Arzneimittel gegen seltene Erkrankungen nach Indikationen

Derzeit sind in der EU 164 Arzneimittel mit Orphan Drug-Status zugelassen. Weitere 103 Arzneimittel besitzen den Orphan Drug-Status nicht mehr - in der Regel, weil er abgelaufen ist. Die Zählung enthält nur Medikamente, die nach wie vor zugelassen sind. Einige Wirkstoffe sind gegen mehr als eine seltene Erkrankung angezeigt und tauchen deshalb in der Liste mehrfach auf. Die Anzahl der Erkrankten entspricht der Angabe in der Zuerkennung des Orphan-Status auf der Webseite der europäischen Zulassungsbehörde EMA. Unterschiedliche Angaben zur Anzahl der Betroffenen in einem bestimmten Anwendungsgebiet sind in unterschiedlichen Alters- und Patientengruppen begründet.

Stand: 29. Sep, 15:07 Uhr

Arzneimittel mit Orphan Drug-Status (164)

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Achondroplasie	Skelettdysplasie / Kleinwuchs mit gestörter Knorpel- und Knochenbildung	Vosoritid	Voxzogo®	26.08.2021	BioMarin Europe	17.900
ADA-SCID	schwerer kombinierter Immundefekt aufgrund von Adenosin-Desaminase-Mangel (ADA-SCID)	Autologe CD34+-Zellen, die für ADA kodieren	Strimvelis®	26.05.2016	Fondazione Thelethon	1.800
Adenokarzinom des Magens und des gastroösophagealen Übergangs		Zolbetuximab	Vyloy®	19.09.2024	Astellas	25.000
Aderhautmelanom, inoperabel oder metastasiert	Krebs, der die Uvea/Aderhaut des Auges betrifft	Tebentafusp	Kimmtrak®	01.04.2022	Immunocore	4.000
Adipositas durch Leptin-Rezeptor-Mangel	genetisch bedingter Mangel an Bindestellen für das Hormon Leptin, das Sättigung signalisiert	Setmelanotid	Imcivree®	16.07.2021	Rhythm Pharmaceuticals	4.500
Adipositas durch Proopiomelanocortin-Mangel	unzureichende Hungerkontrolle durch Mangel dieser Hormonvorstufe	Setmelanotid	Imcivree®	16.07.2021	Rhythm Pharmaceuticals	4.500
Adipositas, Hypothalamus-bedingt, erworben	meist durch Hirntumore oder deren Behandlung verursacht	Setmelanotid	Imcivree®	30.04.2026	Rhythm Pharmaceuticals	18.000

vfa. Die forschenden Pharma-Unternehmen

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Adrenoleukodystrophie, zerebrale	fehlerhaftes Protein verhindert Abbau von Fetten, die v.a. Gehirn und Nervengewebe schädigen	Leriglitazon	Nezglyal®	21.09.2026	Neuraxpharm	18.000
Ahornsiruperkrankung	Enzymdefekt, durch den bestimmte Aminosäuren nicht abgebaut werden können	Aminosäuren	Maapliv®	28.07.2025	Recordati	4.500
Akanthamöben-Keratitis	Hornhautentzündung durch Amöben-Infektion	Polihexanid	Akantior®	22.08.2024	SIFI	4.500
Akromegalie	Riesenwuchs	Paltusotin	Palsonify®	23.04.2026	Crinetics	49.000
Alpha-Mannosidose	erbliche lysosomale Speicherkrankheit	Velmanase alfa	Lamzede®	23.03.2018	Chiesi Farmaceutici	4.300
Amyotrophe Lateralsklerose	fortschreitende Degeneration der Bewegungsneuronen	Tofersen	Qalsody®	29.05.2024	Biogen	4.500
Anämie bei myelodysplastischem Syndrom, transfusionsabhängig	Erkrankung der blutbildenden Stammzellen im Knochenmark	Imetelstat	Rytelo®	07.03.2025	Geron	89.400
Anämie bei myelodysplastischem Syndrom, transfusionsabhängig	Erkrankung der blutbildenden Stammzellen im Knochenmark	Luspatercept	Reblozyl®	25.06.2020	Bristol Myers Squibb	89.000
Angioödem, hereditäres	z. T. beträchtliche Schwellung tieferer Gewebe der Haut und der Schleimhäute	Sebetralstat	Ekterly®	17.09.2025	KalVista	44.600
Angioödem, hereditäres (Prophylaxe)	z. T. beträchtliche Schwellung tieferer Gewebe der Haut und der Schleimhäute	Lanadelumab	Takhzyro®	22.11.2018	Takeda	22.500
Aromatische-L-Aminosäure-Decarboxylase-Mangel	Störung des Signalaustauschs im Gehirn	Eladocagen Exuparvovec	Upstaza®	18.07.2022	PTC Therapeutics	4.500
Astrozytom, Oligodendrogliom	Hirntumor	Vorasidenib	Voranigo®	17.09.2025	Laboratoires Servier	116.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Bardet Biedl Syndrom	genetisch bedingte Fehlfunktion von Zellbestandteilen (Zilien) in vielen Organen	Setmelanotid	Imcivree®	05.09.2022	Rhythm Pharmaceuticals	8.900
Barraquer-Simons-Syndrom	atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	Metreleptin	Myalepta®	30.07.2018	Chiesi Farmaceutici	100
Berardinelli-Seip-Syndrom	atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	Metreleptin	Myalepta®	30.07.2018	Chiesi Farmaceutici	450
Beta-Thalassämie	genetisch bedingte Fehlbildung der roten Blutkörperchen	Exagamglogen Autotemcel	Casgevy®	09.02.2024	Vertex	35.680
Beta-Thalassämie-bedingte Anämie	genetisch bedingte Fehlbildung der roten Blutkörperchen	Luspatercept	Reblozyl®	25.06.2020	Bristol Myers Squibb	44.000
B-Zell-Lymphom, diffus großzelliges (DLBCL)	Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Tafasitamab	Minjuvi®	26.08.2021	Incyte Biosciences	178.000
B-Zell-Lymphom, diffus großzelliges (DLBCL)	Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Polatuzumab Vedotin	Polivy®	16.01.2020	Roche	200.000
B-Zell-Lymphom, diffus großzelliges (DLBCL)	Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Tisagen Lecleucel	Kymriah®	23.08.2018	Novartis	205.000
B-Zell-Lymphom, diffus großzelliges (DLBCL)	Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Axicabtagen Ciloleucel	Yescarta®	23.08.2018	Gilead	205.000
B-Zell-Lymphom, primär mediastinales großzelliges (PMBCL)		Axicabtagen Ciloleucel	Yescarta®	23.08.2018	Gilead	22.000
C3-Glomerulopathie	Protein C3 des Immunsystems sammelt sich in der Niere	Pegcetacoplan	Aspaveli®	15.01.2026	Swedish Orphan Biovitrum	58.000
C3-Glomerulopathie	Protein C3 des Immunsystems sammelt sich in der Niere	Iptacopan	Fabhalta®	31.03.2025	Novartis	53.500

