

# Orphan-Arzneimittel nach Indikationen

Gemäß der Verordnung (EG) 141/2000 zu Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten zugelassene Präparate: **110**

Derzeit sind in der Europäischen Union die in der nachfolgenden Tabelle genannten 110 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. Datiert dieses vor 2011, wurde die Zahl auf die aktuelle Bevölkerungszahl der EU hochgerechnet (lt. Eurostat 514 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>ADA-SCID</b><br>schwerer kombinierter Immundefekt aufgrund von Adenosin-Desaminase-Mangel (ADA-SCID)                   | <b>Autologe Zellen</b> | Strimvelis®  | Mai 2016  | Orchard Therapeutics | 2.000               |
| <b>Akromegalie</b><br>Riesenwuchs   | <b>Pasireotid</b>      | Signifor®    | Nov 2014  | Novartis             | 102.000             |
| <b>Alpha-Mannosidose</b><br>erbliche lysosomale Speicherkrankheit   | <b>Velmanase alfa</b>  | Lamzede®     | Mrz 2018  | Chiesi Farmaceutici  | 5.000               |
| <b>Amyloidose</b><br>Proteinablagerungen um Nerven und Körpergewebe   | <b>Tafamidis</b>       | Vyndaqel®    | Nov 2011  | Pfizer               | 5.040               |
| <b>Angioödem, hereditäres, Prophylaxe</b><br>z. T. beträchtliche Schwellung tieferer Gewebe der Haut und der Schleimhäute | <b>Lanadelumab</b>     | Takhzyro®    | Nov 2018  | Shire                | 26.000              |
| <b>Aspergillose, invasive</b><br>seltene lebensbedrohliche Pilzinfektion  | <b>Isavuconazol</b>    | Cresemba®    | Okt 2015  | Basilea              | 102.000             |
| <b>Atypisches Hämolytisch-Urämisches Syndrom (aHUS)</b><br>Erkrankung der kleinen Blutgefäße                              | <b>Eculizumab</b>      | Soliris®     | Nov 2011  | Alexion              | 5.000               |

| <b>Indikation</b>  | <b>Wirkstoff</b>               | <b>Arzneimittel</b> | <b>Zulassung</b> | <b>Firma</b>  | <b>Erkrankte<br/>in der EU</b> |
|--|--------------------------------|---------------------|------------------|---------------|--------------------------------|
| <b>Barraquer-Simons-Syndrom</b><br>atypische Verteilung des Körperfetts mit<br>Stoffwechselkomplikationen  | <b>Metreleptin</b>             | Myalepta®           | Jul 2018         | Aegerion      | 120                            |
| <b>Berardinelli-Seip-Syndrom</b><br>atypische Verteilung des Körperfetts mit<br>Stoffwechselkomplikationen   | <b>Metreleptin</b>             | Myalepta®           | Jul 2018         | Aegerion      | 500                            |
| <b>Beta-Thalassämie</b><br>genetisch bedingte Fehlbildung der roten<br>Blutkörperchen  | <b>Betibeglogen autotemcel</b> | Zynteglo®           | Mai 2019         | bluebird bio  | 36.000                         |
| <b>Beta-Thalassämie-bedingte Anämie</b><br>genetisch bedingte Fehlbildung der roten<br>Blutkörperchen  | <b>Luspatercept</b>            | Reblozyl®           | Jun 2020         | Celgene       | 51.000                         |
| <b>B-Zell-Lymphom, großes, diffuses</b><br>Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-<br>Lymphome   | <b>Tisagen lecleucel</b>       | Kymriah®            | Aug 2018         | Novartis      | 235.500                        |
| <b>B-Zell-Lymphom, großes, diffuses</b><br>Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-<br>Lymphome   | <b>Axicabtagen ciloleucel</b>  | Yescarta®           | Aug 2018         | Gilead        | 235.500                        |
| <b>B-Zell-Lymphom, großes, diffuses</b><br>Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-<br>Lymphome   | <b>Polatuzumab vedotin</b>     | Polivy®             | Jan 2020         | Roche         | 222.000                        |
| <b>B-Zell-Lymphom, primär, mediastinal,<br/>groß</b><br>Blutkrebs - Überproduktion weißer<br>Blutkörperchen, die sich häufig im Brustraum<br>ansammeln | <b>Axicabtagen ciloleucel</b>  | Yescarta®           | Aug 2018         | Gilead        | 25.500                         |
| <b>Castleman-Krankheit</b><br>abnorme Vergrößerung eines oder mehrerer<br>Lymphknotens, oft mit gutartigen Tumoren                                     | <b>Siltuximab</b>              | Sylvant®            | Mai 2014         | Janssen-Cilag | 51.000                         |
| <b>Cholangitis, primäre biliäre</b><br>Entzündung der Gallengänge, die auch das<br>Lebergewebe angreift (bis zur Zirrhose)                             | <b>Obeticholsäure</b>          | Ocaliva®            | Dez 2016         | Intercept     | 200.000                        |

| <b>Indikation</b>  | <b>Wirkstoff</b>                  | <b>Arzneimittel</b> | <b>Zulassung</b> | <b>Firma</b>           | <b>Erkrankte<br/>in der EU</b> |
|--|-----------------------------------|---------------------|------------------|------------------------|--------------------------------|
| <b>Cushing Syndrom</b><br>durch Tumor der Hypophyse verursachte<br>stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut  | <b>Osilodrostat</b>               | Isturisa®           | Jan 2020         | Novartis               | 36.000                         |
| <b>Cushing Syndrom</b><br>durch Tumor der Hypophyse verursachte<br>stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut  | <b>Pasireotid</b>                 | Signifor®           | Apr 2012         | Novartis               | 23.000                         |
| <b>Cushing Syndrom</b><br>durch Tumor der Hypophyse verursachte<br>stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut  | <b>Ketoconazol</b>                | Ketoconazole HRA®   | Nov 2014         | Laboratoire HRA Pharma | 46.000                         |
| <b>Cystinablagerungen in der Hornhaut</b><br>Überschüssiges Cystin wird nicht abgebaut   | <b>Mercaptamin</b>                | Cystadrops®         | Jan 2017         | Recordati              | 5.000                          |
| <b>Cytomegalievirus-Reaktivierung oder -<br/>Erkrankung, Prophylaxe</b><br>bei Empfängern einer allogenen<br>hämatopoetischen Stammzelltransplantation               | <b>Letermovir</b>                 | Prevymis®           | Jan 2018         | MSD Sharp & Dohme      | 195.000                        |
| <b>Dravet-Syndrom</b><br>Form der Epilepsie  | <b>Cannabidiol</b>                | Epidyolex®          | Sep 2019         | GW Pharma              | 26.000                         |
| <b>Duchenne Muskeldystrophie</b><br>Progressiver symmetrischer Muskelabbau   | <b>Ataluren</b>                   | Translarna®         | Jul 2014         | PTC Therapeutics       | 20.000                         |
| <b>Eierstockkrebs</b><br>Tumore, die in den Eierstöcken beginnen und<br>sich auf umliegendes Gewebe ausbreiten   | <b>Niraparib</b>                  | Zejula®             | Nov 2017         | Tesaro                 | 220.000                        |
| <b>Erythropoetische Protoporphyrrie,<br/>Phototoxizität</b><br>Genetischer Defekt bei der Blutbildung, der<br>mit schmerzhafter Lichtunverträglichkeit<br>einhergeht | <b>Afamelanotid</b>               | Scenesse®           | Dez 2014         | Clinuvel               | 10.000                         |
| <b>Faktor X-Mangel</b><br>Blutgerinnungsstörung  | <b>Humaner Gerinnungsfaktor X</b> | Coagadex®           | Mrz 2016         | BPL Bioproducts        | 51.000                         |

