

Orphan-Arzneimittel nach Indikationen

Gemäß der Verordnung (EG) 141/2000 zu Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten zugelassene Präparate: **133**

Derzeit sind in der Europäischen Union die in der nachfolgenden Tabelle genannten 133 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
Achondroplasie Skelettdysplasie / Kleinwuchs mit gestörter Knorpel- und Knochenbildung	Vosoritid	Voxzogo®	Aug 2021	BioMarin Europe	17.900
ADA-SCID schwerer kombinierter Immundefekt aufgrund von Adenosin-Desaminase-Mangel (ADA-SCID)	Autologe CD34+-Zellen, die für ADA kodieren	Strimvelis®	Mai 2016	Orchard Therapeutics	1.800
Aderhautmelanom Krebs, der die Uvea/Aderhaut des Auges betrifft	Tebentafusp	Kimtrak®	Apr 2022	Immunocore	35.700
Adipositas durch Leptin-Rezeptor-Mangel genetisch bedingter Mangel an Bindestellen für das Hormon Leptin, das Sättigung signalisiert	Setmelanotid	Imcivree®	Jul 2021	Rhythm Pharmaceuticals	4.500
Adipositas durch Proopiomelanocortin-Mangel unzureichende Hungerkontrolle durch Mangel dieser Hormonvorstufe	Setmelanotid	Imcivree®	Jul 2021	Rhythm Pharmaceuticals	4.500
Akromegalie Riesenwuchs	Pasireotid	Signifor®	Nov 2014	Novartis	88.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Alpha-Mannosidose erbliche lysosomale Speicherkrankheit	Velmanase alfa	Lamzedo®	Mrz 2018	Chiesi Farmaceutici	4.300
Angioödem, hereditäres, Prophylaxe z. T. beträchtliche Schwellung tieferer Gewebe der Haut und der Schleimhäute	Lanadelumab	Takhzyro®	Nov 2018	Takeda	22.500
Aspergillose, invasive seltene lebensbedrohliche Pilzinfektion	Isavuconazol	Cresemba®	Okt 2015	Basilea	88.000
Atypisches Hämolytisch-Urämisches Syndrom (aHUS) Erkrankung der kleinen Blutgefäße	Eculizumab	Soliris®	Nov 2011	Alexion	4.300
Barraquer-Simons-Syndrom atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	Metreleptin	Myalepta®	Jul 2018	Aegerion	100
Berardinelli-Seip-Syndrom atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	Metreleptin	Myalepta®	Jul 2018	Aegerion	450
Beta-Thalassämie-bedingte Anämie genetisch bedingte Fehlbildung der roten Blutkörperchen	Luspatercept	Reblozyl®	Jun 2020	Bristol Myers Squibb	44.000
Blastische plasmazytoide dendritische Zellneoplasien Blutkrebs (Überproduktion plasmazytoider dendritischer Zellen)	Tagraxofusp	Elzonris®	Jan 2021	Stemline Therapeutics	4.500
B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL) Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin- Lymphome	Tafasitamab	Minjuvi®	Aug 2021	Incyte Biosciences	178.000
B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL) Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin- Lymphome	Polatuzumab Vedotin	Polivy®	Jan 2020	Roche	200.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL) Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Tisagen Lecluceel	Kymriah®	Aug 2018	Novartis	205.000
B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL) Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Axicabtagen Ciloleucel	Yescarta®	Aug 2018	Gilead	205.000
B-Zell-Lymphom, primär, mediastinal, groß Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen, die sich häufig im Brustraum ansammeln	Axicabtagen Ciloleucel	Yescarta®	Aug 2018	Gilead	22.000
Castleman-Krankheit abnorme Vergrößerung eines oder mehrerer Lymphknotens, oft mit gutartigen Tumoren	Siltuximab	Sylvant®	Mai 2014	Janssen-Cilag	44.000
Cholangiokarzinom Krebs im Gallengang	Pemigatinib	Pemazyre®	Mrz 2021	Incyte Biosciences	67.000
Cholangitis, primäre biliäre Entzündung der Gallengänge, die auch das Lebergewebe angreift (bis zur Zirrhose)	Obeticholsäure	Ocaliva®	Dez 2016	Intercept	172.500
Cushing Syndrom durch Tumor der Hypophyse verursachte stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut	Osilodrostat	Isturisa®	Jan 2020	Novartis	31.000
Cushing Syndrom durch Tumor der Hypophyse verursachte stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut	Ketoconazol	Ketoconazole HRA®	Nov 2014	Laboratoire HRA Pharma	40.000
Cystinablagerungen in der Hornhaut Überschüssiges Cystin wird nicht abgebaut	Mercaptamin	Cystadrops®	Jan 2017	Recordati	4.300
Cytomegalievirus-Reaktivierung oder -Erkrankung (Prophylaxe) bei Empfängern einer allogenen hämatopoetischen Stammzelltransplantation	Letermovir	Prevymis®	Jan 2018	MSD Sharp & Dohme	168.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Diabetes mellitus, neonataler	Glibenclamid	Amglidia®	Mai 2018	AMMTek	850
Dravet Syndrom Form der Epilepsie	Fenfluramin	Fintepla®	Dez 2020	Zogenix ROI	20.000