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Cholangiokarzinom	Krebs des Gallengangs	Ivosidenib	Tibsovo®	04.05.2023	Laboratoires Servier	58.000
Cholangiokarzinom	Krebs des Gallengangs	Pemigatinib	Pemazyre®	26.03.2021	Incyte Biosciences	67.000
Cholangitis, primäre biliäre	Autoimmunerkrankung, die zu einer Schädigung der Gallengänge führt	Seladelpar	Lyvdelzi (früher: Seladelpar Gilead)®	20.02.2025	Gilead	174.000
Cholangitis, primäre biliäre	Autoimmunerkrankung, die zu einer Schädigung der Gallengänge führt	Elafibranor	Iqirvo®	19.09.2024	Ipsen	21.800
Cholestase, progressive familiäre intrahepatische	Stau von Gallenflüssigkeit in den Gallengängen	Maralixibat	Livmarli®	28.06.2024	Mirum	2.700
Cholestase, progressive familiäre intrahepatische	Stau von Gallenflüssigkeit in den Gallengängen	Odevixibat	Bylvay®	16.07.2021	Ipsen	1.300
Cushing Syndrom	durch Tumor der Hypophyse verursachte stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut	Osilodrostat	Isturisa®	09.01.2020	Novartis	31.000
Cystinablagerungen in der Hornhaut bei Cystinose	Überschüssiges Cystin wird nicht abgebaut	Mercaptamin	Cystadrops®	19.01.2017	Recordati	4.300
Cytomegalievirus-Erkrankung (Prävention und Behandlung)	Infektion, die bei immungeschwächten Personen zu Organschäden führen kann	Maribavir	Livtencity®	09.11.2022	Takeda	44.600
Cytomegalievirus-Reaktivierung oder -Erkrankung (Prophylaxe)	bei Empfängern einer allogenen hämatopoetischen Stammzelltransplantation	Letermovir	Prevymis®	08.01.2018	MSD Sharp & Dohme	168.000
Desmoidtumore	eine Form des Weichteilsarkoms	Nirogacestat	Ogsiveo®	14.08.2025	Merck	205.000
Diabetes mellitus, neonataler		Glibenclamid	Amglidia®	24.05.2018	AMMTek	850
Dravet Syndrom	Form der Epilepsie	Fenfluramin	Fintepla®	18.12.2020	UCB	20.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Dravet Syndrom	Form der Epilepsie	Cannabidiol	Epidyolex®	19.09.2019	Jazz Pharmaceuticals	22.500
Duchenne Muskeldystrophie	Muskelschwund wegen Dystrophinmangel	Givinostat	Duvyzat®	06.06.2025	Italofarmaco	500
Duchenne Muskeldystrophie	Muskelschwund wegen Dystrophinmangel	Vamorolon	Agamree®	14.12.2023	Santhera	35.700
Epidermolysis bullosa, dystrophe	Hautinstabilität aufgrund eines Gendefekts	Beremagene Geperpavec	Vyjuvek®	23.04.2025	Krystal	31.000
Epidermolysis bullosa, dystrophe	Hautinstabilität aufgrund eines Gendefekts	Birkenrindenextrakt	Filsuvez®	21.06.2022	Chiesi Farmaceutici	27.000
Epileptische Anfälle durch CDKL5-Mangel	CDKL5-Mangel, verursacht durch Mutationen im Cyclin-abhängigen Kinase-ähnlichen 5 (CDKL5) Gen	Ganaxolon	Ztalmy®	26.07.2023	Marinus	26.750
Epstein-Barr-Virus positive Posttransplantations-proliferative Erkrankung	Krebserkrankung durch die immunsuppressive Therapie nach Transplantation	Tabelecleucel	Ebvallo®	16.12.2022	Pierre Fabre	71.400
Faktor X-Mangel	Blutgerinnungsstörung	Blutgerinnungsfaktor X (human)	Coagadex®	16.03.2016	Kedrion	44.000
Familiäres Chylomikronämie Syndrom	Störung des Fettstoffwechsels	Plozasiran	Redemplo®	19.06.2026	Arrowhead	9.000
Familiäres Chylomikronämie Syndrom	Störung des Fettstoffwechsels	Olezarsen	Tryngolza®	17.09.2025	Swedish Orphan Biovitrum	5.800
Familiäres Chylomikronämie Syndrom	Störung des Fettstoffwechsels	Volanesorsen	Waylivra®	03.05.2019	Akcea	4.300
Faziale Angiofibrome aufgrund tuberöser Sklerose	gutartige Tumore im Gesicht	Sirolimus	Hyftor®	15.05.2023	Plusultra	44.600
Friedreichs Ataxie	fortschreitende Bewegungskoordinationsstörungen durch Gewebeverhärtungen im Rückenmark und Gehirn	Omaveloxolon	Skyclarys®	09.02.2024	Biogen	22.300

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore	Tumor der neuroendokrinen Zellen in Pankreas und Darm	Lutetium (177Lu) Oxodotreotid	Lutathera®	26.09.2017	Novartis	71.000
Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore, Diagnose	Lokalisierung von Primärtumoren und deren Metastasen per PET	Edotreotid	Somakit TOC®	08.12.2016	Novartis	155.000
Gastrointestinale Stromatumore (GIST)	Sarkome des Magen-Darmgewebes	Ripretinib	Qinlock®	18.11.2021	Deciphera	133.000
Gastrointestinale Stromatumore (GIST)	Sarkome des Magen-Darmgewebes	Avapritinib	Ayvakyt®	24.09.2020	Blueprint Medicines	130.000
Gliom, niedriggradig maligne	Tumor der Gliazellen im Gehirn	Tovorafenib	Ojemda®	20.04.2026	Ipsen	134.000
Gliom, niedrig- oder hochgradig maligne	Tumor der Gliazellen im Gehirn	Trametinib	Spexotras®	05.01.2024	Novartis	116.000
Gliom, niedrig- oder hochgradig maligne	Tumor der Gliazellen im Gehirn	Dabrafenib	Finlee®	15.11.2023	Novartis	115.000
Graft-versus-Host-Erkrankung, chronisch		Belumosudil	Rezurock®	24.03.2026	Sanofi Winthrop	36.000
Granulomatose mit Polyangiitis	Entzündung von Blutgefäßen, die zu deren Absterben führt	Avacopan	Tavneos®	11.01.2022	Vifor Pharma	72.000
Hämatologische Krebserkrankung mit erforderlicher Stammzelltransplantation	vorgesehen, wenn für eine erforderliche Stammzelltransplantation keine anderen geeigneten Spenderzellen verfügbar sind	Dorocubicel / Nicht expandierte CD34-Zellen	Zemcelpro®	25.08.2025	Cordex Biologics	31.000
Hämophilie A	Blutgerinnungsstörung; Mangel an Blutgerinnungsfaktor VIII	Efanesoctocog alfa	Altuvoct®	17.06.2024	Swedish Orphan Biovitrum	35.700
Hämophilie A	Blutgerinnungsstörung; Mangel an Blutgerinnungsfaktor VIII	Valoctocogen Roxaparvovec	Roctavian®	24.08.2022	BioMarin Europe	35.700
Hämophilie B	Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	Etranacogen Dezaparvovec	Hemgenix®	20.02.2023	CSL Behring	8.900

