabe, für alle Betroffenen wirksame Therapien zu entwickeln“, sagt Han Steutel, Präsident des Verbands der forschenden Pharma-Unternehmen (vfa). „Die forschende Pharmaindustrie hat diese Herausforderung angenommen, und ruht sich auch nicht auf ihren Erfolgen aus, zu denen immerhin schon mehr als 240 Orphan-Medikamente seit der Jahrtausendwende gehören.“

„Die forschenden Pharma-Unternehmen sind noch nicht am Ende ihrer Mission, seltenen Erkrankungen ihren Schrecken zu nehmen. Zur erfolgreichen Fortsetzung brauchen wir aber einen verlässlichen Regulierungsrahmen. Weder bei der Nutzenbewertung von Orphan-Medikamenten noch bei der Umsatzschwelle zur Definition eines Arzneimittels gegen seltene Erkrankung sind kurzfristige Änderungen für unsere langfristige Entwicklungsarbeit hilfreich,“ so Steutel weiter.

Seite 1/3

Rückfragen an:

Dr. Rolf Hömke
Telefon 030 20604-204
r.hoemke@vfa.de

Hausvogteiplatz 13
10117 Berlin
Telefon 030 206 04-0
www.vfa.de

Orphan-Medikamente im Zulassungsverfahren oder noch nicht eingeführt

Seite 2/3

Medikamente gegen seltene Krankheiten können in der EU auf Antrag des Herstellers den Orphan-Drug-Status erhalten, wenn sie für Menschen mit einer bestimmten seltenen Krankheit absehbar eine wesentliche Therapieverbesserung darstellen.

Pressemitteilung
Nr. 9/2025
vom 26. Februar 2025

Dass Unternehmen schon bald weitere Medikamente mit diesem Status in Deutschland verfügbar machen könnten, zeigt ein Blick auf die laufenden Zulassungsverfahren und die erteilten Zulassungen: Demnach ist derzeit für 31 Orphan-Medikamente die EU-Zulassung beantragt; und weitere 12 sind schon in der EU zugelassen, nur noch nicht in Deutschland ausgeboten worden. Von diesen 43 Medikamenten haben alle bis auf sieben einen neuen Wirkstoff.

Die Anwendungsgebiete dieser 43 Orphan-Medikamente verteilen sich auf folgende medizinische Felder:

- Krebserkrankungen mit soliden Tumoren: 19 %
- Stoffwechselkrankheiten: 12 %
- Immunologische Erkrankungen: 12 %
- Neurologische Erkrankungen: 12 %
- hämatologische Krebserkrankungen: 9 %
- Herz-Kreislauf-Krankheiten: 7 %
- Muskelerkrankungen: 7 %
- Infektionskrankheiten: 5 %
- Psychiatrische Erkrankungen: 2 %
- Transplantation: 2 %
- Sonstige Krankheiten: 14 %

Viele weitere Orphan Drugs werden derzeit in klinischen Studien erprobt.

Nutzenbewertung eignet sich nicht als Experimentierfeld

Die besonderen Regeln in der Nutzenbewertung von Arzneimitteln gegen seltene Erkrankungen haben sich bewährt. Die Zahl von Medikamenten gegen seltene Erkrankungen wächst! Trotzdem werden die Regeln zur Nutzenbewertung für diese ebenso besondere wie wichtige Arzneimittelgruppe gelegentlich in Frage gestellt. Deshalb hat die Unternehmensberatung Simon-Kucher & Partner im Auftrag des vfa ermittelt, wie es sich ausgewirkt hätte, wenn Orphan Drugs

die Nutzenbewertung nach denselben Regeln wie alle anderen Arzneimittel hätten durchlaufen müssten. Bei Wegfall der bestehenden Regeln drohen große Versorgungslücken:

Seite 3/3

Pressemitteilung
Nr. 9/2025
vom 26. Februar 2025

- Wären Orphan Drugs in der Nutzenbewertung wie alle anderen Medikamente behandelt worden, würde heute sehr wahrscheinlich mindestens jedes zweite davon fehlen. Denn 57 % von ihnen zeigten ein sehr hohes oder maximales Marktrücknahmerisiko, weil ihr Preisniveau sehr stark – teilweise auf Generikaniveau – gesunken wäre.
- Bei den besonders innovativen Gen- und Zelltherapien gegen seltene Erkrankungen wurde ein noch höheres Marktrücknahmerisiko von 78 % festgestellt.

Weitere Informationen:

- Übersicht über alle 43 Orphan-Medikamente im EU-Zulassungsverfahren oder zugelassen, aber noch nicht in Deutschland ausgeben: www.vfa.de/perspektive-orphan-drugs
- Die Studie zur Bedeutung der Orphan Drug-Regelung im AMNOG für die Patientenversorgung: www.vfa.de/abschaffung-orphan-drug-regelung-amnog.html
- Weitere Informationen des vfa zu seltenen Erkrankungen und Orphan Drugs: www.vfa.de/seltene-erkrankungen

Der vfa ist der Verband der forschenden Pharma-Unternehmen in Deutschland. Er vertritt die Interessen von 46 weltweit führenden Herstellern und ihren rund 90 Tochter- und Schwesterfirmen in der Gesundheits-, Forschungs- und Wirtschaftspolitik. Die Mitglieder des vfa stehen für mehr als die Hälfte des deutschen Arzneimittelmarktes und beschäftigen in Deutschland rund 100.000 Mitarbeiter:innen. Rund 20.000 davon arbeiten in Forschung und Entwicklung.

Folgen Sie uns auf unseren Social Media Kanälen:

[LinkedIn](#)

[Instagram](#)

[Threads](#)

[Bluesky](#)