Dravet Syndrom Form der Epilepsie	Cannabidiol	Epidyolex®	Sep 2019	GW Pharma	22.500
Duchenne Muskeldystrophie Progressiver symmetrischer Muskelabbau	Ataluren	Translarna®	Jul 2014	PTC Therapeutics	17.000
Eierstockkrebs Tumore, die in den Eierstöcken beginnen und sich auf umliegendes Gewebe ausbreiten	Niraparib	Zejula®	Nov 2017	Tesaro	190.000
Erythropoetische Protoporphyrin, Phototoxizität Genetischer Defekt bei der Blutbildung, der mit schmerzhafter Lichtunverträglichkeit einhergeht	Afamelanotid	Scenese®	Dez 2014	Clinuvel	8.500
Faktor X-Mangel Blutgerinnungsstörung	Humaner Gerinnungsfaktor X	Coagadex®	Mrz 2016	BPL Bioproducts	44.000
Familiäre partielle Lipodystrophie atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	Metreleptin	Myalepta®	Jul 2018	Aegerion	1.300
Familiäres Chylomikronämie Syndrom angeborene sehr hohe Triglycerid-Spiegel und Ablagerung von Triglyceriden an Organen	Volanesorsen	Waylivra®	Mai 2019	Akcea	4.300
Follikuläres Lymphom	Mosunetuzumab	Lunsumio®	Jun 2022	Roche	214.000
Gallensäuresynthesestörung infolge von 3β-Hydroxy-Δ5-C27-steroid-Oxidoreductase-Mangel oder Δ4-3-Oxosteroid-5β-Reductase-Mangel	Cholsäure	Orphacol®	Sep 2013	Laboratoires CTRS	3.500

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore (Behandlung) Tumor der neuroendokrinen Zellen in Pankreas und Darm	Lutetium (177Lu) Oxodotreotid	Lutathera®	Sep 2017	Advanced Accelerator Applications	71.000
Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore (Diagnose) Lokalisierung von Primärtumoren und deren Metastasen per PET	Edotreotid	Somakit TOC®	Dez 2016	Advanced Accelerator Applications	155.000
Gastrointestinale Stromatumore Sarkome des Magen-Darmgewebes	Ripretinib	Qinlock®	Nov 2021	Deciphera	133.000
Gastrointestinale Stromatumore Sarkome des Magen-Darmgewebes	Avapritinib	Ayvakyt®	Sep 2020	Blueprint Medicines	130.000
Granulomatose mit Polyangiitis Entzündung von Blutgefäßen, die zu deren Absterben führt	Avacopan	Tavneos®	Jan 2022	Vifor Pharma	72.000
Hämophilie B Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	Albutreponacog	Idelvion®	Mai 2016	CSL Behring	8.500
Hämophilie B Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	Eftrenonacog alpha	Alprolix®	Mai 2016	Swedish Orphan Biovitrum	8.500
Harnstoffzyklusstörung Harnstoffzyklusstörung aufgrund verschiedener Enzymmangelerkrankungen	Glycerolphenylbutyrat	Ravicti®	Nov 2015	Immedica	53.000
Hepatitis D Leberentzündung; immer zusammen mit Hepatitis B	Bulevirtid	Hepcludex®	Jul 2020	Gilead	177.000
Hodgkin Lymphom Krebs des Lymphsystems	Brentuximab Vedotin	Adcetris®	Okt 2012	Takeda	44.000
Hypoparathyreoidismus Unterfunktion der Nebenschilddrüse	Parathyroidhormon (rekombinant)	Natpar®	Apr 2017	Shire	155.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Hypophosphatämie, X-chromosomale, mit röntgenologisch nachgewiesener Knochenerkrankung erblich bedingte hohe FGF23-Werte, die einen Mangel an für den Knochenaufbau wichtigem Phosphat verursachen	Burosumab	Crysvita®	Feb 2018	Kyowa Kirin	26.500
Hypophosphatasie Behandlung der Knochenmanifestationen der Krankheit	Asfotase alfa	Strensiq®	Aug 2015	Alexion	450
Karzinoid-Syndrom Krebs in Hormon-produzierenden Zellen	Telotristat	Xermelo®	Sep 2017	Ipsen Pharma	31.000
Keratitis, neurotrophe degenerative Erkrankung der Hornhaut des Auges	Cenegermis	Oxervate®	Jul 2017	Dompé	185.500
Keratokonjunktivitis, vernalis chronische schwere allergische Entzündung des Augenlids	Ciclosporin	Verkazia®	Jul 2018	Santen Oy	142.000
Kurzdarmsyndrom chronische Verdauungsstörungen nach chirurgischer Entfernung von Teilen des Darms	Teduglutid	Revestive ®	Aug 2012	Takeda	19.000
Lawrence-Syndrom atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	Metreleptin	Myalepta®	Jul 2018	Aegerion	45
Lebersche ererbte Amaurose ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut	Voretigen Neparvovec	Luxturna®	Nov 2018	Novartis	8.500
Lebersche ererbte Optikusneuropathie (LHON) akuter, meist schmerzloser Verlust der Sehkraft innerhalb weniger Monate	Idebenon	Raxone®	Sep 2015	Santhera	8.500
Lennox-Gastaut-Syndrom schwere Form der Epilepsie (bei Kindern)	Cannabidiol	Epidyolex®	Sep 2019	GW Pharma	89.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Leukämie, akute lymphatische Lymphozytenüberproduktion (häufigste Blutkrebsform bei Kindern)	Ponatinib	Iclusig®	Jul 2013	Incyte Biosciences	44.000
Leukämie, akute lymphatische akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs)	Inotuzumab Ozogamicin	Besponsa®	Jun 2017	Pfizer	17.000
