

Orphan-Arzneimittel nach Indikationen

Gemäß der Verordnung (EG) 141/2000 zu Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten zugelassene Präparate: **148**

Derzeit sind in der Europäischen Union die in der nachfolgenden Tabelle genannten 148 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	Fondazione Thelethon	1.800
Aderhautmelanom Krebs, der die Uvea/Aderhaut des Auges betrifft	Tebentafusp	Kimtrak®	Apr 2022	Immunocore	4.000
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
Akanthamöben-Keratitis Hornhautentzündung durch Amöben-Infektion	Polihexanid	Akantior®	Aug 2024	SIFI	4500

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

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
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	Axicabtagen Ciloleucel	Yescarta®	Aug 2018	Gilead	205.000
B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL) Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Polatuzumab Vedotin	Polivy®	Jan 2020	Roche	200.000
B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL) Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Tisagen Leclucel	Kymriah®	Aug 2018	Novartis	205.000
B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL) Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Glofitamab	Columvi®	Jul 2023	Roche	205.000
B-Zell-Lymphom, primär, mediastinal, groß (PMLBCL) Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen, die sich häufig im Brustraum ansammeln	Axicabtagen Ciloleucel	Yescarta®	Aug 2018	Gilead	22.000
C3-Glomerulopathie Protein C3 des Immunsystems sammelt sich in der Niere	Iptacopan	Fabhalta®	Mrz 2025	Novartis	53.500
Candidiasis, invasiv Pilzinfektion	Rezafungin	Rezzayo®	Dez 2023	Mundipharma	53.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Cholangiokarzinom Krebs des Gallengangs	Ivosidenib	Tibsovo®	Mai 2023	Laboratoires Servier	58.000
Cholangiokarzinom Krebs im Gallengang	Pemigatinib	Pemazyre®	Mrz 2021	Incyte Biosciences	67.000
Cholangitis, primär biliäre entzündliche Veränderung der Gallenwege, Autoimmunerkrankung	Elafibranor	Iqirvo®	Sep 2024	Ipsen Pharma	21.800
Cholangitis, primäre biliäre Schädigung der Gallengänge	Seladelpar	Seladelpar Gilead®	Feb 2025	Gilead	174.000
Cholestase, progressive familiäre intrahepatische gestörter Transport von Gallenflüssigkeit mit daraus folgender Leberschädigung	Odevixibat	Bylvay®	Jul 2021	Ipsen Pharma	1.300
Cholestase, progressive familiäre intrahepatische Stau von Gallenflüssigkeit in den Gallengängen	Maralixibat	Livmarli®	Jun 2024	Mirum	2.700
Cholestatischer Pruritus bei Alagille Syndrom Ansammlung von Gallensäure in der Leber, die Leberschäden und Juckreiz verursacht	Maralixibat	Livmarli®	Dez 2022	Mirum	13.400
Cushing Syndrom durch Tumor der Hypophyse verursachte stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut	Osilodrostat	Isturisa®	Jan 2020	Novartis	31.000
Cystinablagerungen in der Hornhaut Überschüssiges Cystin wird nicht abgebaut	Mercaptamin	Cystadrops®	Jan 2017	Recordati	4.300
Cytomegalievirus(CMV)-Infektion und/oder -Erkrankung Infektion, die bei immungeschwächten Personen zu Organschäden führen kann	Maribavir	Livtency®	Nov 2022	Takeda	44.600

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Cytomegalievirus-Reaktivierung oder - Erkrankung (Prophylaxe) bei Empfängern einer allogenen hämatopoetischen Stammzelltransplantation	Letermovir	Prevymis®	Jan 2018	MSD Sharp & Dohme	168.000
Diabetes mellitus, neonataler	Glibenclamid	Amglidia®	Mai 2018	AMMTek	850
Dravet Syndrom Form der Epilepsie	Cannabidiol	Epidyolex®	Sep 2019	Jazz Pharmaceuticals	22.500
Dravet Syndrom Form der Epilepsie	Fenfluramin	Fintepla®	Dez 2020	UCB	20.000
Duchenne Muskeldystrophie Muskelschwund wegen Dystrophinmangel	Vamorolon	Agamree®	Dez 2023	Santhera	35.700
Eierstock-, Eileiter, Peritonealkarzinom Eierstockkrebs	Mirvetuximab Soravtansin	Elahere®	Nov 2024	AbbVie	25.200
Eierstockkrebs Tumore, die in den Eierstöcken beginnen und sich auf umliegendes Gewebe ausbreiten	Niraparib	Zejula®	Nov 2017	Tesaro	190.000
Epidermolysis bullosa, Behandlung von Hautwunden genetische Hauterkrankung, bei der sich einzelne Hautschichten voneinander trennen	Birkenrindenextrakt	Filsuvez®	Jun 2022	Chiesi Farmaceutici	27.000
epileptische Anfälle durch CDKL5-Mangel CDKL5-Mangel, verursacht durch Mutationen im Cyclin-abhängigen Kinase-ähnlichen 5 (CDKL5) Gen	Ganaxolon	Ztalmy®	Jul 2023	Marinus	26.750
Epstein-Barr-Virus positive Posttransplantations-proliferative Erkrankung Krebserkrankung durch die immunsuppressive Therapie nach Transplantation	Tabelecleucel	Ebvallo®	Dez 2022	Pierre Fabre	71.400

