

Orphan-Arzneimittel nach Indikationen

Gemäß der Verordnung (EG) 141/2000 zu Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten zugelassene Präparate: **61**

Derzeit sind in der Europäischen Union die in der nachfolgenden Tabelle genannten 61 Medikamente als Orphan Drugs zugelassen. Davon sind die folgenden Wirkstoffe gegen mehr als eine seltene Erkrankung angezeigt und tauchen deshalb in der Liste mehrfach auf: Bosentan, Imatinib Mesilat, Miglustat, Sorafenib, Trabectedin.

Neben den EU-weit zugelassenen Arzneimittel gegen seltene Krankheiten gibt es eine nationale Zulassung - und zwar für Miltefosin gegen Leishmaniose.

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Akromegalie Riesenwuchs	Pegvisomant	Somavert®	Nov. 2002	Pfizer	61.000
Akute lymphatische Leukämie häufigste Blutkrebsform bei Kindern (Lymphozytenüberproduktion)	Clofarabin	Evoltra®	Mai. 2006	Genzyme	25.000
Akute lymphatische Leukämie häufigste Blutkrebsform bei Kindern (Lymphozytenüberproduktion)	Imatinib Mesilat	Glivec®	Sep. 2006	Novartis Europharm	25.000
Akute myeloische Leukämie Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion)	Histamin Dihydrochlorid	Ceplene®	Okt. 2008	EpiCept GmbH	101.000
Akute Promyelozyten-Leukämie Blutkrebs v. a. bei jungen Leuten	Arsentrioxid	Trisenox®	Mrz. 2002	Cell Therapeutics (UK)	15.000
Amyloidose Proteinablagerungen um Nerven und Körpergewebe	Tafamadis	Vyndaqel®	Nov. 2011	Pfizer	5.000
chronische Lungenentzündung bei Mukoviszidose verursacht durch Pseudomonas aeruginosa	Aztreonamlysin	Cayston®	Sep. 2009	Gilead	65.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
chronische Lungenentzündung bei Mukoviszidose verursacht durch Pseudomonas aeruginosa	Tobramycin	TOBI Podhaler®	Jul. 2011	Novartis Europharm	65.000
Chronische lymphatische Leukämie Blutkrebs (Zulassung für Patienten, die refraktär auf Fludarabin und Alemtuzumab sind)	Ofatumumab	Arzerra®	Apr. 2010	GlaxoSmithKline	176.000
Chronische myeloische Leukämie Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion)	Imatinib Mesilat	Glivec®	Nov. 2001	Novartis Europharm	81.000
Chronische myeloische Leukämie Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion)	Nilotinib	Tasigna®	Nov. 2007	Novartis	81.000
Chronische myeloische Leukämie, Akute lymphatische Leukämie Blutkrebs	Dasatinib	Sprycel®	Nov. 2006	Bristol-Myers Squibb	131.000
Cryopirin-assoziierte periodische Syndrome (CAPS) Muckle-Wells Syndrom, familiäres kälteinduziertes autoinflammatorisches Syndrom	Rilonacept	Rilonacept Regeneron®	Okt. 2009	Regeneron	< 2.500
Dermatofibrosarcoma protuberans hauptsächlich an Rumpf, Armen oder Beinen auftretender, sich langsam entwickelnder Hautkrebs	Imatinib Mesilat	Glivec®	Sep. 2006	Novartis Europharm	50.500
Ductus arteriosus bei Frühgeborenen angeborener Herzfehler durch unvollständige Schließung eines Herzgefäßes nach der Geburt	Ibuprofen	Pedea®	Jul. 2004	Orphan Europe	107.000
Eierstockkrebs Rückfall, platinsensible Fälle	Trabectedin	Yondelis®	Okt. 2009	Pharma Mar S.A.	121.000
Eisenüberladung transfusionsbedingt chronisch bei Patienten mit Beta-Thalassämia major	Deferasirox	Exjade®	Aug. 2006	Novartis Europharm	116.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Extravasation durch Anthracycline versehentliche extravasale Gabe von Anthracyclinen	Dexrazoxan	Savene®	Jul. 2006	SpePharm	1.450
Hereditäres Angioödem z. T. beträchtliche Schwellung tieferer Gewebe der Haut und der Schleimhäute	Icatibant	Firazyr®	Jul. 2008	Jerini AG	106.000
Homocystinurie Störung des Eiweißstoffwechsels mit Anreicherung in Blut und Urin	Betain	Cystadane®	Feb. 2007	Orphan Europe	8.300
Hyperammonämie aufgrund verschiedener seltener Erkrankungen Harnstoffzyklusstörung durch Enzymmangel	Carglumsäure	Carbaglu®	Jan. 2003	Orphan Europe	2560
Hypereosinophiles Syndrom/ chronische eosinophile Leukämie Überproduktion eosinophiler Granulozyten, die zu lebensbedrohlichen Organschädigungen führt	Imatinib Mesilat	Glivec®	Nov. 2006	Novartis Europharm	50.500
Idiopathische pulmonale Fibrose bis zum Tod fortschreitende Vernarbung des Lungengewebes	Pirfenidon	Esbriet®	Mrz. 2011	InterMune	138.000
Idiopathische thrombozytopenische Purpura Immunsystem-bedingte Verminderung der Blutplättchen	Romiplostim	Nplate®	Feb. 2009	Amgen	50.000
Idiopathische thrompozytopenische Purpura Immunsystem-bedingte Verminderung der Blutplättchen	Eltrombopag	Revolade®	Mrz. 2010	GlaxoSmithKline	125.000
Krebs Vorbereitung auf bestimmte Stammzell-Transplantationen	Busulfan	Busilvex®	Jul. 2003	Pierre Fabre Medicament	30.700