Leukämie, akute lymphatische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Tisagen Leclucel	Kymriah®	Aug 2018	Novartis	53.500
Leukämie, akute lymphatische akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs)	Blinatumomab	Blinicyto®	Nov 2015	Amgen	79.500
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion); mit FLT3-Mutation	Midostaurin	Rydapt®	Sep 2017	Novartis	30.500
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Daunorubicin / Cytarabin	Vyxeos Liposomal®	Aug 2018	Jazz Pharmaceuticals	44.000
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion)	Decitabin	Dacogen®	Sep 2012	Janssen-Cilag	87.000
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs (Myeloblastenüberproduktion)	Gemtuzumab Ozogamicin	Mylotarg®	Apr 2018	Pfizer	44.000
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Glasdegib	Daurismo®	Jun 2020	Pfizer	58.000
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Gilteritinib	Xospata®	Okt 2019	Astellas	62.000
Leukämie, chronisch lymphatische Blutkrebs (Lymphozytenüberproduktion)	Ibrutinib	Imbruvica®	Okt 2014	Janssen	132.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Leukämie, chronisch lymphatische Blutkrebs (Lymphozytenüberproduktion)	Obinutuzumab	Gazyvaro®	Jul 2014	Roche	133.000
Leukämie, chronisch myeloische Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion)	Ponatinib	Iclusig®	Jul 2013	Incyte Biosciences	35.000
Limbusstammzelleninsuffizienz nach Verbrennung / Verätzung des Auges	Lebendes (Hornhaut) Gewebeäquivalent	Holoclar®	Feb 2015	Holostem	13.500
Lungenhochdruck, arterieller Bluthochdruck in den pulmonalen (zur Lunge führenden) Arterien	Macitentan	Opsumit®	Dez 2013	Janssen-Cilag	79.000
Lungenhochdruck, chronisch thromboembolischer chronisch-thromboembolischer Bluthochdruck in der Lunge	Treprostinil Natrium	Trepulmix®	Apr 2020	SciPharm	45.000
Lymphom, anaplastisches großzelliges Krebs des Lymphsystems	Brentuximab Vedotin	Adcetris®	Okt 2012	Takeda	8.500
Lysosomaler saurer Lipase-Mangel Enzymmangel-Erkrankung	Sebelipase alfa	Kanuma®	Aug 2015	Alexion	8.500
Malaria, schwere Verläufe Infektionskrankheit mit dem Risiko lebensbedrohlicher Komplikationen	Artesunat	Artesunat Amivas®	Nov 2021	Amivas	5.150
Mantelzell-Lymphom Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen (B-Lymphozyten)	Ibrutinib	Imbruvica®	Okt 2014	Janssen	27.000
Mantelzell-Lymphom Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen (B-Lymphozyten)	Brexucabtagen Autoleucel	Tecartus®	Dez 2020	Kite	23.000
Mastozytose Anreicherung zu vieler Mastzellen (ein Typ weißer Blutkörperchen) in den Organen	Midostaurin	Rydapt®	Sep 2017	Novartis	40.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Metachromatische Leukodystrophie durch Enzymmangel verursachte toxische Anlagerung von Fetten an Nervenzellen	Atidarsagen Autotemcel	Libmeldy®	Dez 2020	Orchard Therapeutics	400
Milzbrand (Vorbeugung und Behandlung) durch das Gift des Bakteriums B. anthracis hervorgerufene Entzündung	Obiltoxaximab	Obiltoxaximab SFL®	Nov 2020	SFL Pharmaceuticals	450
Morbus Fabry vererbter Enzymmangel	Migalastat	Galafold®	Mai 2016	Amicus Therapeutics	102.000
Morbus Gaucher Typ 1 vererbter Enzymmangel	Eliglustat	Cerdelga®	Jan 2015	Genzyme	13.000
Morbus Gaucher Typ 1 vererbter Enzymmangel	Velaglucerase alfa	VPRIV®	Aug 2010	Takeda	13.000
Morbus Waldenström Lymphoplasmatisches Lymphom - ein Non-Hodgkin-Lymphom	Ibrutinib	Imbruvica®	Jul 2015	Janssen	4.500
Mukopolysaccharidose Typ IVA Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	Elosulfase alfa	Vimizim®	Apr 2014	BioMarin Europe	1.300
Mukopolysaccharidose Typ VII, Sly Syndrom Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	Vestronidase alfa	Mepsevii®	Aug 2018	Ultragenyx	30
Mukormykose seltene lebensbedrohliche Pilzinfektion	Isavuconazol	Cresemba®	Okt 2015	Basilea	2.500
Mukoviszidose mit bestimmten F508del-Mutationen vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports	Ivacaftor / Tezacaftor / Elexacaftor	Kaftrio®	Aug 2020	Vertex	45.000
Mukoviszidose mit bestimmten Genmutationen vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports	Tezacaftor / Ivacaftor	Symkevi®	Okt 2018	Vertex	41.500

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Mukoviszidose mit bestimmten Mutationen im CFTR-Gen vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports	Ivacaftor	Kalydeco®	Jul 2012	Vertex	30.000
Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung verursacht durch Pseudomonas aeruginosa	Tobramycin	TOBI Podhaler®	Jul 2011	Mylan	56.000
Multiples Myelom	Ciltacabtagen Autotemcel	Carvykti®	Mai 2022	Janssen	205.000
Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Ixazomib	Ninlaro®	Nov 2016	Takeda	177.000
Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Daratumumab	Darzalex®	Mai 2016	Janssen	177.000
Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Carfilzomib	Kyprolis®	Nov 2015	Amgen	146.000
Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Belantamab Mafodotin	Blenrep®	Aug 2020	GlaxoSmithKline	178.000
Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Pomalidomid	Imnovid®	Aug 2013	Bristol Myers Squibb	57.000
Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Panobinostat	Farydak®	Aug 2015	Novartis	146.000
Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Idecabtagen Vicleucel	Abecma®	Aug 2021	Bristol Myers Squibb	205.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Myasthenia gravis Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden	Eculizumab	Soliris®	Aug 2017	Alexion	165.000
Mycosis fungoides oder Sézarny Syndrom beides sind kutane T-Zell-Lymphome	Mogamulizumab	Poteligeo®	Nov 2018	Kyowa Kirin	116.000
Myelodysplastisches Syndrom-bedingte Anämie Erkrankung der blutbildenden Stammzellen im Knochenmark	Luspatercept	Reblozyl®	Jun 2020	Bristol Myers Squibb	89.000
Myelofibrose, sekundär, post- Polycythaemia vera krankhafte Veränderung des Knochenmarks nach einer Polycythaemia vera	Fedratinib	Inrebic®	Feb 2021	Bristol Myers Squibb	7.000
Myelofibrose, primäre krankhafte Veränderung des Knochenmarks	Fedratinib	Inrebic®	Feb 2021	Bristol Myers Squibb	13.000
Myelofibrose, sekundäre, post- essenzielle Thrombozythämie krankhafte Veränderung des Knochenmarks nach essenzieller Thrombozythämie	Fedratinib	Inrebic®	Feb 2021	Bristol Myers Squibb	7.000
Myotonie ererbte Störung der Entspannung von Muskeln, die mit Schmerzen und Steifigkeit einhergeht	Mexiletin	Namuscla®	Dez 2018	Lupin	53.500
Narkolepsie mit oder ohne Kataplexie Exzessive Tagesschläfrigkeit	Pitolisant	Wakix®	Mrz 2016	Bioprojet Pharma	177.000
Nephropathische Cystinose Ansammlung des Proteins Cystin in Zellen (z. B. Leukozyten, Muskel- und Leberzellen)	Cysteamin	Procysbi®	Sep 2013	Chiesi Orphan	4.300
Neuroblastom (Hochrisiko) solider Tumor der Nervenzellen; häufig im Bauch oder an der Wirbelsäule	Dinutuximab beta	Qarziba®	Mai 2017	Eusa Pharma	44.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Neurofibromatose 1 (plexiforme Neurofibrome) gut- und bösartige Tumore der Haut und der Nerven	Selumetinib	Koselugo®	Jun 2021	AstraZeneca	134.000
Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen entzündliche Autoimmunerkrankungen, die v.a. Sehnerv, Rückenmark oder Hirnstamm betreffen	Eculizumab	Soliris®	Aug 2019	Alexion	18.000
Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen Entzündungserkrankungen, die vor allem Sehnerv und Rückenmark betreffen und schädigen	Satralizumab	Enspr yng®	Jun 2021	Roche	18.000
Neuronale Ceroid-Lipofuszinose Mangel an Tripeptidyl-Peptidase 1, einem Enzym zum Proteinabbau in den Zellen	Cerliponase alfa	Brineura®	Mai 2017	BioMarin Europe	13.000
Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndrom Tag-Nacht-Rhythmus-Störungen bei Blinden	Tasimelteon	Hetlioz®	Jul 2015	Vanda	146.000
Nicht-tuberkulöse mykobakterielle Lungeninfektionen verursacht durch Mycobacterium avium Complex	Amikacin	Arikayce liposomal®	Okt 2020	Insmed	27.000
Ösophagitis, eosinophile Speiseröhrenentzündung durch Eosinophile (weiße Blutkörperchen)	Budesonid	Jorveza®	Jan 2018	Dr. Falk Pharma	137.000
Pankreaskarzinom Krebs der Bauchspeicheldrüse	Irinotecan	Onivyde®	Okt 2016	Laboratoires Servier	71.000
Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen	Pegcetacoplan	Aspaveli®	Dez 2021	Swedish Orphan Biovitrum	17.500

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Perianale Fisteln bei Morbus Crohn entzündlich veränderte Gänge (Fisteln) im Bereich der Analregion	Darvadstrocel	Alofisel®	Mrz 2018	Takeda	155.000
Phenylketonurie genetisch bedingte Störung des Abbaus des Proteins Phenylalanin	Pegvaliase	Palynziq®	Mai 2019	BioMarin Europe	86.000
Polyangiitis, mikroskopische Entzündung der kleinen Blutgefäße im Körper	Avacopan	Tavneos®	Jan 2022	Vifor Pharma	45.000
Porphyrie, akute hepatische Enzymdefekt, der eine Ansammlung des Porphyrins Häm im Körper verursacht	Givosiran	Givlaari®	Mrz 2020	Alnylam	4.300