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
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	Chiesi Farmaceutici	1.300
Familiäres Chylomikronämie Syndrom angeborene sehr hohe Triglycerid-Spiegel und Ablagerung von Triglyceriden an Organen	Volanesorsen	Waylivra®	Mai 2019	Akcea	4.300
Faziale Angiofibrome aufgrund tuberöser Sklerose gutartige Tumore im Gesicht	Sirolimus	Hyftor®	Mai 2023	Plusultra	44.600
Follikuläres Lymphom übermäßige Vermehrung von B-Zellen und deren Ansammlung in Lymphknoten	Mosunetuzumab	Lunsumio®	Jun 2022	Roche	214.000
Follikuläres Lymphom übermäßige Vermehrung von B-Zellen und deren Ansammlung in Lymphknoten	Tisagen Lecleucel	Kymriah®	Mai 2022	Novartis	219.000
Follikuläres Lymphom übermäßige Vermehrung von B-Zellen und deren Ansammlung in Lymphknoten	Obinutuzumab	Gazyvaro®	Jun 2016	Roche	178.000
Follikuläres Lymphom übermäßige Vermehrung von B-Zellen und deren Ansammlung in Lymphknoten	Axicabtagen Ciloleucel	Yescarta®	Jun 2022	Gilead	218.000
Friedreichs Ataxie fortschreitende Bewegungskordinationsstörungen durch Gewebeverhärtungen im Rückenmark und Gehirn	Omaveloxolon	Skyclarys®	Feb 2024	Biogen	22.300
Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore (Behandlung) Tumor der neuroendokrinen Zellen in Pankreas und Darm	Lutetium (177Lu) Oxodotreotid	Lutathera®	Sep 2017	Advanced Accelerator Applications	71.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
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	Ayvakyat®	Sep 2020	Blueprint Medicines	130.000
Gliom, niedrig- und hochgradig maligne Hirntumor	Trametinib	Spexotras®	Jan 2024	Novartis	116.000
Gliome, hoch- oder niedriggradig maligne Hirntumor	Dabrafenib	Finlee®	Nov 2023	Novartis	115.000
Granulomatose mit Polyangiitis Entzündung von Blutgefäßen, die zu deren Absterben führt	Avacopan	Tavneos®	Jan 2022	Vifor Pharma	72.000
Hämophilie A Blutgerinnungsstörung; Mangel an Blutgerinnungsfaktor VIII	Efanesoctocog alfa	Altuvoct®	Jun 2024	Swedish Orphan Biovitrum	35.700
Hämophilie A Faktor VIII-Mangel, Blutgerinnungsstörung	Valoctocogen Roxaparvovec	Roctavian®	Aug 2022	BioMarin Europe	35.700
Hämophilie B Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	Eftrenonacog alpha	Alprolix®	Mai 2016	Swedish Orphan Biovitrum	8.500
Hämophilie B Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	Albutrepenonacog	Idelvion®	Mai 2016	CSL Behring	8.500
Hämophilie B Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	Etranacogen Dezaparvovec	Hemgenix®	Feb 2023	CSL Behring	8.900
Harnstoffzyklusstörung Harnstoffzyklusstörung aufgrund verschiedener Enzymmangelerkrankungen	Glycerolphénylbutyrat	Ravicti®	Nov 2015	Immedica	53.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Hepatitis D Leberentzündung; immer zusammen mit Hepatitis B	Bulevirtid	Hepcludex®	Jul 2020	Gilead	177.000
Hutchinson-Gilford-Progerie frühzeitige, sehr schnelle Alterung	Lonafarnib	Zokinvy®	Jul 2022	The Medicines Company	450
Hyperargininämie Arginase 1-Mangel	Pegzilarginase	Loargys®	Dez 2023	Immedica	850
Hypoparathyreoidismus Unterfunktion der Nebenschilddrüse	Parathyroidhormon (rekombinant)	Natpar®	Apr 2017	Shire	155.000
Hypoparathyreoidismus Unterfunktion der Nebenschilddrüse	Palopegteriparatid	Yorvipath®	Nov 2023	Ascendis	130.000
Hypophosphatämie mit Osteomalazie i.V.m. phosphaturischen mesenchymalen Tumoren Tumor-assoziierte Demineralisierung der Knochen	Burosumab	Crysvita®	Jul 2022	Kyowa Kirin	450
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
Immunglobulin A-Nephropathie, primäre Ansammlung von fehlerhaftem Immunglobulin A in der Niere	Budesonid	Kinpeygo®	Jul 2022	Stada	178.500
Kälteagglutinin-Krankheit Immunsystem zerstört die roten Blutkörperchen	Sutimlimab	Enjaymo®	Nov 2022	Recordati	116.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Karzinoid-Syndrom Krebs in Hormon-produzierenden Zellen	Telotristat	Xermelo®	Sep 2017	Ipsen Pharma	31.000
Keratitis, neurotrophe degenerative Erkrankung der Hornhaut des Auges	Cenegermin	Oxervate®	Jul 2017	Dompé	185.500
Keratokonjunktivitis, vernalis chronische schwere allergische Entzündung des Augenlids	Ciclosporin	Verkazia®	Jul 2018	Santer Oy	142.000
Krampfanfälle im Zusammenhang mit Tuberöser Sklerose Bildung von Tumoren und Wucherungen in Organen und Geweben	Cannabidiol	Epidyolex®	Apr 2021	Jazz Pharmaceuticals	45.000
Lawrence-Syndrom atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	Metreleptin	Myalepta®	Jul 2018	Chiesi Farmaceutici	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
Leichtketten-(AL)-Amyloidose, systemisch Ansammlung eines fehlgefalteten Proteins im Körper	Daratumumab	Darzalex®	Jan 2021	Janssen	10.250
Lennox-Gastaut-Syndrom schwere Form der Epilepsie (bei Kindern)	Fenfluramin	Fintepla®	Jan 2022	UCB	89.000
Lennox-Gastaut-Syndrom schwere Form der Epilepsie (bei Kindern)	Cannabidiol	Epidyolex®	Sep 2019	Jazz Pharmaceuticals	89.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Leukämie, akute lymphatische akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs)	Blinatumomab	Blinicyto®	Nov 2015	Amgen	79.500
Leukämie, akute lymphatische Krebs der B-Zell-Vorläufer	Brexucabtagen Autoleucel	Tecartus®	Sep 2022	Kite	62.000
Leukämie, akute lymphatische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Tisagen Leclucel	Kymriah®	Aug 2018	Novartis	53.500
Leukämie, akute lymphatische akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs)	Inotuzumab Ozogamicin	Besponsa®	Jun 2017	Pfizer	17.000
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Gilteritinib	Xospata®	Okt 2019	Astellas	62.000
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Glasdegib	Daurismo®	Jun 2020	Pfizer	58.000
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Daunorubicin / Cytarabin	Vyxeos Liposomal®	Aug 2018	Jazz Pharmaceuticals	44.000
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs (Myeloblastenüberproduktion)	Gemtuzumab Ozogamicin	Mylotarg®	Apr 2018	Pfizer	44.000
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion); mit FLT3-Mutation	Midostaurin	Rydapt®	Sep 2017	Novartis	30.500
Leukämie, akute myeloische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Ivosidenib	Tibsovo®	Mai 2023	Laboratoires Servier	49.000
Leukämie, chronisch myeloische Blutkrebs mit verkürztem Chromosom 22	Asciminib	Scemblix®	Aug 2022	Novartis	62.500