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Krebs Vorbereitung auf bestimmte Stammzell- Transplantationen	Thiotepa	Tepadina®	Mrz. 2010	Adienne S.r.l.	35.000
Lambert-Eaton-Myasthenisches Syndrom neurologisch bedingte Muskelschwäche	Amifampridin	Firdapse®	Dez. 2009	Eusa Pharma SAS	5.300
Leberzellkrebs	Sorafenib	Nexavar®	Okt. 2007	Bayer HealthCare	51.000
Lennox-Gastaut-Syndrom schwere Form der Epilepsie (bei Kindern)	Rufinamid	Inovelon®	Jan. 2007	Eisai	70.000
Lungenhochdruck Bluthochdruck in den pulmonalen (zur Lunge führenden) Arterien	Bosentan	Tracleer®	Mai. 2002	Actelion Registration	110.000
Lungenhochdruck Bluthochdruck in den pulmonalen (zur Lunge führenden) Arterien	Iloprost	Ventavis®	Sep. 2003	Schering AG	110.000
Lungenhochdruck Bluthochdruck in den pulmonalen (zur Lunge führenden) Arterien	Sildenafil	Revatio®	Okt. 2005	Pfizer	110.000
Lungenhochdruck Bluthochdruck in den pulmonalen (zur Lunge führenden) Arterien	Ambrisentan	Volibris®	Apr. 2008	Glaxo Group Limited	110.000
lymphoblastische T-Zell-Leukämie (akute Form) und -Lymphome Blutkrebs (häufig Kinder betroffen)	Nelarabin	Atriance®	Aug. 2007	GlaxoSmithKline	56.000
Maligner gastrointestinaler Stromatumor Weichteilsarkom des Magen-Darm-Trakts	Imatinib Mesilat	Glivec®	Mai. 2002	Novartis Europharm	65.500
Malignes Gliom Visualisierung von malignem Gewebe bei einer OP des malignen Glioms	5-Aminolaevulinsäure	Gliolan®	Sep. 2007	Medac	56.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Mobilisierung von Knochenmarks-Stammzellen Vorbereitung bestimmter Stammzelltransplantationen	Plerixafor	Mozobil®	Jul. 2009	Genzyme	50.500
Morbus Gaucher vererbter Enzymmangel	Miglustat	Zavesca®	Nov. 2002	Actelion Registration	30.000
Morbus Gaucher Typ I vererbter Enzymmangel	Velaglucerase alfa	VPRIV®	Aug. 2010	Shire Pharmaceuticals	15.000
Morbus Pompe gestörter Glykogenabbau durch Enzymmangel	Alglucosidase alfa	Myozyme®	Mrz. 2006	Genzyme Europe	6.850
Morbus Wilson Kupferansammlung in Leber und Hirnzellen	Zinkacetat Dihydrat	Wilzin®	Okt. 2004	Orphan Europe	30.000
Mukopolysaccharidose I Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	Laronidase	Aldurazyme®	Jun. 2003	Genzyme Europe	1.250
Mukopolysaccharidose II (Hunter-Syndrom) Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	Idursulfase	Elaprase®	Jan. 2007	Shire plc.	1.000
Mukopolysaccharidose VI Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	Galsulfase	Naglazyme®	Feb. 2006	BioMarin	440 - 1.200
Multiplres Myelom Überproduktion maligner Plasmazellen	Lenalidomid	Revlimid®	Jun. 2007	Celgene Corporation	65.000
Multiplres Myelom Überproduktion maligner Plasmazellen	Thalidomid	Thalidomide	Apr. 2008	Celgene	65.000
Myelodysplastische/ Myeloproliferative Erkrankungen Form von Blutkrebs (Überproduktion einer oder mehrerer Arten von Blutzellen)	Imatinib Mesilat	Glivec®	Nov. 2006	Novartis Europharm	81.000