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Hämophilie B	Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	Eftrenonacog alpha	Alprolix®	12.05.2016	Swedish Orphan Biovitrum	8.500
Hämophilie B	Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	Albutrepenonacog	Idelvion®	11.05.2016	CSL Behring	8.500
Harnstoffzyklusstörungen	Harnstoffzyklusstörung aufgrund verschiedener Enzymmangelerkrankungen	Glycerolphenylbutyrat	Ravicti®	27.11.2015	Immedica	53.000
Hepatitis D	Leberentzündung; immer zusammen mit Hepatitis B	Bulevirtid	Hepcludex®	31.07.2020	Gilead	177.000
Hochrisiko-Neuroblastom	solider Tumor der Nervenzellen; häufig im Bauch oder an der Wirbelsäule	Dinutuximab beta	Qarziba®	08.05.2017	Eusa Pharma	44.000
Hutchinson-Gilford-Progerie	frühzeitige, sehr schnelle Alterung	Lonafarnib	Zokinvy®	18.07.2022	Integral	450
Hyperargininämie	Arginase 1-Mangel	Pegzilarginase	Loargys®	15.12.2023	Immedica	850
Hyperoxalurie Typ 1, primäre	fehlerhaftes Enzym verursacht Oxalsäureansammlung im Körper	Lumasiran	Oxlumo®	19.11.2020	Alnylam	2.250
Hypoparathyreoidismus	Unterfunktion der Nebenschilddrüse	Palopegteriparatid	Yorvipath®	17.11.2023	Ascendis	130.000
Hypoparathyreoidismus	Unterfunktion der Nebenschilddrüse	Parathyroidhormon (rekombinant)	Natpar®	24.04.2017	Shire	155.000
Hypophosphatämie bei tumorinduzierter Osteomalazie	Tumor-assoziierte Demineralisierung der Knochen	Burosumab	Crysvita®	25.07.2022	Kyowa Kirin	450
Hypophosphatämie, X-chromosomale	erblich bedingte hohe FGF23-Werte, die einen Mangel an für den Knochenaufbau wichtigem Phosphat verursachen	Burosumab	Crysvita®	19.02.2018	Kyowa Kirin	26.500
Hypophosphatasie	Behandlung der Knochenmanifestationen der Krankheit	Asfotase alfa	Strensiq®	28.08.2015	Alexion	450

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Immunglobulin A-Nephropathie, primäre	Ansammlung von fehlerhaftem Immunglobulin A in der Niere	Sparsentan	Filspari®	19.04.2024	Vifor Pharma	178.000
Immunglobulin A-Nephropathie, primäre	Ansammlung von fehlerhaftem Immunglobulin A in der Niere	Budesonid	Kinpeygo®	15.07.2022	Stada	178.500
Immunthrombozytopenie	Immunsystem-bedingte Verminderung der Blutplättchen	Rilzabrutinib	Wayrilz®	22.12.2025	Sanofi	134.000
Kälteagglutinin-Krankheit	Immunsystem zerstört die roten Blutkörperchen	Sutimlimab	Enjaymo®	15.11.2022	Recordati	116.000
Karzinoid-Syndrom	Krebs in Hormon-produzierenden Zellen	Telotristat	Xermelo®	18.09.2017	Ipsen	31.000
Karzinom, biliäres		Zanidatamab	Ziihera®	27.06.2025	Jazz Pharmaceuticals	71.400
Keratitis, neurotrophe	degenerative Erkrankung der Hornhaut des Auges	Cenegermin	Oxervate®	06.07.2017	Dompé	185.500
Keratokonjunktivitis, vernale	chronische schwere allergische Entzündung des Augenlids	Ciclosporin	Verkazia®	06.07.2018	Santen Oy	142.000
Krampfanfälle im Zusammenhang mit Tuberöser Sklerose	Bildung von Tumoren und Wucherungen in Organen und Geweben	Cannabidiol	Epidyolex®	16.04.2021	Jazz Pharmaceuticals	45.000
Lawrence-Syndrom	atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	Metreleptin	Myalepta®	30.07.2018	Chiesi Farmaceutici	45
Lebersche ererbte Amaurose	ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut	Voretigen Neparvovec	Luxturna®	22.11.2018	Novartis	8.500
Leichtketten-(AL)-Amyloidose, systemisch	Ansammlung eines fehlgefalteten Proteins im Körper	Daratumumab	Darzalex®	21.01.2021	Janssen	10.250
Lennox-Gastaut-Syndrom	schwere Form der Epilepsie (bei Kindern)	Fenfluramin	Fintepla®	24.01.2022	UCB	89.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Lennox-Gastaut-Syndrom	schwere Form der Epilepsie (bei Kindern)	Cannabidiol	Epidyolex®	19.09.2019	Jazz Pharmaceuticals	89.000
Leukämie, akute lymphatische	Krebs der B-Zell-Vorläufer	Brexucabtagen Autoleucel	Tecartus®	02.09.2022	Kite	62.000
Leukämie, akute lymphatische	Krebs der B-Zell-Vorläufer	Tisagen Lecleucel	Kymriah®	23.08.2018	Novartis	53.500
Leukämie, akute lymphatische	Krebs der B-Zell-Vorläufer	Inotuzumab Ozogamicin	Besponsa®	29.06.2017	Pfizer	17.000
Leukämie, akute lymphatische	Krebs der B-Zell-Vorläufer	Blinatumomab	Blincyto®	23.11.2015	Amgen	79.500
Leukämie, akute myeloische	Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Ivosidenib	Tibsovo®	04.05.2023	Laboratoires Servier	49.000
Leukämie, akute myeloische	Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Glasdegib	Daurismo®	26.06.2020	Pfizer	58.000
Leukämie, akute myeloische	Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Gilteritinib	Xospata®	24.10.2019	Astellas	62.000
Leukämie, akute myeloische	Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Cytarabin / Daunorubicin	Vyxeos Liposomal®	23.08.2018	Jazz Pharmaceuticals	44.000
Leukämie, akute myeloische	Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Gemtuzumab Ozogamicin	Mylotarg®	19.04.2018	Pfizer	44.000
Leukämie, akute myeloische	Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Midostaurin	Rydapt®	18.09.2017	Novartis	30.500
Leukämie, chronisch myeloische	Blutkrebs mit verkürztem Chromosom 22	Asciminib	Scemblix®	25.08.2022	Novartis	62.500
Limbusstammzellenin-suffizienz nach Verbrennung o. Verätzung des Auges		Lebendes (Hornhaut) Gewebeäquivalent	Holoclar®	17.02.2015	Holostem	13.500
Lipodystrophie, familiäre partielle	atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	Metreleptin	Myalepta®	30.07.2018	Chiesi Farmaceutici	1.300