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Lungenhochdruck, arterieller Bluthochdruck in den Lungenarterien	Sotatercept	Winrevair®	Aug 2024	MSD Sharp & Dohme	62.500
Lungenhochdruck, chronisch thromboembolischer chronisch-thromboembolischer Bluthochdruck in der Lunge	Treprostinil Natrium	Trepulmix®	Apr 2020	SciPharm	45.000
Lungenkrebs, kleinzellig, fortgeschritten Krebs der endokrinen Zellen in der Lungenschleimhaut	Serplulimab	Hetronifly®	Feb 2025	Accord	1.200
Lysosomaler saurer Lipase-Mangel Enzymmangel-Erkrankung	Sebelipase alfa	Kanuma®	Aug 2015	Alexion	8.500
Magenkrebs Krebs im Magen und am Übergang zur Speiseröhre	Zolbetuximab	Vyloy®	Sep 2024	Astellas	25.000
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)	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
Mastozytose, fortgeschritten systemisch Anhäufung von Mastzellen in Haut und Organen	Avapritinib	Ayvakyt®	Mrz 2022	Blueprint Medicines	134000
Merkelzellkarzinom Hautkrebs, der in den Merkelzellen beginnt	Retifanlimab	Zynyz®	Apr 2024	Incyte Biosciences	17.500
Metachromatische Leukodystrophie durch Enzymmangel verursachte toxische Anlagerung von Fetten an Nervenzellen	Atidarsagen Autotemcel	Libmeldy®	Dez 2020	Orchard Therapeutics	400