| <b>Indikation</b>   | <b>Wirkstoff</b>                     | <b>Arzneimittel</b> | <b>Zulassung</b> | <b>Firma</b>                      | <b>Erkrankte in der EU</b> |
|---|--------------------------------------|---------------------|------------------|-----------------------------------|----------------------------|
| <b>Familiäre partielle Lipodystrophie</b><br>atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen                          | <b>Metreleptin</b>                   | Myalepta®           | Jul 2018         | Aegerion                          | 1.500                      |
| <b>Familiäres Chylomikronämie Syndrom</b><br>angeborene sehr hohe Triglycerid-Spiegel und Ablagerung von Triglyceriden an Organen         | <b>Volanesorsen</b>                  | Waylivra®           | Mai 2019         | Akcea                             | 5.000                      |
| <b>Gallensäuresynthesestörung</b><br>infolge von 3β-Hydroxy-Δ5-C27-steroid-Oxidoreductase-Mangel oder Δ4-3-Oxosteroid-5β-Reductase-Mangel | <b>Cholsäure</b>                     | Orphacol®           | Sep 2013         | Laboratoires CTRS                 | 4.000                      |
| <b>Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore, Behandlung</b><br>Tumor der neuroendokrinen Zellen in Pankreas und Darm               | <b>Lutetium (177Lu) oxodotreotid</b> | Lutathera®          | Sep 2017         | Advanced Accelerator Applications | 82.250                     |
| <b>Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore, Diagnose</b><br>Lokalisierung von Primärtumoren und deren Metastasen per PET          | <b>Edotreotid</b>                    | Somakit TOC®        | Dez 2016         | Advanced Accelerator Applications | 180.000                    |
| <b>Hämophilie B</b><br>Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung  | <b>Eftrenonacog alpha</b>            | Alprolix®           | Mai 2016         | Swedish Orphan Biovitrum          | 10.000                     |
| <b>Hämophilie B</b><br>Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung  | <b>Albutreponacog</b>                | Idelvion®           | Mai 2016         | CSL Behring                       | 10.000                     |
| <b>Harnstoffzyklusstörung</b><br>Harnstoffzyklusstörung aufgrund verschiedener Enzymmangelerkrankungen                                    | <b>Glycerolphenylbutyrat</b>         | Ravicti®            | Nov 2015         | Immedica                          | 61.500                     |
| <b>Hepatitis D</b>  | <b>Bulevirtid</b>                    | Hepcludex®          | Jul 2020         | Myr                               | 205.000                    |
| <b>Hodgkin Lymphom</b><br>Krebs des Lymphsystems  | <b>Brentuximab vedotin</b>           | Adcetris®           | Okt 2012         | Takeda                            | 51.300                     |

| <b>Indikation</b>   | <b>Wirkstoff</b>                       | <b>Arzneimittel</b> | <b>Zulassung</b> | <b>Firma</b>  | <b>Erkrankte<br/>in der EU</b> |
|---|--|---------------------|------------------|---------------|--------------------------------|
| <b>Hyperammonämie aufgrund verschiedener seltener Erkrankungen</b><br>Harnstoffzyklusstörung durch Enzymmangel  | <b>Carglumsäure</b>                    | Carbaglu®           | Mai 2011         | Orphan Europe | 3.000                          |
| <b>Hypoparathyreoidismus</b><br>Unterfunktion der Nebenschilddrüse  | <b>Parathyroidhormon (rekombinant)</b> | Natpar®             | Apr 2017         | Shire         | 180.000                        |
| <b>Hypophosphatämie, X-chromosomal, mit röntgenologisch nachgewiesener Knochenerkrankung</b><br>erblich bedingte hohe FGF23-Werte, die einen Mangel an für den Knochenaufbau wichtigem Phosphat verursachen | <b>Burosumab</b>                       | Crysvita®           | Feb 2018         | Kyowa Kirin   | 30.720                         |
| <b>Hypophosphatasie</b><br>Behandlung der Knochenmanifestationen der Krankheit  | <b>Asfotase alfa</b>                   | Strensiq®           | Aug 2015         | Alexion       | 500                            |
| <b>Karzinoid-Syndrom</b><br>Krebs in Hormon-produzierenden Zellen   | <b>Telotristat</b>                     | Xermelo®            | Sep 2017         | Ipsen Pharma  | 36.000                         |
| <b>Keratitis, neurotrophe</b><br>degenerative Erkrankung der Hornhaut des Auges   | <b>Cenegermin</b>                      | Oxervate®           | Jul 2017         | Dompé         | 215.000                        |
| <b>Keratokonjunktivitis, vernal</b><br>chronische schwere allergische Entzündung des Augenlids  | <b>Ciclosporin</b>                     | Verkazia®           | Jul 2018         | Santen Oy     | 165.000                        |
| <b>Kurzdarmsyndrom</b><br>chronische Verdauungsstörungen nach chirurgischer Entfernung von Teilen des Darms   | <b>Teduglutid</b>                      | Revestive ®         | Aug 2012         | Shire         | 22.000                         |
| <b>Lawrence-Syndrom</b><br>atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen  | <b>Metreleptin</b>                     | Myalepta®           | Jul 2018         | Aegerion      | 50                             |
| <b>Lebersche ererbte Amaurose</b><br>ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut   | <b>Voretigen neparvovec</b>            | Luxturna®           | Nov 2018         | Novartis      | 10.000                         |