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Lungenhochdruck, arterieller	Bluthochdruck in den Lungenarterien	Sotatercept	Winrevair®	22.08.2024	MSD Sharp & Dohme	62.500
Lungenhochdruck, chronisch thromboembolischer	chronisch-thromboembolischer Bluthochdruck in der Lunge	Treprostinil Natrium	Trepulmix®	03.04.2020	SciPharm	45.000
Lungenkrebs, kleinzellig (SCLC)	Krebs der endokrinen Zellen in der Lungenschleimhaut	Lurbinectedin	Zepzelca®	29.05.2026	Pharma Mar	58.000
Lungenkrebs, kleinzellig (SCLC)	Krebs der endokrinen Zellen in der Lungenschleimhaut	Tarlatamab	Imdylltra®	29.05.2026	Amgen	58.000
Lymphom, follikuläres	übermäßige Vermehrung von B-Zellen und deren Ansammlung in Lymphknoten	Tafasitamab	Minjuvi®	16.12.2025	Incyte Biosciences	218.500
Lymphom, follikuläres	übermäßige Vermehrung von B-Zellen und deren Ansammlung in Lymphknoten	Axicabtagen Ciloleucel	Yescarta®	21.06.2022	Gilead	218.000
Lymphom, follikuläres	übermäßige Vermehrung von B-Zellen und deren Ansammlung in Lymphknoten	Mosunetuzumab	Lunsumio®	03.06.2022	Roche	214.000
Lymphom, follikuläres	übermäßige Vermehrung von B-Zellen und deren Ansammlung in Lymphknoten	Tisagen Lecleucel	Kymriah®	03.05.2022	Novartis	219.000
Lysosomaler saurer Lipase-Mangel	Enzymmangel-Erkrankung	Sebelipase alfa	Kanuma®	28.08.2015	Alexion	8.500
Malaria		Artesunat	Artesunat Amivas®	22.11.2021	Amivas	5.150
Mantelzelllymphom, rezidivierend oder refraktär	Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen (B-Lymphozyten)	Brexucabtagen Autoleucel	Tecartus®	14.12.2020	Kite	23.000
Mastozytose	Anreicherung zu vieler Mastzellen (ein Typ weißer Blutkörperchen) in den Organen	Midostaurin	Rydapt®	18.09.2017	Novartis	40.000
Mastozytose, fortgeschritten systemisch	Anhäufung von Mastzellen in Haut und Organen	Avapritinib	Ayvakyt®	24.03.2022	Blueprint Medicines	134.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Merkelzellkarzinom	Hautkrebs, der in den Merkelzellen beginnt	Retifanlimab	Zynyz®	19.04.2024	Incyte Biosciences	17.500
Metachromatische Leukodystrophie	durch Enzymmangel verursachte toxische Anlagerung von Fetten an Nervenzellen	Atidarsagen Autotemcel	Libmeldy®	17.12.2020	Orchard Therapeutics	400
Molybdän-Cofaktor Mangel Typ A	Enzymausfall, weil ohne den Cofaktor Enzymproduktion unmöglich	Fosdenopterin	Nulibry®	15.09.2022	TMC	450
Morbus Gaucher Typ 1	vererbter Enzymmangel	Eliglustat	Cerdelga®	19.01.2015	Genzyme	13.000
Mukopolysaccharidose Typ VII (Sly Syndrom)	Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	Vestronidase alfa	Mepsevii®	23.08.2018	Ultragenyx	30
Mukormykose	seltene lebensbedrohliche Pilzinfektion	Isavuconazol	Cresemba®	15.10.2015	Basilea	2.500
Mukoviszidose	vererbte Störung des Wasser-/Salztransports	Deutivacaftor / Tezacaftor / Vanzacaftor	Alyftrek®	30.06.2025	Vertex	44.600
Mukoviszidose	vererbte Störung des Wasser-/Salztransports	Elexacaftor / Ivacaftor / Tezacaftor	Kaftrio®	21.08.2020	Vertex	45.000
Mukoviszidose	vererbte Störung des Wasser-/Salztransports	Ivacaftor / Tezacaftor	Symkevi®	31.10.2018	Vertex	41.500
Multiples Myelom	Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Talquetamab	Talvey®	21.08.2023	Janssen	192.000
Multiples Myelom	Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Ciltacabtagene Autoleucel	Carvykti®	25.05.2022	Janssen	205.000
Multiples Myelom	Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Idecabtagen Vicleucel	Abecma®	18.08.2021	Bristol Myers Squibb	205.000
Multiples Myelom	Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Ixazomib	Ninlaro®	21.11.2016	Takeda	177.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Myasthenia gravis, generalisierte	Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden	Rozanolixizumab	Rystiggo®	05.01.2024	UCB	89.000
Myasthenia gravis, generalisierte	Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden	Efgartigimod alpha	Vyvgart®	10.08.2022	argenx	88.900
Myasthenia gravis, generalisierte	Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden	Eculizumab	Soliris®	14.08.2017	Alexion	165.000
Myelofibrose, primär	krankhafte Veränderung des Knochenmarks	Momelotinib	Omjjara®	25.01.2024	GlaxoSmithKline	13.400
Myelofibrose, primär	krankhafte Veränderung des Knochenmarks	Fedratinib	Inrebic®	08.02.2021	Bristol Myers Squibb	13.000
Myelofibrose, sekundär, post-essenzielle Thrombozythämie	krankhafte Veränderung des Knochenmarks nach essenzieller Thrombozythämie	Momelotinib	Omjjara®	25.01.2024	GlaxoSmithKline	6.700
Myelofibrose, sekundär, post-essenzielle Thrombozythämie	krankhafte Veränderung des Knochenmarks nach essenzieller Thrombozythämie	Fedratinib	Inrebic®	08.02.2021	Bristol Myers Squibb	7.000
Myelofibrose, sekundär, post-Polycythaemia vera	krankhafte Veränderung des Knochenmarks	Momelotinib	Omjjara®	25.01.2024	GlaxoSmithKline	6.700
Myelofibrose, sekundär, post-Polycythaemia vera	krankhafte Veränderung des Knochenmarks	Fedratinib	Inrebic®	08.02.2021	Bristol Myers Squibb	7.000
Myotonie	ererbte Störung der Entspannung von Muskeln, die mit Schmerzen und Steifigkeit einhergeht	Mexiletin	Namuscla®	18.12.2018	Lupin	53.500
Narkolepsie mit oder ohne Kataplexie	Exzessive Tagesschläfrigkeit	Pitolisant	Wakix®	31.03.2016	Bioprojet Pharma	177.000
Neurofibromatose 1 (plexiforme Neurofibrome)	Tumoren im Zusammenhang mit Neurofibromatose Typ 1	Mirdametinib	Ezmekly®	17.07.2025	Merck	133.800