Myelodysplastisches Syndrom böartige Veränderung des Blutbildes, Leukämievorstufe	Azacitidin	Vidaza®	Dez. 2008	Celgene Corporation	116.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Myoklonische Epilepsie/Dravet's Syndrom schwere Form der Epilepsie (bei Kindern)	Stiripentol	Diacomit®	Jan. 2007	Laboratoires Biocodex	20.000
Nebenniereninsuffizienz Hormonproduktion der Nebenniere unzureichend	Hydrocortison	Plenadren®	Nov. 2011	Duocort Pharma	228.000
Nebennierenrindenzinom	Mitotan	Lysodren®	Apr. 2004	Laboratoire HRA Pharma	5.350
Niemann-Pick Typ C vererbte neurodegenerative Erkrankung	Miglustat	Zavesca®	Nov. 2002	Actelion	5.000
Nierenzellkrebs	Sorafenib	Nexavar®	Jul. 2006	Bayer HealthCare	201.000
Nierenzellkrebs	Temsirolimus	Torisel®	Nov. 2007	Wyeth	201.000
Non-Hodgkin-Lymphom Krebs des Lymphgewebes	Cladribin	Litak®	Apr. 2004	Lipomed	182.000
Osteosarkom Knochentumore, die sich vor allem in Wachstumsphasen bilden	Mifamurtid	Mepact®	Mrz. 2009	IDM Pharma	126.000
Parkinson fortgeschrittenes Parkinsonsyndrom mit schwerer motorischer Fluktuation	Levodopa/Carbidopa	Duodopa®Gel	Jun. 2004	Abbott Products GmbH	120.000
Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie (PNH) Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen	Eculizumab	Soliris®	Jun. 2007	Alexion Europe	5.000
Phenylketonurie (PKU) und BH4-Mangel vererbter Defekt im Tyrosin-Stoffwechsel	Sapropterin	Kuvan®	Dez. 2008	Merck Serono	85.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
primäre Apnoe bei Frühgeborenen Aussetzen der Atmung über mehr als 20 Sekunden	Coffeincitrat	Peyona®	Jul. 2009	Chiesi Farmaceutici	32.000
Primärer IGF-1-Mangel schwerer primärer Mangel an Insulin-ähnlichem Wachstumsfaktor 1	Mecasermin	Increlex®	Aug. 2007	Tercica	100.800
schwere chronische Schmerzen, die eine intrathekale Schmerztherapie erfordern Injektion des Schmerzmittels in den Raum unterhalb der harten Hirnhaut	Ziconotid	Prialt®	Mrz. 2005	Eisai Limited	77.500
Sichelzellanämie Verhütung von schmerzhaften Gefäßverschlüssen	Hydroxycarbamid	Siklos®	Jul. 2007	Addmedica	126.000
Speiseröhrenkrebs	Porfimer Natrium	Photobarr®	Mrz. 2004	Axcan Pharma	174.000
subependymales Riesenastrozytom aufgrund tuberöser Sklerose durch die genetisch bedingte tuberöse Sklerose verursachter Hirntumor	Everolimus	Votubia®	Sep. 2011	Novartis Europharm	51.000
Systemische Sklerodermie Bildung überschüssigen Bindegewebes in der Haut und in inneren Organen	Bosentan	Tracleer®	Jun. 2007	Actelion Registration	66.000
Thrombozytämie Blutbildstörung mit stark erhöhter Thrombozytenzahl	Anagrelid-Hydrochlorid	Xagrid®	Nov. 2004	Shire Pharmaceutical Contracts	126.000
Tyrosinämie Typ I vererbter Defekt im Tyrosin-Stoffwechsel	Nitisinon	Orfadin®	Feb. 2005	Schwedish Orphan International	5.000
Weichteilsarkom Krebs in den Weichteilen (Bindegewebe, Sehnen, Blutgefäße...)	Trabectedin	Yondelis®	Sep. 2007	Pharma Mar S.A.	121.000