| <b>Indikation</b>  | <b>Wirkstoff</b>                | <b>Arzneimittel</b> | <b>Zulassung</b> | <b>Firma</b>         | <b>Erkrankte<br/>in der EU</b> |
|--|---------------------------------|---------------------|------------------|----------------------|--------------------------------|
| <b>Lebersche ererbte Optikusneuropathie (LHON)</b><br>akuter, meist schmerzloser Verlust der Sehkraft innerhalb weniger Monate | <b>Idebenon</b>                 | Raxone®             | Sep 2015         | Santhera             | 10.000                         |
| <b>Lennox-Gastaut-Syndrom</b><br>schwere Form der Epilepsie (bei Kindern)  | <b>Cannabidiol</b>              | Epidyolex®          | Sep 2019         | GW Pharma            | 103.000                        |
| <b>Leukämie, akute lymphatische</b><br>akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs)                                     | <b>Blinatumomab</b>             | Blincyto®           | Nov 2015         | Amgen                | 92.000                         |
| <b>Leukämie, akute lymphatische</b><br>Lymphozytenüberproduktion (häufigste Blutkrebsform bei Kindern)                         | <b>Mercaptopurin</b>            | Xaluprine®          | Mrz 2012         | Nova Laboratories    | 61.000                         |
| <b>Leukämie, akute lymphatische</b><br>Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen  | <b>Tisagen lecleucel</b>        | Kymriah®            | Aug 2018         | Novartis             | 61.000                         |
| <b>Leukämie, akute lymphatische</b><br>akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs)                                     | <b>Inotuzumab ozogamicin</b>    | Besponsa®           | Jun 2017         | Pfizer               | 20.000                         |
| <b>Leukämie, akute lymphatische</b><br>Lymphozytenüberproduktion (häufigste Blutkrebsform bei Kindern)                         | <b>Ponatinib</b>                | Iclusig®            | Jul 2013         | Incyte Biosciences   | 51.000                         |
| <b>Leukämie, akute myeloische</b><br>Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen  | <b>Daunorubicin / Cytarabin</b> | Vyxeos®             | Aug 2018         | Jazz Pharmaceuticals | 51.000                         |
| <b>Leukämie, akute myeloische</b><br>Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen  | <b>Gilteritinib</b>             | Xospata®            | Okt 2019         | Astellas             | 72.000                         |
| <b>Leukämie, akute myeloische</b><br>Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion); mit FLT3-Mutation                                 | <b>Midostaurin</b>              | Rydapt®             | Sep 2017         | Novartis             | 35.500                         |

| <b>Indikation</b>  | <b>Wirkstoff</b>                                | <b>Arzneimittel</b> | <b>Zulassung</b> | <b>Firma</b>       | <b>Erkrankte<br/>in der EU</b> |
|--|---|---------------------|------------------|--------------------|--------------------------------|
| <b>Leukämie, akute myeloische</b><br>Blutkrebs - Überproduktion weißer<br>Blutkörperchen   | <b>Glasdegib</b>                                | Daurismo®           | Jun 2020         | Pfizer             | 67.000                         |
| <b>Leukämie, akute myeloische</b><br>Blutkrebs; Myeloblastenüberproduktion   | <b>Gemtuzumab ozogamin</b>                      | Mylotarg®           | Apr 2018         | Pfizer             | 51.000                         |
| <b>Leukämie, akute myeloische</b><br>Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion)  | <b>Decitabin</b>                                | Dacogen®            | Sep 2012         | Janssen-Cilag      | 101.000                        |
| <b>Leukämie, chronisch lymphatische</b><br>Blutkrebs (Lymphozytenüberproduktion)   | <b>Obinutuzumab</b>                             | Gazyvaro®           | Jul 2014         | Roche              | 154.000                        |
| <b>Leukämie, chronisch lymphatische</b><br>Blutkrebs (Lymphozytenüberproduktion)   | <b>Ibrutinib</b>                                | Imbruvica®          | Okt 2014         | Janssen            | 153.000                        |
| <b>Leukämie, chronisch myeloische</b><br>Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion)  | <b>Ponatinib</b>                                | Iclusig®            | Jul 2013         | Incyte Biosciences | 41.000                         |
| <b>Limbusstammzelleninsuffizienz nach<br/>Verbrennung / Verätzung des Auges</b>  | <b>Lebendes (Hornhaut)<br/>Gewebeäquivalent</b> | Holoclar®           | Feb 2015         | Holostem           | 15.000                         |
| <b>Lungenfibrose, idiopathische</b><br>bis zum Tod fortschreitende Vernarbung des<br>Lungengewebes   | <b>Pirfenidon</b>                               | Esbriet®            | Mrz 2011         | Roche              | 153.200                        |
| <b>Lungenhochdruck, arterieller und<br/>chronisch thromboembolischer</b><br>arterieller und chronisch-thromboembolischer<br>Bluthochdruck in der Lunge | <b>Riociguat</b>                                | Adempas®            | Mrz 2014         | Bayer              | 103.000                        |
| <b>Lungenhochdruck, chronischer<br/>thromboembolischer</b><br>chronisch-thromboembolischer<br>Bluthochdruck in der Lunge                               | <b>Treprostinil Natrium</b>                     | Trepulmix®          | Apr 2020         | SciPharm           | 52.000                         |
| <b>Lungenhochdruck, pulmonale arterielle<br/>Hypertonie</b><br>Bluthochdruck in den pulmonalen (zur Lunge<br>führenden) Arterien                       | <b>Macitentan</b>                               | Opsumit®            | Dez 2013         | Janssen-Cilag      | 92.000                         |