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Molybdän-Cofaktor Mangel Typ A Enzymausfall, weil ohne den Cofaktor Enzymproduktion unmöglich	Fosdenopterin	Nulibry®	Sep 2022	TMC	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
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 im CTFR-Gen vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports	Ivacaftor / Tezacaftor / Elexacaftor	Kaftrio®	Aug 2020	Vertex	45.000
Mukoviszidose mit bestimmten Mutationen im CTFR-Gen vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports	Tezacaftor / Ivacaftor	Symkevi®	Okt 2018	Vertex	41.500
Multiple Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Idecabtagen Vicleucel	Abecma®	Aug 2021	Bristol Myers Squibb	205.000
Multiple Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Ciltacabtagene Autoleucel	Carvykti®	Mai 2022	Janssen	205.000
Multiple Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Ixazomib	Ninlaro®	Nov 2016	Takeda	177.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
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	Panobinostat	Farydak®	Aug 2015	zr pharma	146.000
Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Talquetamab	Talvey®	Aug 2023	Janssen	192.000
Myasthenia gravis Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden	Efgartigimod alpha	Vyvgart®	Aug 2022	argenx	88.900
Myasthenia gravis Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden	Eculizumab	Soliris®	Aug 2017	Alexion	165.000
Myasthenia gravis, generalisiert Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden	Rozanolixizumab	Rystiggo®	Jan 2024	UCB	89.000
Mycosis fungoides oder Sézarny Syndrom beides sind kutane T-Zell-Lymphome	Mogamulizumab	Poteligeo®	Nov 2018	Kyowa Kirin	116.000
Myelodysplastisches Syndrom mit Transfusionsabhängiger Anämie Erkrankung der blutbildenden Stammzellen im Knochenmark	Imetelstat	Rytelo®	Mrz 2025	Geron	89.400
Myelodysplastisches Syndrom-bedingte Anämie Erkrankung der blutbildenden Stammzellen im Knochenmark	Luspatercept	Reblozyl®	Jun 2020	Bristol Myers Squibb	89.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Myelofibrose, sekundär, post-Polycythaemia vera krankhafte Veränderung des Knochenmarks nach einer Polycythaemia vera	Fedratinib	Inrebic®	Feb 2021	Bristol Myers Squibb	7.000
Myelofibrose, primär krankhafte Veränderung des Knochenmarks	Momelotinib	Omjjara®	Jan 2024	GlaxoSmithKline	13.400
Myelofibrose, primär krankhafte Veränderung des Knochenmarks	Fedratinib	Inrebic®	Feb 2021	Bristol Myers Squibb	13.000
Myelofibrose, sekundär, post-essentielle Thrombozythämie krankhafte Veränderung des Knochenmarks	Momelotinib	Omjjara®	Jan 2024	GlaxoSmithKline	6.700
Myelofibrose, sekundär, post-essenzielle Thrombozythämie krankhafte Veränderung des Knochenmarks nach essenzieller Thrombozythämie	Fedratinib	Inrebic®	Feb 2021	Bristol Myers Squibb	7.000
Myelofibrose, sekundär, post-Polycythaemia vera krankhafte Veränderung des Knochenmarks	Momelotinib	Omjjara®	Jan 2024	GlaxoSmithKline	6.700
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
Neuroblastom (Hochrisiko) solider Tumor der Nervenzellen; häufig im Bauch oder an der Wirbelsäule	Dinutuximab beta	Qarziba®	Mai 2017	Eusa Pharma	44.000
Neurofibromatose 1 (plexiforme Neurofibrome) gut- und bösartige Tumore der Haut und der Nerven	Selumetinib	Koselugo®	Jun 2021	AstraZeneca	134.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen Entzündungserkrankungen, die vor allem Sehnerv und Rückenmark betreffen und schädigen	Satralizumab	Enspryng®	Jun 2021	Roche	18.000
Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen entzündliche Autoimmunerkrankungen, die v.a. Sehnerv, Rückenmark oder Hirnstamm betreffen	Eculizumab	Soliris®	Aug 2019	Alexion	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