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Neurofibromatose 1 (plexiforme Neurofibrome)	Tumoren im Zusammenhang mit Neurofibromatose Typ 1	Selumetinib	Koselugo®	17.06.2021	AstraZeneca	134.000
Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen	Entzündungserkrankungen, die vor allem Sehnerv und Rückenmark betreffen und schädigen	Satralizumab	Enspryng®	24.06.2021	Roche	18.000
Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen	Entzündungserkrankungen, die vor allem Sehnerv und Rückenmark betreffen und schädigen	Eculizumab	Soliris®	26.08.2019	Alexion	18.000
Neuronale Ceroid-Lipofuszinose	Mangel an Tripeptidyl-Peptidase 1, einem Enzym zum Proteinabbau in den Zellen	Cerliponase alfa	Brineura®	30.05.2017	BioMarin Europe	13.000
Nicht-tuberkulöse mykobakterielle Lungeninfektionen	verursacht durch Mycobacterium avium Complex	Amikacin	Arikayce liposomal®	27.10.2020	Insmed	27.000
Niemann Pick Typ A, B	Lysosomale Speichererkrankung durch Mangel an saurer Sphingomyelinase	Olipudase alpha	Xenpozyme®	24.06.2022	Genzyme	4.500
Niemann Pick Typ C	neurodegenerative Erkrankung durch Lipidstoffwechselstörung	Levacetylleucin	Aqneursa®	19.01.2026	Intrabio	4.500
Ösophagitis, eosinophile	Speiseröhrenentzündung durch Eosinophile (weiße Blutkörperchen)	Budesonid	Jorveza®	08.01.2018	Dr. Falk Pharma	137.000
Ovarialkarzinom, Eileiterkarzinom oder primäres Peritonealkarzinom	Eierstockkrebs	Mirvetuximab Soravtansin	Elahere®	14.11.2024	AbbVie	25.200
Ovarialkarzinom, Eileiterkarzinom oder primäres Peritonealkarzinom	Eierstockkrebs	Niraparib	Zejula®	16.11.2017	GlaxoSmithKline	190.000
Pankreaskarzinom	Krebs der Bauchspeicheldrüse	Irinotecan	Onivyde®	14.10.2016	Laboratoires Servier	71.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie	Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen	Iptacopan	Fabhalta®	17.05.2024	Novartis	9.000
Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie	Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen	Danicopan	Voydeya®	19.04.2024	Alexion	9.000
Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie	Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen	Pegcetacoplan	Aspaveli®	15.12.2021	Swedish Orphan Biovitrum	17.500
Phenylketonurie	genetisch bedingte Störung des Abbaus des Proteins Phenylalanin	Sepiapterin	Sephience®	19.06.2025	PTC Therapeutics	84.700
Phenylketonurie	genetisch bedingte Störung des Abbaus des Proteins Phenylalanin	Pegvaliase	Palynziq®	03.05.2019	BioMarin Europe	86.000
Phosphoinositid-3-Kinase-Delta-Syndrom, aktiviertes (APDS)	primäre Immundefizienz durch Mutationen, die die Aktivität von PI3Kδ erhöhen	Leniolisib	Joenja®	21.05.2026	Pharming	450
PIK3CA-assoziiertes Überwuchsspektrum	mit einer Mutation im PIK3CA-Gen assoziierte schwere oder lebensbedrohliche Manifestationen	Alpelisib	Vijoice®	15.07.2026	Novartis	55.750
Pilzinfektion (Aspergillose), invasiv		Isavuconazol	Cresemba®	15.10.2015	Basilea	88.000
Pilzinfektion (Candidiasis), invasiv	Pilzinfektion	Rezafungin	Rezzayo®	22.12.2023	Mundipharma	53.000
Plattenepithelkarzinom des Analkanals		Retifanlimab	Zynyz®	09.03.2026	Incyte Biosciences	89.000
Polyangiitis, mikroskopische	Entzündung der kleinen Blutgefäße im Körper	Avacopan	Tavneos®	11.01.2022	Vifor Pharma	45.000
Polyneuropathie, chronische inflammatorische demyelinisierende (CIDP)		Efgartigimod alpha	Vyvgart®	19.06.2025	argenx	45.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Porphyrie, akute hepatische	Enzymdefekt, der eine Ansammlung des Porphyhrins Häm im Körper verursacht	Givosiran	Givlaari®	02.03.2020	Alnylam	4.300
Pruritus, cholestatischer bei Alagille-Syndrom	Ansammlung von Gallensäure in der Leber, die Leberschäden und Juckreiz verursacht	Maralixibat	Livmarli®	09.12.2022	Mirum	13.400
Pyruvat-Kinase-Mangel	Enzymmangel, der zu stark funktionseingeschränkten Blutzellen führt	Mitapivat	Pyrukynd®	09.11.2022	Agios	22.300
Retinitis pigmentosa	ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut	Voretigen Neparvovec	Luxturna®	22.11.2018	Novartis	132.000
Rett Syndrom		Trofinetid	Daybu®	20.08.2026	Acadia	22.300
Riesenzelltumore, tenosynoviale	gutartige Wucherung in der Synovialschleimhaut der Sehnenscheiden	Vimseltinib	Romvimza®	17.09.2025	Deciphera	134.000
Sichelzellerkrankung	fehlerhafte rote Blutkörperchen transportieren keinen Sauerstoff	Exagamglogen Autotemcel	Casgevy®	09.02.2024	Vertex	58.000
Spinale Muskelatrophie, 5q-assoziiert	Erkrankung der Motorneuronen durch Mangel an Survival Motorneuron-Protein (SMN)	Nusinersen	Spinraza®	30.05.2017	Biogen	18.000
Spinale Muskelatrophie Typ 1	Muskelabbau durch fehlendes bzw. nicht aussreichend produziertes SMN-Protein	Onasemnogen Abeparvovec	Zolgensma®	18.05.2020	Novartis	18.000
Stammzelltransplantation; hämatopoetische (Konditionierungstherapie)	Vorbereitung der Stammzelltransplantation bei verschiedenen Krebserkrankungen	Treosulfan	Trecondi®	20.06.2019	Medac	31.000
Thrombotische thrombozytopenische Purpura, erworben	Blutgerinnungsstörung	Caplacizumab	Cablivi®	31.08.2018	Ablynx	112.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
Thrombotische thrombozytopenische Purpura, kongenital	Bildung kleiner Blutgerinnsel im ganzen Körper durch Enzymmangel	rADAMTS13	Adzynma®	01.08.2024	Takeda	98.000
Thymidinkinase-2-Defizienz		Doxecitin / Doxribtimin	Kygevvi®	26.03.2026	UCB	450
Thyreotoxikose bei Allan-Hernon-Dudley-Syndrom	Gendefektbedingte Störung des Transports eines Schilddrüsenhormons in Nervenzellen	Tiratricol	Emcitate®	12.02.2025	Rare Thyroid Therapeutics	430
Toxische Methotrexat-Plasmakonzentrationen	Verhinderung toxischer Auswirkungen bei Patienten mit verzögerter Methotrexat-Ausscheidung	Glucarpidase	Voraxaze®	11.01.2022	SERB S.A.	133.000
Transplantatabstoßung (Prävention)		Imlifidase	Idefirix®	25.08.2020	Hansa Biopharma	31.000
Transthyretin-Amyloidose, hereditäre	Ansammlung von fehlgefaltetem Transthyretin in Organen	Vutrisiran	Amvuttra®	15.09.2022	Alnylam	80.000
Transthyretin-Amyloidose, hereditäre	Ansammlung von fehlgefaltetem Transthyretin in Organen	Patisiran	Onpattro®	27.08.2018	Alnylam	6.000
Transthyretin-Amyloidose, hereditäre, mit Polyneuropathie		Inotersen	Tegsedi®	06.07.2018	Akcea	132.000
Transthyretin-Amyloidose, hereditäre oder Wildtyp	Ansammlung von fehlgefaltetem Transthyretin in Organen	Tafamidis	Vyndaqel®	17.02.2020	Pfizer	134.000
Tuberkulose, mutliresistent (MDR) oder ausgedehnt resistent (XDR)	Behandlung multiresistenter (MDR) und extensiv resistenter (XDR) Tuberkulose	Pretomanid	Dovprela®	31.07.2020	Mylan	86.000
T-Zell-Lymphom, kutan (Typ Mycosis fungoides)	beides sind kutane T-Zell-Lymphome	Mogamulizumab	Poteligeo®	22.11.2018	Kyowa Kirin	116.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Betroffene in der
T-Zell-Lymphom, kutan (Typ Mycosis fungoides)	beides sind kutane T-Zell-Lymphome	Chlormethin	Ledaga®	03.03.2017	Helsinn-Birex	114.000
Wachstumshormonmangel	unzureichende Ausschüttung von Wachstumshormon	Somatrogon	Ngenla®	14.02.2022	Pfizer	205.000
Wachstumshormonmangel	unzureichende Ausschüttung von Wachstumshormon	Lonapegsomatropin	Skytrofa (früher: Lonapegsomatropin Ascendis Pharma)®	11.01.2022	Ascendis	218.500
Wachstumshormonmangel	unzureichende Ausschüttung von Wachstumshormon	Somapacitan	Sogroya®	31.03.2021	Novo Nordisk	210.000
WHIM-Syndrom	ererbter Immundefekt durch Mutation eines Zytokinrezeptors (CXCR4)	Mavorixafor	Xolremdi®	27.04.2026	X4 Pharmaceuticals	450
Wiskott-Aldrich-Syndrom	Gendefekt, der zu schweren Infektionen und Blutungen führt	Etuvetidigen Autotemcel	Waskyra®	09.01.2026	Fondazione Thelethon	450
Xanthomatose, zerebrotendinöse	Störung der Gallensaftbildung aufgrund eines Sterol-27-Hydroxylase Mangels	Chenodesoxycholsäure	Chenodesoxycholsäure Leadiant®	10.04.2017	Leadiant	8.500
Zellneoplasien, blastische plasmazytoide dendritische	Blutkrebs (Überproduktion plasmazytoider dendritischer Zellen)	Tagraxofusp	Elzonris®	07.01.2021	Stemline Therapeutics	4.500