Primäre Hyperoxalurie Typ 1 fehlerhaftes Enzym verursacht Oxalsäureansammlung im Körper	Lumasiran	Oxlumo®	Nov 2020	Alnylam	2.250
Progressive familiäre intrahepatische Cholestase gestörter Transport von Gallenflüssigkeit mit daraus folgender Leberschädigung	Odevixibat	Bylvay®	Jul 2021	Albireo	1.300
Retinits pigmentosa ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut	Voretigen Neparvovec	Luxturna®	Nov 2018	Novartis	132.000
Riesenantrozytom aufgrund tuberöser Sklerose, subependymales durch die genetisch bedingte tuberöse Sklerose verursachter Hirntumor	Everolimus	Votubia®	Sep 2011	Novartis	44.000
Schilddrüsenkarzinom, medulläres	Cabozantinib	Cometriq®	Mrz 2014	Ipsen Pharma	31.000
Schilddrüsenkrebs, differenziert differenzierte follikuläre / papilläre / Hürthle-Zell-Schilddrüsenkarzinome	Sorafenib	Nexavar®	Nov 2014	Bayer	53.000-172.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Sichelzellkrankheit (Behandlung hämolytischer Anämie) fehlerhafte rote Blutkörperchen transportieren keinen Sauerstoff	Voxelotor	Oxbryta®	Feb 2022	Global Blood Therapeutics	142.000
Sichelzellkrankheit (Prävention vasoookklusiver Krisen) fehlerhafte rote Blutkörperchen transportieren keinen Sauerstoff und blockieren die Blutgefäße	Crizanlizumab	Adakveo®	Okt 2020	Novartis	89.000
Spinale Muskelatrophie Typ 1 Muskelabbau durch fehlendes bzw. nicht ausreichend produziertes SMN-Protein	Onasemnogen Abeparvovec	Zolgensma®	Mai 2020	Avexis	18.000
Spinale Muskelatrophie Typ 1, 2, 3 oder 1 bis 4 SMN2-Kopien Muskelabbau durch fehlendes bzw. nicht ausreichend produziertes SMN-Protein	Risdiplam	Evryssi®	Mrz 2021	Roche	18.000
Spinale Muskelatrophie, 5q-assoziiert Erkrankung der Motorneuronen durch Mangel an Survival Motorneuron-Protein (SMN)	Nusinersen	Spinraza®	Mai 2017	Biogen	18.000
Stammzelltransplantation, hämatopoetische, hepatische venookklusive Erkrankung Zerstörung kleiner Blutgefäße der Leber durch Transplantation	Defibrotid	Defitelio®	Okt 2013	Gentium	3.000
Stammzelltransplantation; hämatopoetische (Konditionierungstherapie) Vorbereitung der Stammzelltransplantation bei verschiedenen Krebserkrankungen	Treosulfan	Trecondi®	Jun 2019	Medac	31.000
Thrombotische thrombozytopenische Purpura, erworbene Blutgerinnungsstörung	Caplacizumab	Cablivi®	Aug 2018	Ablynx	112.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Toxische Methotrexat-Plasmakonzentrationen Verhinderung toxischer Auswirkungen bei Patienten mit verzögerter Methotrexat-Ausscheidung	Glucarpidase	Voraxaze®	Jan 2022	SERB S.A.	12.800
Transthyretin-Amyloidose mit Polyneuropathie Ansammlung von Proteinen (Transthyretine) in Organen	Inotersen	Tegsedi®	Jul 2018	Akcea	132.000
Transthyretin-Amyloidose, ererbte Einlagerung von Proteinen im Herzen und im Nervensystem	Patisiran	Onpattro®	Aug 2018	Alnylam	6.000
Transthyretin-Amyloidose, ererbte oder Wildtyp Störung des Eiweißabbaus, Ablagerung von fehlgefaltetem Transthyretin	Tafamidis	Vyndaquel®	Feb 2020	Pfizer	134.000
Tuberkulose	Paraaminosalicylsäure	Granupas®	Apr 2014	Eurocept International	62.000
Tuberkulose Behandlung mehrfach resistenter Tuberkulose (MDR-TB)	Bedaquilin	Sirturo®	Mrz 2014	Janssen-Cilag	87.000
Tuberkulose Lungentuberkulose, multiresistent	Delamanid	Deltyba®	Apr 2014	Otsuka	89.000
Tuberkulose, MDR, XDR Behandlung multiresistenter (MDR) und extensiv resistenter (XDR) Tuberkulose	Pretomanid	Dovprela®	Jul 2020	Mylan	86.000
T-Zell-Lymphom, kutan Krebs des Lymphsystems	Brentuximab Vedotin	Adcetris®	Dez 2017	Takeda	89.000
T-Zell-Lymphom, kutan (Typ Mycosis fungoides) Krebs des Lymphsystems; Überproduktion von T-Zellen (weiße Blutkörperchen)	Chlormethin	Ledaga®	Mrz 2017	Helsinn-Birex	114.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Verbrennungen, tiefe Entfernung des Verbrennungsschorfs (Eschar) bei tiefen thermischen Verletzungen	proteolytische Enzyme aus Bromelain	NexoBrid®	Dez 2012	MediWound	43.500
Verhinderung der Abstoßung von Nierentransplantaten	Imlifidase	Idefirix®	Aug 2020	Hansa Biopharma	31.000
Wachstumshormonmangel	Lonapegsomatropin	Lonapegsomatropin Asce	Jan 2022	Ascendis	178.000
Wachstumsstörungen unzureichende Ausschüttung von Wachstumshormon	Somatrogon	Ngenla®	Feb 2022	Pfizer	205.000
Wachstumstörungen Mangel an Wachstumshormonen	Somapacitan	Sogroya®	Mrz 2021	Novo Nordisk	210.000
Xanthomatose, zerebrotendinöse Störung der Gallensaftbildung aufgrund eines Sterol-27-Hydroxylase Mangels	Chenodesoxycholsäure	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.