| <b>Indikation</b>   | <b>Wirkstoff</b>           | <b>Arzneimittel</b> | <b>Zulassung</b> | <b>Firma</b>        | <b>Erkrankte<br/>in der EU</b> |
|---|----------------------------|---------------------|------------------|---------------------|--------------------------------|
| <b>Lymphom, anaplastisches großzelliges</b><br>Krebs des Lymphsystems                                     | <b>Brentuximab vedotin</b> | Adcetris®           | Okt 2012         | Takeda              | 10.100                         |
| <b>Lysosomaler saurer Lipase-Mangel</b><br>Enzymmangel-Erkrankung   | <b>Sebelipase alfa</b>     | Kanuma®             | Aug 2015         | Alexion             | 10.000                         |
| <b>Mantelzell-Lymphom</b><br>Blutkrebs - Überproduktion weißer<br>Blutkörperchen (B-Lymphozyten)          | <b>Ibrutinib</b>           | Imbruvica®          | Okt 2014         | Janssen             | 31.000                         |
| <b>Mastozytose</b><br>Anreicherung zu vieler Mastzellen (ein Typ<br>weißer Blutkörperchen) in den Organen | <b>Midostaurin</b>         | Rydapt®             | Sep 2017         | Novartis            | 46.500                         |
| <b>Morbus Fabry</b><br>vererbter Enzymmangel  | <b>Migalastat</b>          | Galafold®           | Mai 2016         | Amicus Therapeutics | 118.000                        |
| <b>Morbus Gaucher Typ 1</b><br>vererbter Enzymmangel  | <b>Velaglucerase alfa</b>  | VPRIV®              | Aug 2010         | Shire               | 15.200                         |
| <b>Morbus Gaucher Typ 1</b><br>vererbter Enzymmangel  | <b>Eliglustat</b>          | Cerdelga®           | Jan 2015         | Genzyme             | 15.000                         |
| <b>Morbus Waldenström</b><br>Lymphoplasmatisches Lymphom - ein Non-<br>Hodgkin-Lymphom                    | <b>Ibrutinib</b>           | Imbruvica®          | Jul 2015         | Janssen             | 5.000                          |
| <b>Mukopolysaccharidose Typ IVA</b><br>Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms                              | <b>Elosulfase alfa</b>     | Vimizim®            | Apr 2014         | BioMarin Europe     | 1.500                          |
| <b>Mukopolysaccharidose Typ VII, Sly<br/>Syndrom</b><br>Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms             | <b>Vestronidase alfa</b>   | Mepsevii®           | Aug 2018         | Ultragenyx          | 35                             |
| <b>Mukormykose</b><br>seltene lebensbedrohliche Pilzinfektion   | <b>Isavuconazol</b>        | Cresamba®           | Okt 2015         | Basilea             | 3.000                          |
| <b>Mukoviszidose</b><br>Behandlung von Bronchospasmen durch<br>Mukoviszidose                              | <b>Mannitol</b>            | Bronchitol®         | Apr 2012         | Pharmaxis           | 35.300                         |



| <b>Indikation</b>  | <b>Wirkstoff</b>                            | <b>Arzneimittel</b> | <b>Zulassung</b> | <b>Firma</b>    | <b>Erkrankte<br/>in der EU</b> |
|--|---|---------------------|------------------|-----------------|--------------------------------|
| <b>Mukoviszidose mit bestimmten F508del-Mutationen</b>   | <b>Ivacaftor / Tezacaftor / Elexacaftor</b> | Kaftrio®            | Aug 2020         | Vertex          | 52.000                         |
| <b>Mukoviszidose mit bestimmten Genmutationen</b><br>vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports          | <b>Tezacaftor / Ivacaftor</b>               | Symkevi®            | Okt 2018         | Vertex          | 48.000                         |
| <b>Mukoviszidose mit bestimmten Mutationen im CFTR-Gen</b><br>vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports | <b>Ivacaftor</b>                            | Kalydeco®           | Jul 2012         | Vertex          | 35.000                         |
| <b>Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung</b><br>verursacht durch Pseudomonas aeruginosa               | <b>Tobramycin</b>                           | TOBI Podhaler®      | Jul 2011         | Mylan           | 65.000                         |
| <b>Multiples Myelom</b><br>Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen                        | <b>Carfilzomib</b>                          | Kyprolis®           | Nov 2015         | Amgen           | 169.000                        |
| <b>Multiples Myelom</b>  | <b>Belantamab mafodotin</b>                 | Blenrep®            | Aug 2020         | GlaxoSmithKline | 206.000                        |
| <b>Multiples Myelom</b><br>Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen                        | <b>Pomalidomid</b>                          | Imnovid®            | Aug 2013         | Celgene         | 66.000                         |
| <b>Multiples Myelom</b><br>Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen                        | <b>Panobinostat</b>                         | Farydak®            | Aug 2015         | Novartis        | 170.000                        |
| <b>Multiples Myelom</b><br>Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen                        | <b>Ixazomib</b>                             | Ninlaro®            | Nov 2016         | Takeda          | 205.000                        |
| <b>Multiples Myelom</b><br>Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen                        | <b>Daratumumab</b>                          | Darzalex®           | Mai 2016         | Janssen         | 205.000                        |

| <b>Indikation</b>   | <b>Wirkstoff</b>        | <b>Arzneimittel</b> | <b>Zulassung</b> | <b>Firma</b>     | <b>Erkrankte<br/>in der EU</b> |
|---|-------------------------|---------------------|------------------|------------------|--------------------------------|
| <b>Muskelatrophie, 5q-assoziierte spinale</b><br>Erkrankung der Motorneuronen durch Mangel<br>an Survival Motorneuron-Protein (SMN) | <b>Nusinersen</b>       | Spinraza®           | Mai 2017         | Biogen           | 21.000                         |
| <b>Myasthenia gravis</b><br>Autoimmunerkrankung, bei der<br>Muskelkontraktionen gehemmt werden                                      | <b>Eculizumab</b>       | Soliris®            | Aug 2017         | Alexion          | 191.000                        |
| <b>Mycosis fungoides oder Sézarny<br/>Syndrom</b><br>beides sind kutane T-Zell-Lymphome   | <b>Mogamulizumab</b>    | Poteligeo®          | Nov 2018         | Kyowa Kirin      | 134.000                        |
| <b>Myelodysplastisches Syndrom-bedingte<br/>Anämie</b><br>Erkrankung der blutbildenden Stammzellen<br>im Knochenmark                | <b>Luspatercept</b>     | Reblozyl®           | Jun 2020         | Celgene          | 103.000                        |
| <b>Myotonie</b><br>ererbte Störung der Entspannung von<br>Muskeln, die mit Schmerzen und Steifigkeit<br>einhergeht                  | <b>Mexiletin</b>        | Namuscla®           | Dez 2018         | Lupin            | 62.000                         |
| <b>Narkolepsie mit oder ohne Kataplexie</b><br>Exzessive Tagesschläfrigkeit   | <b>Pitolisant</b>       | Wakix®              | Mrz 2016         | Bioprojet Pharma | 205.000                        |
| <b>Nebenniereninsuffizienz</b><br>Hormonproduktion der Nebenniere<br>unzureichend   | <b>Hydrocortison</b>    | Plenadren®          | Nov 2011         | Shire            | 228.000                        |
| <b>Neonataler Diabetes mellitus</b>   | <b>Glibenclamid</b>     | Amglidia®           | Mai 2018         | AMMTek           | 1.000                          |
| <b>Nephropathische Cystinose</b><br>Ansammlung des Proteins Cystin in Zellen (z.<br>B. Leukozyten, Muskel- und Leberzellen)         | <b>Cysteamin</b>        | Procysbi®           | Sep 2013         | Chiesi Orphan    | 5.000                          |
| <b>Neuroblastom (Hochrisiko)</b><br>solider Tumor der Nervenzellen; häufig im<br>Bauch oder an der Wirbelsäule                      | <b>Dinutuximab beta</b> | Qarziba®            | Mai 2017         | Eusa Pharma      | 51.000                         |