Arzneimittel mit früherem Orphan Drug-Status (103)

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Adrenoleukodystrophie, zerebrale	fehlerhaftes Protein verhindert Abbau von Fetten, die v.a. Gehirn und Nervengewebe schädigen	Elivaldogen Autotemcel	Skysona®	16.07.2021	bluebird bio	18.11.2021	Rückgabe der Zulassung aus firmenstrategischen Gründen, Medikament war nie im Markt	22.000
Akromegalie	Riesenwuchs	Pasireotid	Signifor®	01.11.2014	Novartis	21.11.2024	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	88.000
Akromegalie	Riesenwuchs	Pegvisomant	Somavert®	13.11.2002	Pfizer	01.11.2012	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	27.000
Akromegalie (Erhaltungstherapie)	Riesenwuchs	Octreotid	Mycapssa®	02.12.2022	Amryt	05.03.2025	Rücknahme der Zulassung	89.000
Angioödem, hereditäres (Behandlung akuter Attacken)	z. T. beträchtliche Schwellung tieferer Gewebe der Haut und der Schleimhäute	Icatibant	Firazyr®	11.07.2008	Takeda	15.07.2020	Ablauf des erweiterten Orphan Drug-Status (12 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	111.000
Apnoe bei Frühgeborenen, primäre	Aussetzen der Atmung über mehr als 20 Sekunden	Coffeincitrat	Peyona (früher: Nymusa)®	06.07.2009	Chiesi Farmaceutici	06.07.2019	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	37.500