Arzneimittel mit früherem Orphan-Status

Den folgenden Medikamenten war während Ihrer Entwicklung von der Europäischen Kommission der Orphan-Status zuerkannt worden. Inzwischen besitzen sie diesen 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.

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Angioödem	C1-Inhibitor (human)	Cinryze®	ViroPharma	Jun. 2011	Okt. 2009	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status vor der Zulassung; Medikament im Markt	106.000
Cryopirin-assoziierte periodische Syndrome (CAPS)	Canakinumab	Ilaris®	Novartis	Okt. 2009	Dez. 2010	Verzicht des Sponsors auf Orphan-Status vor der Zulassung; Medikament im Markt	2.500
Entzündung des posterioren Segments des Auges	Dexamethason	Ozurdex®	Allergan	Jul. 2010	Aug. 2010	Verzicht des Sponsors auf Orphan-Status ; Medikament weiter im Markt	15.000-51.000
Familiäre adenomatöse Polyposis	Celecoxib	Onsenal®	Pfizer	Okt. 2003	Mrz. 2011	Marktrücknahme, da als Zulassungsaufgabe geforderte Daten nicht geliefert werden konnten	10.000
Immunisierung gegen Japanische Enzephalitis	Impfstoff gegen Japanische Enzephalitis	Ixiaro®	Intercell AG	Apr. 2009	Mrz. 2009	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status vor der Zulassung; Medikament im Markt	138.000
Lungenhochdruck	Sitaxentan	Thelin®	Encysive	Aug. 2006	Jan. 2011	Marktrücknahme wegen möglicher Leberschäden	95.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Magenkrebs	Tegafur/Gimeracil/Oteracil	Teysuno®	Taiho	Mrz. 2011	Jan. 2011	Verzicht des Sponsors auf Orphan-Status vor Zulassung; Medikament im Markt	150.000
Morbus Fabry	Agalsidase alfa	Replagal®	Shire	Aug. 2001	Aug. 2011	Ablauf des Orphan-Status nach 10 Jahren; Medikament weiter im Markt	50.000
Morbus Fabry	Agalsidase beta	Fabrazyme®	Genzyme	Aug. 2001	Aug. 2011	Ablauf des Orphan-Status nach 10 Jahren; Medikament weiter im Markt	50.000
Narkolepsie mit Kataplexie bei Erwachsenen	Natriumoxybat	Xyrem®	UCB	Okt. 2005	Jan. 2010	Verzicht des Sponsors auf Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	185.000
Nierenzellkarzinom	Pazopanib	Votrient®	GlaxoSmith Kline	Jun. 2010	Apr. 2010	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status vor der Zulassung; Medikament im Markt	201.000
Nierenzellkrebs	Everolimus	Afinitor®	Novartis	Aug. 2009	Jul. 2011	Verzicht des Sponsors auf Orphan-Status ; Medikament weiter im Markt	201.000
Nierenzellkrebs	Sunitinib	Sutent®	Pfizer	Jul. 2006	Jul. 2008	Verzicht des Sponsors auf Orphan-Status; Medikament weiter im Markt	115.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Pleuramesotheliom	Pemetrexed	Alimta®	Lilly	Sep. 2004	Sep. 2001	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status vor der Zulassung; Medikament im Markt	3.800