| <b>Indikation</b>  | <b>Wirkstoff</b>            | <b>Arzneimittel</b> | <b>Zulassung</b> | <b>Firma</b>         | <b>Erkrankte<br/>in der EU</b> |
|--|-----------------------------|---------------------|------------------|----------------------|--------------------------------|
| <b>Neuronale Ceroid-Lipofuszinose</b><br>Mangel an Tripeptidyl-Peptidase 1, einem Enzym zum Proteinabbau in den Zellen | <b>Cerliponase alfa</b>     | Brineura®           | Mai 2017         | BioMarin Europe      | 15.000                         |
| <b>Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndrom</b><br>Tag-Nacht-Rhythmus-Störungen bei Blinden                                | <b>Tasimelteon</b>          | Hetlioz®            | Jul 2015         | Vanda                | 169.000                        |
| <b>Ösophagitis, eosinophil</b><br>Speiseröhrenentzündung durch Eosinophile (weiße Blutkörperchen)                      | <b>Budesonid</b>            | Jorveza®            | Jan 2018         | Dr. Falk Pharma      | 159.000                        |
| <b>Pankreaskarzinom</b><br>Krebs der Bauchspeicheldrüse  | <b>Irinotecan</b>           | Onivyde®            | Okt 2016         | Laboratoires Servier | 82.000                         |
| <b>Perianale Fisteln bei Morbus Crohn</b><br>entzündlich veränderte Gänge (Fisteln) im Bereich der Analregion          | <b>Darvadstrocel</b>        | Alofisel®           | Mrz 2018         | Takeda               | 177.500                        |
| <b>Phenylketonurie</b><br>genetisch bedingte Störung des Abbaus des Proteins Phenylalanin                              | <b>Pegvaliase</b>           | Palynziq®           | Mai 2019         | BioMarin Europe      | 100.000                        |
| <b>Phenylketonurie und BH4-Mangel</b><br>vererbter Defekt im Tyrosin-Stoffwechsel                                      | <b>Sapropterin</b>          | Kuvan®              | Dez 2008         | BioMarin Europe      | 85.000                         |
| <b>Polyneuropathie bei Transthyretin-Amyloidose</b><br>Ansammlung von Proteinen (Transthyretine) in Organen            | <b>Inotersen</b>            | Tegsedi®            | Jul 2018         | Akcea                | 153.000                        |
| <b>Porphyrie, akute hepatische</b><br>Enzymdefekt, der eine Ansammlung des Porphyrins Häm im Körper verursacht         | <b>Givosiran</b>            | Givlaari®           | Mrz 2020         | Alnylam              | 5.000                          |
| <b>Retinits pigmentosa</b><br>ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut                       | <b>Voretigen neparvovec</b> | Luxturna®           | Nov 2018         | Novartis             | 153.000                        |

| <b>Indikation</b>  | <b>Wirkstoff</b>               | <b>Arzneimittel</b> | <b>Zulassung</b> | <b>Firma</b>           | <b>Erkrankte<br/>in der EU</b> |
|--|--------------------------------|---------------------|------------------|------------------------|--------------------------------|
| <b>Riesenaastrozytom aufgrund tuberöser Sklerose, subependymales</b><br>durch die genetisch bedingte tuberöse Sklerose verursachter Hirntumor          | <b>Everolimus</b>              | Votubia®            | Sep 2011         | Novartis               | 51.000                         |
| <b>Schilddrüsenkarzinom, medulläres</b>  | <b>Cabozantinib</b>            | Cometriq®           | Mrz 2014         | Ipsen Pharma           | 35.700                         |
| <b>Schilddrüsenkrebs</b><br>differenzierte follikuläre / papilläre / Hürthle-Zell-Schilddrüsenkarzinome  | <b>Sorafenib</b>               | Nexavar®            | Nov 2014         | Bayer                  | 61.000-<br>199.000             |
| <b>Spinale Muskelatrophie Typ 1</b><br>Muskelabbau durch fehlendes bzw. nicht ausreichend produziertes SMN-Protein                                     | <b>Onasemnogen abeparvovec</b> | Zolgensma®          | Mai 2020         | Avexis                 | 21.000                         |
| <b>Stammzelltransplantation, hämatopoetische, hepatische venookklusive Erkrankung</b><br>Zerstörung kleiner Blutgefäße der Leber durch Transplantation | <b>Defibrotid</b>              | Defitelio®          | Okt 2013         | Gentium                | 3.600                          |
| <b>Stammzelltransplantation, Mobilisierung von Knochenmarks-Stammzellen</b><br>Vorbereitung bestimmter Stammzelltransplantationen                      | <b>Plerixafor</b>              | Mozobil®            | Aug 2009         | Genzyme                | 50.500                         |
| <b>Thrombotische thrombozytopenische Purpura, erworbene</b><br>Blutgerinnungsstörung   | <b>Caplacizumab</b>            | Cablivi®            | Aug 2018         | Ablynx                 | 130.000                        |
| <b>Transthyretin-Amyloidose, ererbte</b><br>Einlagerung von Proteinen im Herzen und im Nervensystem  | <b>Patisiran</b>               | Onpattro®           | Aug 2018         | Alnylam                | 7.200                          |
| <b>Tuberkulose</b><br>Behandlung mehrfach resistenter Tuberkulose (MDR-TB)   | <b>Bedaquilin</b>              | Sirturo®            | Mrz 2014         | Janssen-Cilag          | 101.000                        |
| <b>Tuberkulose</b>   | <b>Paraaminosalicylsäure</b>   | Granupas®           | Apr 2014         | Eurocept International | 72.000                         |