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Atypisches Hämolytisch-Urämisches Syndrom	Erkrankung der kleinen Blutgefäße	Eculizumab	Soliris®	29.11.2011	Alexion	29.11.2023	Ablauf des erweiterten Orphan Drug-Status (12 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	4.300
Barrett-Ösophagus (photodynoamische Therapie)	Entfernung von Krebsvorstufen in der Speiseröhre	Porfimer natrium	PhotoBarr®	25.03.2004	Pinnacle Biologics	01.05.2012	Rückgabe der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen	159.000
Beta-Thalassämie	genetisch bedingte Fehlbildung der roten Blutkörperchen	Betibeglogen Autotemcel	Zynteglo®	29.05.2019	bluebird bio	24.03.2022	Rückgabe der Zulassung aus firmenstrategischen Gründen	31.000
B-Zell-Lymphom, diffus großzelliges (DLBCL)	Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Epcoritamab	Tepkinly®	22.09.2023	AbbVie	17.07.2024	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	192.000
B-Zell-Lymphom, diffus großzelliges (DLBCL)	Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Glofitamab	Columvi®	07.07.2023	Roche	21.05.2025	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	205.000
Castleman-Krankheit	abnorme Vergrößerung eines oder mehrerer Lymphknotens, oft mit gutartigen Tumoren	Siltuximab	Sylvant®	22.05.2014	Janssen-Cilag	27.05.2024	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	44.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Cholangitis, primäre biliäre	Autoimmunerkrankung, die zu einer Schädigung der Gallengänge führt	Obeticholsäure	Ocaliva®	12.12.2016	Intercept	30.08.2024	Rücknahme der Zulassung, weil neue Studiendaten Wirksamkeit nicht belegen konnten	172.500
Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome	Muckle-Wells Syndrom, familiäres kälteinduziertes autoinflammatorisches Syndrom	Canakinumab	Ilaris®	23.10.2009	Novartis	01.12.2010	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	2.200
Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome	Muckle-Wells Syndrom, familiäres kälteinduziertes autoinflammatorisches Syndrom	Rilonacept	Rilonacept Regeneron (früher Arcalyst)®	01.10.2009	Regeneron	01.10.2012	Rückgabe der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen, Medikament war nie im Markt	2.000
Cushing Syndrom	durch Tumor der Hypophyse verursachte stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut	Ketoconazol	Ketoconazole Esteve®	19.11.2014	Esteve	21.11.2024	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	40.000
Dermatofibrosarcoma protuberans	hauptsächlich an Rumpf, Armen oder Beinen auftretender, sich langsam entwickelnder Hautkrebs	Imatinib	Glivec®	01.09.2006	Novartis	01.04.2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500
Dravet Syndrom	Form der Epilepsie	Stiripentol	Diacomit®	04.01.2007	Biocodex	31.01.2017	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	17.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Duchenne Muskeldystrophie	Muskelschwund wegen Dystrophinmangel	Ataluren	Translarna®	31.07.2014	PTC Therapeutics	05.08.2024	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); 2025 Marktrücknahme	17.000
Ductus arteriosus bei Frühgeborenen	angeborener Herzfehler durch unvollständige Schließung eines Herzgefäßes nach der Geburt	Ibuprofen	Pedea®	29.07.2004	Orphan Europe	31.07.2014	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	92.000
Eisenüberladung, chronisch	transfusionsbedingt chronisch bei Patienten mit Beta-Thalassämia major	Deferasirox	Exjade®	28.08.2006	Novartis	31.08.2016	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	119.000
Erythropoetische Protoporphyrie, Phototoxizität	Genetischer Defekt bei der Blutbildung, der mit schmerzhafter Lichtunverträglichkeit einhergeht	Afamelanotid	Scenesse®	22.12.2014	Clinuvel	29.12.2024	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	8.500
Extravasation durch Anthracycline	versehentliche extravasale Gabe von Anthracyclinen	Dexrazoxan	Savene®	28.07.2006	CNX Therapeutics	31.07.2016	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	1.250
Gallensäuresynthesestörung	infolge von Sterol-27-Hydroxylase-Mangel, AMACR-Mangel oder CYP7A1-Mangel	Cholsäure	Kolbam®	07.04.2014	Retrophin Europe	13.07.2020	Rückgabe der Zulassung	3.500
Gallensäuresynthesestörung	infolge von Sterol-27-Hydroxylase-Mangel, AMACR-Mangel oder CYP7A1-Mangel	Cholsäure	Orphacol®	12.09.2013	Laboratoires CTRS	16.09.2023	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	3.500

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Gastrointestinale Stromatumore (GIST)	Sarkome des Magen-Darmgewebes	Sunitinib	Sutent®	19.07.2006	Pfizer	01.07.2008	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	13.000
Gastrointestinale Stromatumore (GIST)	Sarkome des Magen-Darmgewebes	Imatinib	Glivec®	01.05.2002	Novartis	01.04.2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	2.500
Gliom, malignes	Visualisierung von malignem Gewebe bei einer OP des malignen Glioms	5-Aminolävulinsäure	Gliolan®	07.09.2007	photonamic	30.09.2017	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Haarzellleukämie	Erkankung aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Moxetumomab Pasudotox	Lumoxiti®	08.02.2021	AstraZeneca	23.07.2021	Rückgabe der Zulassung aus kommerziellen Gründen	44.500
Haarzellleukämie	Erkankung aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	Cladribin	Litak®	14.04.2004	Lipomed	01.04.2014	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	157.000
Hochrisiko-Neuroblastom	solider Tumor der Nervenzellen; häufig im Bauch oder an der Wirbelsäule	Dinutuximab	Unituxin®	14.08.2015	United Therapeutics	20.03.2017	Rückgabe der Zulassung durch Zulassungsinhaber	48.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Hodgkin Lymphom	Krebs des Lymphsystems	Brentuximab Vedotin	Adcetris®	25.10.2012	Takeda	20.06.2024	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Homocystinurie	Störung des Eiweißstoffwechsels mit Anreicherung in Blut und Urin	Betain	Cystadane®	15.02.2007	Orphan Europe	19.02.2017	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	7.000
Hyperammonämie aufgrund verschiedener seltener Erkrankungen	Harnstoffzyklusstörung durch Enzymmangel	Carglumsäure	Carbaglu®	26.05.2011	Recordati	01.06.2021	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	2.500
Hyperammonämie wegen primären N-acetylglutamat Synthasemangels	Harnstoffzyklusstörung durch Enzymmangel	Carglumsäure	Carbaglu®	24.01.2003	Recordati	01.01.2013	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	70
Hypereosinophiles Syndrom (Leukämie, chronische eosinophile)	Überproduktion eosinophiler Granylozyten, die zu zu lebensbedrohlichen Organschädigungen führt	Imatinib	Glivec®	01.11.2006	Novartis	01.04.2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500
Hyperphenylalaninämie bei Phenylketonurie und BH4-Mangel	vererbter Defekt im Tyrosin-Stoffwechsel	Sapropterin	Kuvan®	04.12.2008	BioMarin Europe	04.12.2020	Ablauf des erweiterten Orphan Drug-Status (12 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	73.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
IGF-1-Mangel, primärer	schwerer primärer Mangel an Insulin-ähnlichem Wachstumsfaktor 1	Mecasermin	Increlex®	03.08.2007	Esteve	08.08.2017	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	87.000
Immunthrombozytopenie	Immunsystem-bedingte Verminderung der Blutplättchen	Romiplostim	Nplate®	06.02.2009	Amgen	06.02.2019	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	43.000
Immunthrombozytopenie, primäre	Immun-vermittelte Verminderung der Blutplättchen	Eltrombopag	Revolade®	11.03.2010	Novartis	01.12.2011	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.000
Interstitielle Lungenerkrankung, progredient fibrosierend	Kollagenüberproduktion, die zur Verdickung und Verhärtung von Haut und anderen Geweben führt	Nintedanib	Ofev®	20.04.2020	Boehringer Ingelheim	25.05.2020	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	156.000
Kurzdarmsyndrom	chronische Verdauungsstörungen nach chirurgischer Entfernung von Teilen des Darms	Teduglutid	Revestive®	30.08.2012	Takeda	04.09.2024	Ablauf des erweiterten Orphan Drug-Status (12 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	19.000
Lambert-Eaton-Myasthenisches Syndrom	neurologisch bedingte Muskelschwäche	Amifampridin	Firdapse (früher: Zenas)®	23.12.2009	BioMarin Europe	28.12.2019	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	4.500