Niemann Pick Typ A, B Lysosomale Speichererkrankung durch Mangel an saurer Sphingomyelinase	Olipudase alpha	Xenpozyme®	Jun 2022	Genzyme	4.500
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	Iptacopan	Fabhalta®	Mai 2024	Novartis	9.000
Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen	Danicopan	Voydeya®	Apr 2024	Alexion	9.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen	Pegcetacoplan	Aspaveli®	Dez 2021	Swedish Orphan Biovitrum	17.500
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 Porphyhrins 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
Primäre IgA Nephropathie Entzündung der Nierenkörperchen durch Ablagerungen, die durch fehlerhaftes IgA ausgelöst werden	Sparsentan	Filspari®	Apr 2024	Vifor Pharma	178.000
Pyruvat-Kinase-Mangel Enzymmangel, der zu stark funktionseingeschränkten Blutzellen führt	Mitapivat	Pyrukynd®	Nov 2022	Agios	22.300
Retinits pigmentosa ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut	Voretigen Neparvovec	Luxturna®	Nov 2018	Novartis	132.000
Sichelzellkrankheit fehlerhafte rote Blutkörperchen transportieren keinen Sauerstoff	Exagamglogen Autotemcel	Casgevy®	Feb 2024	Vertex	58.000
Spinale Muskelatrophie Erkrankung der Motorneuronen durch Mangel an Survival Motorneuron-Protein (SMN)	Nusinersen	Spinraza®	Mai 2017	Biogen	18.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Spinale Muskelatrophie Typ 1 Muskelabbau durch fehlendes bzw. nicht ausreichend produziertes SMN-Protein	Onasemnogen Abeparvovec	Zolgensma®	Mai 2020	Novartis	18.000
Stammzelltransplantation; hämatopoetische (Konditionierungstherapie) Vorbereitung der Stammzelltransplantation bei verschiedenen Krebskrankungen	Treosulfan	Trecondi®	Jun 2019	Medac	31.000
Thrombotische thrombozytopenische Purpura, erworbene Blutgerinnungsstörung	Caplacizumab	Cablivi®	Aug 2018	Ablynx	112.000
Thrombotische thrombozytopenische Purpura, kongenital Bildung kleiner Blutgerinnsel im ganzen Körper durch Enzymmangel	rADAMTS13	Adzynma®	Aug 2024	Takeda	98.000
Thyreotoxikose bei Allan-Hernon-Dudley- Syndrom Gendefektbedingte Störung des Transports eines Schilddrüsenhormons in Nervenzellen	Tiratricol	Emcitate®	Feb 2025	Rare Thyroid Therapeutics	430
Toxische Methotrexat- Plasmakonzentrationen Verhinderung toxischer Auswirkungen bei Patienten mit verzögerter Methotrexat- Ausscheidung	Glucarpidase	Voraxaze®	Jan 2022	SERB S.A.	133.000
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 Ansammlung von fehlgefaltetem Transthyretin in Organen	Vutrisiran	Amvuttra®	Sep 2022	Alnylam	80.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Erkrankte in der EU
Transthyretin-Amyloidose, ererbte oder Wildtyp Ansammlung von fehlgefaltetem Transthyretin in Organen	Tafamidis	Vyndaquel®	Feb 2020	Pfizer	134.000
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 (Typ Mycosis fungoides) Krebs des Lymphsystems; Überproduktion von T-Zellen (weiße Blutkörperchen)	Chlormethin	Ledaga®	Mrz 2017	Helsinn-Birex	114.000
Verhinderung der Abstoßung von Nierentransplantaten	Imlifidase	Idefirix®	Aug 2020	Hansa Biopharma	31.000
Wachstumstörungen unzureichende Ausschüttung von Wachstumshormon	Somatrogon	Ngenla®	Feb 2022	Pfizer	205.000
Wachstumstörungen Mangel an Wachstumshormonen	Lonapegsomatropin	Skytrofa® (früher: Lonap	Jan 2022	Ascendis	218.500
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	Pasireotid	Signifor®	Novartis	Nov 2014	Nov. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	88.000
Akromegalie	Pegvisomant	Somavert®	Pfizer	Nov 2002	Nov. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	27.000
Akromegalie, Erhaltungstherapie	Octreotid	Mycapssa®	Amryt	Dez 2022	Mrz. 2025	Zulassungsrücknahme	89.000
Angioödem, hereditäres; Behandlung akuter Attacken	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