| <b>Indikation</b>  | <b>Wirkstoff</b>                           | <b>Arzneimittel</b>     | <b>Zulassung</b> | <b>Firma</b>    | <b>Erkrankte in der EU</b> |
|--|--|-------------------------|------------------|-----------------|----------------------------|
| <b>Tuberkulose</b><br>Lungentuberkulose, multiresistent  | <b>Delamanid</b>                           | Deltyba®                | Apr 2014         | Otsuka          | 103.000                    |
| <b>Tuberkulose, MDR, XDR</b><br>Behandlung multiresistenter (MDR) und extensiv resistenter (XDR) Tuberkulose                       | <b>Pretomanid</b>                          | Pretomanid FGK®         | Jul 2020         | FGK             | 100.000                    |
| <b>T-Zell-Lymphom, kutan (Typ Mycosis fungoides)</b><br>Krebs des Lymphsystems; Überproduktion von T-Zellen (weiße Blutkörperchen) | <b>Chlormethin</b>                         | Ledaga®                 | Mrz 2017         | Helsinn-Birex   | 132.000                    |
| <b>T-Zell-Lymphom, kutanes</b><br>Krebs des Lymphsystems   | <b>Brentuximab vedotin</b>                 | Adcetris®               | Dez 2017         | Takeda          | 103.000                    |
| <b>Verbrennungen, tiefe</b><br>Entfernung des Verbrennungsschorfs (Eschar) bei tiefen thermischen Verletzungen                     | <b>proteolytische Enzyme aus Bromelain</b> | NexoBrid®               | Dez 2012         | MediWound       | 50.600                     |
| <b>Verhinderung der Abstoßung von Nierentransplantaten</b>   | <b>Imlifidase</b>                          | Idefirix®               | Aug 2020         | Hansa Biopharma | 36.000                     |
| <b>Xanthomatose, zerebrotendinöse</b><br>Störung der Gallensaftbildung aufgrund eines Sterol-27-Hydroxylase Mangels                | <b>Chenodesoxycholsäure</b>                | Chenodesoxycholsäure Le | Apr 2017         | Leadiant        | 10.000                     |

# 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>Pegvisomant</b>      | Somavert®           | Pfizer              | Nov 2002         | Nov. 2012                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt  | 31.000                     |
| <b>Angioödem, hereditäres</b>                      | <b>Icatibant</b>        | Firazyr®            | Shire               | Jul 2008         | Jul. 2020                 | Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 128.300                    |
| <b>Apnoe bei Frühgeborenen, primäre</b>            | <b>Coffeincitrat</b>    | Peyona®             | Chiesi Farmaceutici | Jul 2009         | Jul. 2019                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt  | 43.500                     |
| <b>Barrett-Ösophagus, photodynamische Therapie</b> | <b>Porfimer natrium</b> | PhotoBarr®          | Pinnacle Biologics  | Mrz 2004         | Mai. 2012                 | Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen                        | 184.600                    |
| <b>Chronische Eisenüberladung</b>                  | <b>Deferasirox</b>      | Exjade®             | Novartis            | Aug 2006         | Aug. 2016                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt  | 138.400                    |

| <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>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 | <2.500                     |
| <b>Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome</b> | <b>Canakinumab</b> | Ilaris®             | Novartis            | Okt 2009         | Dez. 2010                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament im Markt                 | 2.500                      |
| <b>Dermatofibrosarcoma protuberans</b>            | <b>Imatinib</b>    | Glivec®             | Novartis            | Sep 2006         | Apr. 2012                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt          | 50.500                     |
| <b>Ductus arteriosus bei Frühgeborenen</b>        | <b>Ibuprofen</b>   | Pedea®              | Orphan Europe       | Jul 2004         | Jul. 2014                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                | 107.000                    |
| <b>Eierstockkrebs</b>                             | <b>Trabectedin</b> | Yondelis®           | Pharma Mar          | Okt 2009         | Okt. 2019                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                | 121.000                    |
| <b>Eierstockkrebs</b>                             | <b>Olaparib</b>    | Lynparza®           | AstraZeneca         | Dez 2014         | Mrz. 2018                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt          | 153.000                    |
| <b>Extravasation durch Anthracycline</b>          | <b>Dexrazoxan</b>  | Savene®             | Clinigen Healthcare | Jul 2006         | Jul. 2016                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt                | 1.490                      |

| <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>Familiäre adenomatöse Polyposis</b>                              | <b>Celecoxib</b>            | Onsenal®            | Pfizer            | Okt 2003         | Mrz. 2011                 | Marktrücknahme, da als Zulassungsaufgabe geforderte Daten nicht geliefert werden konnten | 15.000-51.000              |
| <b>Familiäre Lipoproteinlipasedefizienz mit Pankreatitisschüben</b> | <b>Alipogen tiparvovec</b>  | Glybera®            | uniQure biopharma | Okt 2012         | Okt. 2017                 | Keine Verlängerung der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen                            | 1.000                      |
| <b>Gallensäuresynthesestörung</b>                                   | <b>Cholsäure</b>            | Kolbam®             | Retrophin Europe  | Apr 2014         | Jul. 2020                 | Rückgabe der Zulassung durch Zulassungshaber   | 4.000                      |
| <b>Gastrointestinale Stromatumore</b>                               | <b>Imatinib</b>             | Glivec®             | Novartis          | Mai 2002         | Apr. 2012                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                  | 3.100                      |
| <b>Gastrointestinale Stromatumore</b>                               | <b>Sunitinib</b>            | Sutent®             | Pfizer            | Jul 2006         | Jul. 2008                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                  | 15.400                     |
| <b>Gliom, malignes</b>  | <b>5-Aminolaevulinsäure</b> | Gliolan®            | Medac             | Sep 2007         | Sep. 2017                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt                        | 51.200                     |
| <b>Haarzell-Leukämie</b>  | <b>Cladribin</b>            | Litak®              | Lipomed           | Apr 2004         | Apr. 2014                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                        | 182.000                    |



| <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>Homocystinurie</b>   | <b>Betain</b>       | Cystadane®          | Orphan Europe   | Feb 2007         | Feb. 2017                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 8.300                      |
| <b>Hyperammonämie wegen primären N-acetylglutamat Synthesemangels</b> | <b>Carglumsäure</b> | Carbaglu®           | Orphan Europe   | Jan 2003         | Jan. 2013                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt | 80                         |
| <b>Hypereosinophiles Syndrom / Chronische eosinophile Leukämie</b>    | <b>Imatinib</b>     | Glivec®             | Novartis        | Nov 2006         | Apr. 2012                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                | 50.500                     |
| <b>Idiopathische thrombozytopenische Purpura</b>                      | <b>Eltrombopag</b>  | Revolade®           | Novartis        | Mrz 2010         | Dez. 2011                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament im Markt                       | 125.000                    |
| <b>Idiopathische thrombozytopenische Purpura</b>                      | <b>Romiplostim</b>  | Nplate®             | Amgen           | Feb 2009         | Feb. 2019                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt                      | 50.000                     |
| <b>Lambert-Eaton-Myasthenisches Syndrom</b>                           | <b>Amifampridin</b> | Firdapse®           | BioMarin Europe | Dez 2009         | Dez. 2019                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 5.300                      |
| <b>Leberzellkrebs</b>   | <b>Sorafenib</b>    | Nexavar®            | Bayer           | Okt 2007         | Okt. 2017                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt | 51.000                     |