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Akromegalie	Pegvisomant	Somavert®	Pfizer	Nov 2002	Nov. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	27.000
Angioödem, hereditäres	Icatibant	Firazyr®	Takeda	Jul 2008	Jul. 2020	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	111.000
Apnoe bei Frühgeborenen, primäre	Coffeincitrat	Peyona®	Chiesi Farmaceutici	Jul 2009	Jul. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	37.500
Barrett-Ösophagus (photodynamische Therapie)	Porfimer natrium	PhotoBarr®	Pinnacle Biologics	Mrz 2004	Mai. 2012	Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen	159.000
Beta-Thalassämie	Betibeglogen Autotemcel	Zynteglo®	bluebird bio	Mai 2019	Mrz. 2022	Rückgabe der Zulassung aus firmenstrategischen Gründen	31.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Chronische Eisenüberladung	Deferasirox	Exjade®	Novartis	Aug 2006	Aug. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	119.000
Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome	Canakinumab	Ilaris®	Novartis	Okt 2009	Dez. 2010	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	2.200
Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome	Rilonacept	Rilonacept Reg	Regeneron	Okt 2009	Okt. 2012	Rückgabe der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen, Medikament war nie im Markt	2.000
Dermatofibrosarcoma protuberans	Imatinib	Glivec®	Novartis	Sep 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500
Ductus arteriosus bei Frühgeborenen	Ibuprofen	Pedea®	Orphan Europe	Jul 2004	Jul. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	92.000
Eierstock-, Eileiter, Peritonealkarzinom	Rucaparib	Rubraca®	Clovis	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

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Eierstockkrebs	Trabectedin	Yondelis®	Pharma Mar	Okt 2009	Okt. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	104.000
Eierstockkrebs	Olaparib	Lynparza®	AstraZeneca	Dez 2014	Mrz. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000
Extravasation durch Anthracycline	Dexrazoxan	Savene®	Clinigen Healthcare	Jul 2006	Jul. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	1.250
Familiäre adenomatöse Polyposis	Celecoxib	Onsenal®	Pfizer	Okt 2003	Mrz. 2011	Marktrücknahme, da als Zulassungsaufgabe geforderte Daten nicht geliefert werden konnten	13.000-44.000
Familiäre Lipoproteinlipasedefizienz mit Pankreatitisschüben	Alipogen tiparvovec	Glybera®	uniQure biopharma	Okt 2012	Okt. 2017	Keine Verlängerung der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen	850
Gallensäuresynthesestörung	Cholsäure	Kolbam®	Retrophin Europe	Apr 2014	Jul. 2020	Rückgabe der Zulassung durch Zulassungshaber	3.500
Gastrointestinale Stromatumore	Imatinib	Glivec®	Novartis	Mai 2002	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	2.500

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Gastrointestinale Stromatumore	Sunitinib	Sutent®	Pfizer	Jul 2006	Jul. 2008	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	13.000
Gliom, malignes	5-Aminolaevulinsäure	Gliolan®	photonamic	Sep 2007	Sep. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Haarzell-Leukämie	Moxetumomab Pasudotox	Lumoxiti®	AstraZeneca	Feb 2021	Jul. 2021	Rückgabe der Zulassung aus kommerziellen Gründen	44.500
Haarzell-Leukämie	Cladribin	Litak®	Lipomed	Apr 2004	Apr. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	157.000
Homocystinurie	Betain	Cystadane®	Orphan Europe	Feb 2007	Feb. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	7.000
Hyperammonämie aufgrund verschiedener seltener Erkrankungen	Carglumsäure	Carbaglu®	Recordati	Mai 2011	Jun. 2021	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	2.500
Hyperammonämie wegen primären N-acetylglutamat Synthasemangels	Carglumsäure	Carbaglu®	Recordati	Jan 2003	Jan. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	70

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Hypereosinophiles Syndrom / Leukämie, chronische eosinophile	Imatinib	Glivec®	Novartis	Nov 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500
Idiopathische thrombozytopenische Purpura	Eltrombopag	Revolade®	Novartis	Mrz 2010	Dez. 2011	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	108.000
Idiopathische thrombozytopenische Purpura	Romiplostim	Nplate®	Amgen	Feb 2009	Feb. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	43.000
Interstitielle Lungenerkrankung bei systemischer Sklerose	Nintedanib	Ofev®	Boehringer Ingelheim	Apr 2020	Mai. 2020	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	156.000
Lambert-Eaton-Myasthenisches Syndrom	Amifampridin	Firdapse®	BioMarin Europe	Dez 2009	Dez. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
Leberzellkrebs	Sorafenib	Nexavar®	Bayer	Okt 2007	Okt. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Lennox-Gastaut-Syndrom	Rufinamid	Inovelon®	Eisai	Jan 2007	Jan. 2019	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000-88.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Leukämie, akute lymphatische	Imatinib	Glivec®	Novartis	Sep 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	21.500
Leukämie, akute lymphatische	Clofarabin	Evoltra®	Genzyme	Mai 2006	Jun. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	17.500