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Atypisches Hämolytisch-Urämisches Syndrom (aHUS)	Eculizumab	Soliris®	Alexion	Nov 2011	Nov. 2023	Ablauf des zwölfjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.300
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
B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL)	Epcoritamab	Tepkinly®	AbbVie	Sep 2023	Jul. 2024	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	192.000
Castleman-Krankheit	Siltuximab	Sylvant®	Janssen-Cilag	Mai 2014	Mai. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Cholangitis, primäre biliäre	Obeticholsäure	Ocaliva®	Intercept	Dez 2016	Aug. 2024	Rücknahme der Zulassung, weil neue Studiendaten Wirksamkeit nicht belegen konnten	172.500
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

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome	Canakinumab	Ilaris®	Novartis	Okt 2009	Dez. 2010	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	2.200
Cushing Syndrom	Ketoconazol	Ketoconazole E	Esteve	Nov 2014	Nov. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	40.000
Dermatofibrosarcoma protuberans	Imatinib	Glivec®	Novartis	Sep 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500
Duchenne Muskeldystrophie	Ataluren	Translarna®	PTC Therapeutics	Jul 2014	Aug. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	17.000
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®	zr pharma	Mai 2018	Dez. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status vor Erscheinen des OMAR, in dem COMP um weitere Daten hins. Significant benefit gebeten hat	208.000

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	Erweiterung der Indikation auf nicht-seltene Erkrankung	132.000
Eisenüberladung, chronisch	Deferasirox	Exjade®	Novartis	Aug 2006	Aug. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	119.000
Erythroetische Protoporphyrinurie, Phototoxizität	Afamelanotid	Scenesse®	Clinuvel	Dez 2014	Dez. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	8.500
Extravasation durch Anthracycline	Dexrazoxan	Savene®	CNX Therapeutics	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 tiparvec	Glybera®	uniQure biopharma	Okt 2012	Okt. 2017	Rückgabe der Zulassung (keine Verlängerung) aus wirtschaftlichen Gründen	850

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Gallensäuresynthesestörung	Cholsäure	Orphacol®	Laboratoires CTRS	Sep 2013	Sep. 2023	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	3.500
Gallensäuresynthesestörung	Cholsäure	Kolbam®	Retrophin Europe	Apr 2014	Jul. 2020	Rückgabe der Zulassung durch Zulassungshinhaber	3.500
Gastrointestinale Stromatumore	Imatinib	Glivec®	Novartis	Mai 2002	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	2.500
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
Hodgkin Lymphom	Brentuximab Vedotin	Adcetris®	Takeda	Okt 2012	Jun. 2024	wirtschaftliche Gründe	44.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
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
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	Romiplostim	Nplate®	Amgen	Feb 2009	Feb. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	43.000
Idiopathische thrombozytopenische Purpura	Eltrombopag	Revolade®	Novartis	Mrz 2010	Dez. 2011	Verzicht des Sponsors auf den 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

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Kurzdarmsyndrom	Teduglutid	Revestive ®	Takeda	Aug 2012	Sep. 2024	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	19.000
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
Leukämie, akute lymphatische	Dasatinib	Sprycel®	Bristol Myers Squibb	Nov 2006	Nov. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	31.500
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	Mercaptopurin	Xaluprine®	Nova Laboratorios	Mrz 2012	Mrz. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	52.500