| <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>Lennox-Gastaut-Syndrom</b>           | <b>Rufinamid</b>               | Inovelon®           | Eisai                | Jan 2007         | Jan. 2019                 | Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status;<br>Medikament weiter im Markt      | 51.000-102.000             |
| <b>Leukämie, akute lymphatische</b>     | <b>Clofarabin</b>              | Evoltra®            | Genzyme              | Mai 2006         | Jun. 2016                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status;<br>Medikament weiter im Markt       | 20.500                     |
| <b>Leukämie, akute lymphatische</b>     | <b>Imatinib</b>                | Glivec®             | Novartis             | Sep 2006         | Apr. 2012                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status;<br>Medikament weiter im Markt | 25.000                     |
| <b>Leukämie, akute lymphatische</b>     | <b>Dasatinib</b>               | Sprycel®            | Bristol-Myers Squibb | Nov 2006         | Nov. 2016                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status;<br>Medikament weiter im Markt       | 36.700                     |
| <b>Leukämie, akute myeloische</b>       | <b>Histamin dihydrochlorid</b> | Ceplene®            | Noventia             | Okt 2008         | Okt. 2018                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status,<br>Medikament weiter im Markt       | 34.000                     |
| <b>Leukämie, akute myeloische</b>       | <b>Azacitidin</b>              | Vidaza®             | Celgene              | Dez 2008         | Dez. 2018                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status,<br>Medikament weiter im Markt       | 101.000                    |
| <b>Leukämie, chronisch lymphatische</b> | <b>Venetoclax</b>              | Venclyxto®          | AbbVie               | Dez 2016         | Okt. 2018                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status;<br>Medikament weiter im Markt | 250.000                    |

| <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 lymphatische</b>                  | <b>Ofatumumab</b> | Arzerra®            | Novartis             | Apr 2010         | Feb. 2019                 | Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen  | 176.000                    |
| <b>Leukämie, chronisch myeloische</b>                    | <b>Imatinib</b>   | Glivec®             | Novartis             | Nov 2001         | Nov. 2011                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 46.200                     |
| <b>Leukämie, chronisch myeloische</b>                    | <b>Nilotinib</b>  | Tasigna®            | Novartis             | Nov 2007         | Nov. 2019                 | Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                     | 51.000                     |
| <b>Leukämie, chronisch myeloische</b>                    | <b>Dasatinib</b>  | Sprycel®            | Bristol-Myers Squibb | Nov 2006         | Nov. 2016                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 45.000                     |
| <b>Leukämie, chronisch myeloische</b>                    | <b>Bosutinib</b>  | Bosulif®            | Pfizer               | Mrz 2013         | Mrz. 2018                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                | 81.000                     |
| <b>Lungenfibrose, idiopathische</b>                      | <b>Nintedanib</b> | Ofev®               | Boehringer Ingelheim | Jan 2015         | Mai. 2020                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament im Markt                       | 153.000                    |
| <b>Lungenhochdruck (pulmonale arterielle Hypertonie)</b> | <b>Bosentan</b>   | Tracleer®           | Janssen-Cilag        | Mai 2002         | Mai. 2012                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt | 110.000                    |

| <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 (pulmonale arterielle Hypertonie)</b> | <b>Sitaxentan</b>   | Thelin®             | Pfizer           | Aug 2006         | Jan. 2011                 | Marktrücknahme wegen möglicher Leberschäden                             | 95.000                     |
| <b>Lungenhochdruck (pulmonale arterielle Hypertonie)</b> | <b>Sildenafil</b>   | Revatio®            | Pfizer           | Okt 2005         | Nov. 2015                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt       | 51.200                     |
| <b>Lungenhochdruck (pulmonale arterielle Hypertonie)</b> | <b>Iloprost</b>     | Ventavis®           | Bayer            | Sep 2003         | Sep. 2013                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt       | 112.000                    |
| <b>Lungenhochdruck, pulmonale arterielle Hypertonie</b>  | <b>Ambrisentan</b>  | Volibris®           | GlaxoSmith Kline | Apr 2008         | Apr. 2018                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt       | 103.000                    |
| <b>Magenkrebs</b>  | <b>Ramucirumab</b>  | Cyramza®            | Lilly            | Dez 2014         | Dez. 2015                 | Ausweitung der Indikation   | 204.000                    |
| <b>Mantelzell-Lymphom</b>                                | <b>Lenalidomid</b>  | Revlimid®           | Celgene          | Jul 2016         | Dez. 2019                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament im Markt        | 31.000                     |
| <b>Mantelzell-Lymphom</b>                                | <b>Temsirolimus</b> | Torisel®            | Pfizer           | Aug 2009         | Aug. 2019                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt       | 20.000                     |
| <b>Merkelzellkarzinom</b>                                | <b>Avelumab</b>     | Bavencio®           | Merck            | Sep 2017         | Okt. 2019                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 21.000                     |

| <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 Fabry</b>                                 | <b>Agalsidase beta</b>     | Fabrazyme®          | Genzyme       | Aug 2001         | Aug. 2011                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 1.500                      |
| <b>Morbus Fabry</b>                                 | <b>Agalsidase alfa</b>     | Replagal®           | Shire         | Aug 2001         | Aug. 2011                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 1.500                      |
| <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 weiter im Markt | 30.000                     |
| <b>Morbus Pompe</b>                                 | <b>Alglucosidase alfa</b>  | Myozyme®            | Genzyme       | Mrz 2006         | Mrz. 2016                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 6.850                      |
| <b>Morbus Wilson</b>                                | <b>Zinkacetat dihydrat</b> | Wilzin®             | Orphan Europe | Okt 2004         | Okt. 2014                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 30.000                     |
| <b>Mukopolysaccharidose Typ I</b>                   | <b>Laronidase</b>          | Aldurazyme®         | Genzyme       | Jun 2003         | Jun. 2013                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 1.250                      |
| <b>Mukopolysaccharidose Typ II (Hunter Syndrom)</b> | <b>Idursulfase</b>         | Elaprase®           | Shire         | Jan 2007         | Jan. 2017                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 1.000                      |