Leukämie, akute lymphatische	Mercaptopurin	Xaluprine®	Nova Laboratories	Mrz 2012	Mrz. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	52.500
Leukämie, akute lymphatische	Dasatinib	Sprycel®	Bristol Myers Squibb	Nov 2006	Nov. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	31.500
Leukämie, akute myeloische	Azacitidin	Vidaza®	Bristol Myers Squibb	Dez 2008	Dez. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	87.000
Leukämie, akute myeloische	Histamin dihydrochlorid	Ceplene®	Noventia	Okt 2008	Okt. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	29.000
Leukämie, chronisch lymphatische	Venetoclax	Venclyxto®	AbbVie	Dez 2016	Okt. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	215.500

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Leukämie, chronisch lymphatische	Ofatumumab	Arzerra®	Novartis	Apr 2010	Feb. 2019	Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen	152.000
Leukämie, chronisch myeloische	Bosutinib	Bosulif®	Pfizer	Mrz 2013	Mrz. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	70.000
Leukämie, chronisch myeloische	Dasatinib	Sprycel®	Bristol Myers Squibb	Nov 2006	Nov. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	39.000
Leukämie, chronisch myeloische	Nilotinib	Tasigna®	Novartis	Nov 2007	Nov. 2019	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Leukämie, chronisch myeloische	Imatinib	Glivec®	Novartis	Nov 2001	Nov. 2011	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	40.000
Lungenfibrose, idiopathische	Nintedanib	Ofev®	Boehringer Ingelheim	Jan 2015	Mai. 2020	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000
Lungenfibrose, idiopathische	Pirfenidon	Esbriet®	Roche	Mrz 2011	Mrz. 2021	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Lungenhochdruck, arterieller	Sildenafil	Revatio®	Upjohn	Okt 2005	Nov. 2015	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Lungenhochdruck, arterieller	Bosentan	Tracleer®	Janssen-Cilag	Mai 2002	Mai. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	95.000
Lungenhochdruck, arterieller	Iloprost	Ventavis®	Bayer	Sep 2003	Sep. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	97.000
Lungenhochdruck, arterieller	Sitaxentan	Thelin®	Pfizer	Aug 2006	Jan. 2011	Marktrücknahme wegen möglicher Leberschäden	82.000
Lungenhochdruck, arterieller	Ambrisentan	Volibris®	GlaxoSmith Kline	Apr 2008	Apr. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	89.000
Lungenhochdruck, arterieller und chronisch thromboembolischer	Riociguat	Adempas®	Bayer	Mrz 2014	Jun. 2022	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	89.000
Magenkrebs	Ramucirumab	Cyramza®	Lilly	Dez 2014	Dez. 2015	Ausweitung der Indikation	176.000
Mantelzell-Lymphom	Lenalidomid	Revlimid®	Celgene	Jul 2016	Dez. 2019	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	27.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Mantelzell-Lymphom	Temsirolimus	Torisel®	Pfizer	Aug 2009	Aug. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	17.000
Merkelzellkarzinom	Avelumab	Bavencio®	Merck	Sep 2017	Okt. 2019	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	18.000
Morbus Cushing	Pasireotid	Signifor®	Novartis	Apr 2012	Apr. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status bei dieser Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	20.000
Morbus Fabry	Agalsidase alfa	Replagal®	Takeda	Aug 2001	Aug. 2011	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	1.300
Morbus Fabry	Agalsidase beta	Fabrazyme®	Genzyme	Aug 2001	Aug. 2011	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	1.300
Morbus Gaucher Typ 1	Miglustat	Zavesca®	Janssen-Cilag	Nov 2002	Nov. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	26.000
Morbus Pompe	Alglucosidase alfa	Myozyme®	Genzyme	Mrz 2006	Mrz. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	6.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Morbus Wilson	Zinkacetat dihydrat	Wilzin®	Orphan Europe	Okt 2004	Okt. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	26.000
Mukopolysaccharidose Typ I	Laronidase	Aldurazyme®	Genzyme	Jun 2003	Jun. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	1.100
Mukopolysaccharidose Typ II (Hunter Syndrom)	Idursulfase	Elaprase®	Takeda	Jan 2007	Jan. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	850
Mukopolysaccharidose Typ VI	Galsulfase	Naglazyme®	BioMarin Europe	Jan 2006	Jan. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	725
Mukoviszidose (als Zusatz zur besten Standardtherapie)	Mannitol	Bronchitol®	Pharmaxis	Apr 2012	Apr. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	30.500
Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung	Aztreonamlysin	Cayston®	Gilead	Sep 2009	Okt. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	56.000
Multiples Myelom	Thalidomid	Thalidomide B	Bristol Myers Squibb	Apr 2008	Apr. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	53.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Multiples Myelom, Erhaltung nach Stammzelltherapie	Lenalidomid	Revlimid®	Celgene	Jun 2007	Jun. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	56.000
Myelodysplastische / Myeloproliferative Erkrankungen	Imatinib	Glivec®	Novartis	Nov 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	70.000
Myelodysplastisches Syndrom (intermediate-1 + isolated deletion 5q abnormality)	Lenalidomid	Revlimid®	Celgene	Jun 2013	Dez. 2019	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000