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Leukämie, akute lymphatische	Ponatinib	Iclusig®	Incyte Biosciences	Jul 2013	Jul. 2023	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Leukämie, akute lymphatische	Clofarabin	Evoltra®	Genzyme	Mai 2006	Jun. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	17.500
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®	Laboratoires Delbert	Okt 2008	Okt. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	29.000
Leukämie, akute myeloische	Decitabin	Dacogen®	Janssen-Cilag	Sep 2012	Sep. 2024	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	87.000
Leukämie, chronisch lymphatische	Ofatumumab	Arzerra®	Novartis	Apr 2010	Feb. 2019	Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen	152.000
Leukämie, chronisch lymphatische	Ibrutinib	Imbruvica®	Janssen	Okt 2014	Okt. 2021	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Leukämie, chronisch lymphatische	Venetoclax	Venclyxto®	AbbVie	Dez 2016	Okt. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	215.500
Leukämie, chronisch lymphatische	Obinutuzumab	Gazyvaro®	Roche	Jul 2014	Jul. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	133.000
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	Ponatinib	Iclusig®	Incyte Biosciences	Jul 2013	Jul. 2023	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	35.000
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	Imatinib	Glivec®	Novartis	Nov 2001	Nov. 2011	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	40.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Limbusstammzelleninsuffizienz nach Verbrennung / Verätzung des Auges	Lebendes (Hornhaut) Gewebeäquivalent	Holoclar®	Holostem	Feb 2015	Feb. 2025	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	13.500
Lungenfibrose, idiopathische	Pirfenidon	Esbriet®	Roche	Mrz 2011	Mrz. 2021	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000
Lungenfibrose, idiopathische	Nintedanib	Ofev®	Boehringer Ingelheim	Jan 2015	Mai. 2020	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000
Lungenhochdruck, arterieller	Macitentan	Opsumit®	Janssen-Cilag	Dez 2013	Dez. 2023	Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	79.000
Lungenhochdruck, arterieller	Sildenafil	Revatio®	Upjohn	Okt 2005	Nov. 2015	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Lungenhochdruck, arterieller	Ambrisentan	Volibris®	GlaxoSmith Kline	Apr 2008	Apr. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	89.000
Lungenhochdruck, arterieller	Iloprost	Ventavis®	Bayer	Sep 2003	Sep. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	97.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
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	Sitaxentan	Thelin®	Pfizer	Aug 2006	Jan. 2011	Marktrücknahme wegen möglicher Leberschäden	82.000
Lungenhochdruck, arterieller und chronisch thromboembolischer	Riociguat	Adempas®	Bayer	Mrz 2014	Jun. 2022	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	89.000
Lymphom, anaplastisches großzelliges	Brentuximab Vedotin	Adcetris®	Takeda	Okt 2012	Jun. 2024	wirtschaftliche Gründe	8.500
Magenkrebs	Ramucirumab	Cyramza®	Lilly	Dez 2014	Dez. 2015	Erweiterung der Indikation auf nicht-seltene Erkrankung	176.000
Mantelzell-Lymphom	Ibrutinib	Imbruvica®	Janssen	Okt 2014	Okt. 2021	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	27.000
Mantelzell-Lymphom	Lenalidomid	Revlimid®	Celgene	Jul 2016	Dez. 2019	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status, nachdem dieser für Erstindikation abgelaufen war	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	Erweiterung der Indikation auf nicht-seltene Erkrankung	18.000
Milzbrand (Vorbeugung und Behandlung)	Obiltoxaximab	Nyxthracis ® (f	SFL Pharmaceuticals	Nov 2020	Aug. 2024	Rückgabe der Zulassung	450
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	Velaglucerase alfa	VPRIV®	Takeda	Aug 2010	Aug. 2022	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	13.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
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
Morbus Waldenström	Ibrutinib	Imbruvica®	Janssen	Jul 2015	Okt. 2021	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
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