| <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>Mukopolysaccharidose Typ VI</b>                          | <b>Galsulfase</b>     | Naglazyme®          | BioMarin Europe | Jan 2006         | Jan. 2016                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 840                        |
| <b>Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung</b>           | <b>Aztreonamlysin</b> | Cayston®            | Gilead          | Sep 2009         | Okt. 2019                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 65.000                     |
| <b>Multiples Myelom</b>                                     | <b>Lenalidomid</b>    | Revlimid®           | Celgene         | Jun 2007         | Jun. 2017                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt | 65.000                     |
| <b>Multiples Myelom</b>                                     | <b>Thalidomid</b>     | Thalidomide Ce      | Celgene         | Apr 2008         | Apr. 2018                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 61.100                     |
| <b>Myelodysplastische / Myeloproliferative Erkrankungen</b> | <b>Imatinib</b>       | Glivec®             | Novartis        | Nov 2006         | Apr. 2012                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                | 81.000                     |
| <b>Myelodysplastisches Syndrom</b>                          | <b>Azacitidin</b>     | Vidaza®             | Celgene         | Dez 2008         | Dez. 2018                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt                      | 56.500-154.000             |
| <b>Myelodysplastisches Syndrom</b>                          | <b>Lenalidomid</b>    | Revlimid®           | Celgene         | Jun 2013         | Dez. 2019                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament im Markt                       | 153.000                    |

| <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>Myelofibrose</b>                              | <b>Ruxolitinib</b>   | Jakavi®             | Novartis               | Aug 2012         | Feb. 2015                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament im Markt                       | 500                        |
| <b>Myoklonische Epilepsie / Dravet's Syndrom</b> | <b>Stiripentol</b>   | Diacomit®           | Biocodex               | Jan 2007         | Jan. 2017                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 20.000                     |
| <b>Narkolepsie mit Kataplexie</b>                | <b>Natriumoxybat</b> | Xyrem®              | UCB                    | Okt 2005         | Jan. 2010                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                |                            |
| <b>Nebennierenrindenkarzinom</b>                 | <b>Mitotan</b>       | Lysodren®           | Laboratoire HRA Pharma | Apr 2004         | Apr. 2014                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 5.350                      |
| <b>Neuroblastom (Hochrisiko)</b>                 | <b>Dinutuximab</b>   | Unituxin®           | United Therapeutics    | Aug 2015         | Mrz. 2017                 | Rückgabe der Zulassung durch Zulassungsinhaber   | 56.000                     |
| <b>Niemann-Pick Typ C</b>                        | <b>Miglustat</b>     | Zavesca®            | Janssen-Cilag          | Jan 2009         | Jan. 2019                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 5.000                      |
| <b>Nierenzellkrebs</b>                           | <b>Temsirolimus</b>  | Torisel®            | Pfizer                 | Nov 2007         | Nov. 2017                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt | 179.200                    |

| <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>Nierenzellkrebs</b>                        | <b>Sunitinib</b>            | Sutent®             | Pfizer       | Jul 2006         | Jul. 2008                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                | 179.500                    |
| <b>Nierenzellkrebs</b>                        | <b>Sorafenib</b>            | Nexavar®            | Bayer        | Jul 2006         | Jul. 2016                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt | 154.300                    |
| <b>Nierenzellkrebs</b>                        | <b>Everolimus</b>           | Afinitor®           | Novartis     | Aug 2009         | Jul. 2011                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                | 201.000                    |
| <b>Osteosarkom</b>                            | <b>Mifamurtid</b>           | Mepact®             | Takeda       | Mrz 2009         | Mrz. 2019                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 25.300                     |
| <b>Ovarial-, Eileiter, Peritonealkarzinom</b> | <b>Rucaparib</b>            | Rubraca®            | Clovis       | Mai 2018         | Dez. 2018                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status, Medikament weiter im Markt                | 241.000                    |
| <b>Parkinson</b>                              | <b>Levodopa / Carbidopa</b> | Duodopa® Gel        | AbbVie       | Jun 2004         | Nov. 2014                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                      | 120.000                    |
| <b>Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie</b>  | <b>Eculizumab</b>           | Soliris®            | Alexion      | Jun 2007         | Jun. 2019                 | Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                     | 5.000                      |



| <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>Primärer IGF-1-Mangel</b>   | <b>Mecasermin</b>              | Increlex®           | Ipsen Pharma  | Aug 2007         | Aug. 2017                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                                 | 100.800                    |
| <b>Promyelozyten-Leukämie, akute</b>   | <b>Arsentrioxid</b>            | Trisenox®           | Teva          | Mrz 2002         | Mrz. 2012                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt.                                | 41.000                     |
| <b>Schilddrüsenkrebs</b>   | <b>Lenvatinib</b>              | Lenvima®            | Eisai         | Mai 2015         | Aug. 2018                 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                           | 154.000                    |
| <b>Schmerzen, schwer, chronisch</b>  | <b>Ziconotid</b>               | Prialt®             | Riemser       | Feb 2005         | Feb. 2015                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                                 | 77.500                     |
| <b>Sichelzellanämie</b>  | <b>Hydroxycarbamid</b>         | Siklos®             | Addmedica     | Jun 2007         | Jul. 2017                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt                                 | 29.500                     |
| <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 | 66.000                     |
| <b>Stammzelltransplantation, hämatopoetisch, haploidentisch, Begleittherapie</b> | <b>Nalotimagen carmaleucel</b> | Zalmoxis®           | MolMed        | Aug 2016         | Okt. 2019                 | Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen   | 16.000                     |

| <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, Vorbereitung</b>                       | <b>Thiotepa</b>    | Tepadina®           | Adienne                  | Mrz 2010         | Mrz. 2020                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiter im Markt | 31.200                     |
| <b>Stammzelltransplantation, hämatopoetische, Vorbereitung</b>                       | <b>Busulfan</b>    | Busilvex®           | Pierre                   | Jul 2003         | Jul. 2013                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt      | 30.700                     |
| <b>Thrombozythämie</b>   | <b>Anagrelid</b>   | Xagrid®             | Shire                    | Nov 2004         | Nov. 2016                 | Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt     | 126.000                    |
| <b>Tyrosinämie Typ I</b>   | <b>Nitisinon</b>   | Orfadin®            | Swedish Orphan Biovitrum | Feb 2005         | Feb. 2015                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt      | 5.000                      |
| <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 weiter im Markt      | 56.000                     |
| <b>Viszerale Leishmaniose</b>  | <b>Miltefosin</b>  | Impavido®           | Paladin Labs             | Dez 2004         | Dez. 2014                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt      | 4.500                      |
| <b>Weichteilsarkom</b>   | <b>Trabectedin</b> | Yondelis®           | Pharma Mar               | Sep 2007         | Sep. 2017                 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt      | 31.000                     |