Myelodysplastisches Syndrom (intermediate-2 + Hochrisiko)	Azacitidin	Vidaza®	Bristol Myers Squibb	Dez 2008	Dez. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	48.000-133.000
Myelofibrose	Ruxolitinib	Jakavi®	Novartis	Aug 2012	Feb. 2015	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	450
Myoklonische Epilepsie / Dravet's Syndrom	Stiripentol	Diacomit®	Biocodex	Jan 2007	Jan. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	17.000
Narkolepsie mit Kataplexie	Natriumoxybat	Xyrem®	UCB	Okt 2005	Jan. 2010	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	218.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Nebenniereninsuffizienz	Hydrocortison	Plenadren®	Takeda	Nov 2011	Nov. 2021	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	197.000
Nebennierenrindenkarzinom	Mitotan	Lysodren®	Laboratoire HRA Pharma	Apr 2004	Apr. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
Neuroblastom (Hochrisiko)	Dinutuximab	Unituxin®	United Therapeutics	Aug 2015	Mrz. 2017	Rückgabe der Zulassung durch Zulassungsinhaber	48.000
Niemann-Pick Typ C	Miglustat	Zavesca®	Janssen-Cilag	Jan 2009	Jan. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
Nierenzellkrebs	Sunitinib	Sutent®	Pfizer	Jul 2006	Jul. 2008	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	155.000
Nierenzellkrebs	Everolimus	Afinitor®	Novartis	Aug 2009	Jul. 2011	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	173.000
Nierenzellkrebs	Temsirolimus	Torisel®	Pfizer	Nov 2007	Nov. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	155.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Nierenzellkrebs	Sorafenib	Nexavar®	Bayer	Jul 2006	Jul. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	133.000
Osteosarkom	Mifamurtid	Mepact®	Takeda	Mrz 2009	Mrz. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	22.000
Parkinson	Levodopa / Carbidopa	Duodopa® Gel	AbbVie	Jun 2004	Nov. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	104.000
Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie	Eculizumab	Soliris®	Alexion	Jun 2007	Jun. 2019	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
Phenylketonurie und BH4-Mangel	Sapropterin	Kuvan®	BioMarin Europe	Dez 2008	Dez. 2020	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	73.000
Primärer IGF-1-Mangel	Mecasermin	Increlex®	Ipsen Pharma	Aug 2007	Aug. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	87.000
Promyelozyten-Leukämie, akute	Arsentrioxid	Trisenox®	Teva	Mrz 2002	Mrz. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	35.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Schilddrüsenkrebs, differenziert	Lenvatinib	Lenvima®	Eisai	Mai 2015	Aug. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	133.000
Schmerzen, schwer, chronisch	Ziconotid	Prialt®	Riemser	Feb 2005	Feb. 2015	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	67.000
Sichelzellkrankheit (Prävention vasookklusiver Krisen)	Hydroxycarbamid	Siklos®	Addmedica	Jun 2007	Jul. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	25.500
Sklerodermie, systemische	Bosentan	Tracleer®	Janssen-Cilag	Jun 2007	Mai. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status, nachdem dieser für die Erstindikation abgelaufen war	57.000
Stammzelltransplantation (Mobilisierung von Knochenmarks-Stammzellen)	Plerixafor	Mozobil®	Genzyme	Aug 2009	Aug. 2021	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500
Stammzelltransplantation, hämatopoetische (Vorbereitung)	Thiotepa	Tepadina®	Adienne	Mrz 2010	Mrz. 2020	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	27.000
Stammzelltransplantation, hämatopoetische (Vorbereitung)	Busulfan	Busilvex®	Pierre	Jul 2003	Jul. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	26.500

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Stammzelltransplantation, hämatopoetische, haploidentisch, Begleittherapie	Nalotimagen Carmaleucel	Zalmoxis®	MolMed	Aug 2016	Okt. 2019	Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen	14.000
Thrombozythämie	Anagrelid	Xagrid®	Takeda	Nov 2004	Nov. 2016	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	109.000
Transthyretin-Amyloidose mit Polyneuropathie	Tafamidis	Vyndaqel®	Pfizer	Nov 2011	Nov. 2021	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status bei dieser Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	4.350
Tyrosinämie Typ I	Nitisinon	Orfadin®	Swedish Orphan Biovitrum	Feb 2005	Feb. 2015	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
T-Zell-Leukämie, akute lymphoblastische und T-Zell-Lymphom, lymphoblastisches	Nelarabin	Atriance®	Novartis	Aug 2007	Aug. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	48.000
Viszerale Leishmaniose	Miltefosin	Impavido®	Paladin Labs	Dez 2004	Dez. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.000
Weichteilsarkom	Trabectedin	Yondelis®	Pharma Mar	Sep 2007	Sep. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	27.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Weichteilsarkom	Olaratumab	Lartruvo®	Lilly	Nov 2016	Jul. 2019	Marktrücknahme: neue Daten haben Wirksamkeit nicht belegt	133.000
Zerebrale Adrenoleukodystrophie	Elivaldogen Autotemcel	Skysona®	bluebird bio	Jul 2021	Nov. 2021	Rückgabe der Zulassung aus firmenstrategischen Gründen	22.000