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Mukoviszidose (als Zusatz zur besten Standardtherapie)	Mannitol	Bronchitol®	Pharmaxis	Apr 2012	Apr. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	30.500
Mukoviszidose mit bestimmten Mutationen im CFTR-Gen	Ivacaftor	Kalydeco®	Vertex	Jul 2012	Jul. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	30.000
Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung	Aztreonamlysin	Cayston®	Gilead	Sep 2009	Okt. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	56.000
Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung	Tobramycin	TOBI Podhaler	Viatrix	Jul 2011	Jul. 2023	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	56.000
Multiples Myelom	Belantamab Mafodotin	Blenrep®	GlaxoSmith Kline	Aug 2020	Feb. 2024	Rücknahme der Zulassung	178.000
Multiples Myelom	Pomalidomid	Imnovid®	Bristol Myers Squibb	Aug 2013	Aug. 2023	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	57.000
Multiples Myelom	Thalidomid	Thalidomide BM	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, nachdem dieser für Erstindikation abgelaufen war	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®	Esteve	Apr 2004	Apr. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
Nephropathische Cystinose	Cysteamin	Procysbi®	Chiesi Orphan	Sep 2013	Sep. 2023	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.300
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	Sorafenib	Nexavar®	Bayer	Jul 2006	Jul. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	133.000
Nierenzellkrebs	Sunitinib	Sutent®	Pfizer	Jul 2006	Jul. 2008	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	155.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Nierenzellkrebs	Temsirolimus	Torisel®	Pfizer	Nov 2007	Nov. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; 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
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
Perianale Fisteln bei Morbus Crohn	Darvadstrocel	Alofisel®	Takeda	Mrz 2018	Dez. 2024	Rücknahme der Zulassung, weil neue Studiendaten Wirksamkeit nicht belegen konnten	155.000
Phenylketonurie und BH4-Mangel	Sapropterin	Kuvan®	BioMarin Europe	Dez 2008	Dez. 2020	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	73.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
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
Riesenaastrozytom aufgrund tuberöser Sklerose, subependymales	Everolimus	Votubia®	Novartis	Sep 2011	Sep. 2023	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Schilddrüsenkarzinom, medulläres	Cabozantinib	Cometriq®	Ipsen Pharma	Mrz 2014	Mrz. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	31.000
Schilddrüsenkrebs, differenziert	Lenvatinib	Lenvima®	Eisai	Mai 2015	Aug. 2018	Erweiterung der Indikation auf nicht-seltene Erkrankung	133.000
Schilddrüsenkrebs, differenziert	Sorafenib	Nexavar®	Bayer	Mai 2014	Mai. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status für diese Indikation; Medikament weiterhin zugelassen	53.000-172.000
Schmerzen, schwer, chronisch	Ziconotid	Prialt®	Riemser	Feb 2005	Feb. 2015	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	67.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Sichelzellkrankheit (Behandlung hämolytischer Anämie)	Voxelotor	Oxbryta®	Pfizer	Feb 2022	Sep. 2024	Ruhen der Zulassung wegen Sicherheitsbedenken	89.000
Sichelzellkrankheit (Prävention vasoookklusiver Krisen)	Crizanlizumab	Adakveo®	Novartis	Okt 2020	Aug. 2023	Marktrücknahme: als Zulassungsaufgabe geforderte Studien haben Wirksamkeit nicht bestätigt	89.000
Sichelzellkrankheit (Prävention vasoookklusiver Krisen)	Hydroxycarbamid	Siklos®	Theravia	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
Speiseröhrenkrebs	Tislelizumab	Tevimbra®	BeiGene	Sep 2023	Okt. 2023	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Drug-Status	45.000
Spinale Muskelatrophie Typ 1, 2, 3 oder 1 bis 4 SMN2-Kopien	Risdiplam	Evrysdi®	Roche	Mrz 2021	Sep. 2023	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	18.000
Stammzelltransplantation (Mobilisierung von Knochenmarks-Stammzellen)	Plerixafor	Mozobil®	Genzyme	Aug 2009	Aug. 2021	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Stammzelltransplantation, hämatopoetische (Vorbereitung)	Busulfan	Busilvex®	Pierre Fabre	Jul 2003	Jul. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; 2023 Marktrücknahme	26.500
Stammzelltransplantation, hämatopoetische (Vorbereitung)	Thiotepa	Tepadina®	Adienne	Mrz 2010	Mrz. 2020	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	27.000
Stammzelltransplantation, hämatopoetische, haploidentisch, Begleittherapie	Nalotimagen Carmaleucel	Zalmoxis®	MolMed	Aug 2016	Okt. 2019	Rückgabe der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen	14.000
Stammzelltransplantation, hämatopoetische, hepatische venookklusive Erkrankung	Defibrotid	Defitelio®	Gentium	Okt 2013	Okt. 2023	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	3.000
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
Tuberkulose	Bedaquilin	Sirturo®	Janssen-Cilag	Mrz 2014	Mrz. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	87.000

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
Tuberkulose	Paraaminosalicylsäure	Granupas®	Eurocept Internationa l	Apr 2014	Apr. 2024	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	62.000
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
T-Zell-Lymphom, kutan	Brentuximab Vedotin	Adcetris®	Takeda	Dez 2017	Jun. 2024	wirtschaftliche Gründe	89.000
Verbrennungen, tiefe	proteolytische Enzyme aus Bromelain	NexoBrid®	MediWound	Dez 2012	Dez. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500
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, Medikament war nie im Markt	22.000