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Lebersche ererbte Optikusneuropathie	akuter, meist schmerzloser Verlust der Sehkraft innerhalb weniger Monate	Idebenon	Raxone®	10.09.2015	Santhera	10.09.2025	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	8.500
Leberzellkrebs		Sorafenib	Nexavar®	01.10.2007	Bayer	31.10.2017	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Leishmaniose, viszerale	Tropenkrankheit, auch bekannt als Kala-Azar	Miltefosin	Impavido®	01.12.2004	Paladin Labs	01.12.2014	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	4.000
Lennox-Gastaut-Syndrom	schwere Form der Epilepsie (bei Kindern)	Rufinamid	Inovelon®	16.01.2007	Eisai	13.01.2019	Ablauf des erweiterten Orphan Drug-Status (12 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	44.000 - 88.000
Leukämie, akute lymphatische	Krebs der B-Zell-Vorläufer	Ponatinib	Iclusig®	01.07.2013	Incyte Biosciences	03.07.2023	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Leukämie, akute lymphatische	Krebs der B-Zell-Vorläufer	Mercaptopurin	Xaluprine®	09.03.2012	Lipomed	13.03.2022	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	52.500

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Leukämie, akute lymphatische	Krebs der B-Zell-Vorläufer	Dasatinib	Sprycel®	20.11.2006	Bristol Myers Squibb	30.11.2016	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	31.500
Leukämie, akute lymphatische	Krebs der B-Zell-Vorläufer	Imatinib	Glivec®	01.09.2006	Novartis	01.04.2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	21.500
Leukämie, akute lymphatische	Krebs der B-Zell-Vorläufer	Clofarabin	Evoltra®	29.05.2006	Genzyme	01.06.2016	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	17.500
Leukämie, akute myeloische	Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Decitabin	Dacogen®	24.09.2012	Janssen-Cilag	24.09.2024	Ablauf des erweiterten Orphan Drug-Status (12 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	87.000
Leukämie, akute myeloische	Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Azacitidin	Vidaza®	17.12.2008	Bristol Myers Squibb	22.12.2018	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	87.000
Leukämie, akute myeloische	Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	Histamin dihydrochlorid	Ceplene®	07.10.2008	Laboratoires Delbert	09.10.2018	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	29.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Leukämie, chronisch lymphatische	Blutkrebs (Lymphozytenüberproduktion)	Venetoclax	Venclyxto®	05.12.2016	AbbVie	12.10.2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	215.500
Leukämie, chronisch lymphatische	Blutkrebs (Lymphozytenüberproduktion)	Ibrutinib	Imbruvica®	21.10.2014	Janssen	13.10.2021	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000
Leukämie, chronisch lymphatische	Blutkrebs (Lymphozytenüberproduktion)	Obinutuzumab	Gazyvaro®	23.07.2014	Roche	24.07.2024	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	133.000
Leukämie, chronisch lymphatische	Blutkrebs (Lymphozytenüberproduktion)	Ofatumumab	Arzerra®	19.04.2010	Novartis	25.02.2019	Rückgabe der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen	152.000
Leukämie, chronisch myeloische	Blutkrebs mit verkürztem Chromosom 22	Ponatinib	Iclusig®	01.07.2013	Incyte Biosciences	03.07.2023	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	35.000
Leukämie, chronisch myeloische	Blutkrebs mit verkürztem Chromosom 22	Bosutinib	Bosulif®	27.03.2013	Pfizer	15.03.2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	70.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Leukämie, chronisch myeloische	Blutkrebs mit verkürztem Chromosom 22	Nilotinib	Tasigna®	21.11.2007	Novartis	21.11.2019	Ablauf des erweiterten Orphan Drug-Status (12 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Leukämie, chronisch myeloische	Blutkrebs mit verkürztem Chromosom 22	Dasatinib	Sprycel®	20.11.2006	Bristol Myers Squibb	30.11.2016	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	39.000
Leukämie, chronisch myeloische	Blutkrebs mit verkürztem Chromosom 22	Imatinib	Glivec®	01.11.2001	Novartis	01.11.2011	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	40.000
Lipoproteinlipase-defizienz, familiäre, mit Pankreatitis-Schüben	Schwere Fettstoffwechselstörung	Alipogen tiparvovec	Glybera®	25.10.2012	uniQure biopharma	28.10.2017	Rückgabe der Zulassung (keine Verlängerung) aus wirtschaftlichen Gründen	850
Lungenfibrose, idiopathische	bis zum Tod fortschreitende Vernarbung des Lungengewebes	Nintedanib	Ofev®	15.01.2015	Boehringer Ingelheim	25.05.2020	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000
Lungenfibrose, idiopathische	bis zum Tod fortschreitende Vernarbung des Lungengewebes	Pirfenidon	Esbriet®	01.03.2011	H.A.C. Pharmaceuticals	02.03.2021	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	132.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Lungenhochdruck, arterieller	Bluthochdruck in den Lungenarterien	Macitentan	Opsumit®	20.12.2013	Janssen-Cilag	05.12.2023	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	79.000
Lungenhochdruck, arterieller	Bluthochdruck in den Lungenarterien	Ambrisentan	Volibris®	21.04.2008	GlaxoSmithKline	24.04.2018	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	89.000
Lungenhochdruck, arterieller	Bluthochdruck in den Lungenarterien	Sitaxentan	Thelin®	10.08.2006	Pfizer	01.01.2011	Rücknahme der Zulassung wegen möglicher Leberschäden	82.000
Lungenhochdruck, arterieller	Bluthochdruck in den Lungenarterien	Sildenafil	Revatio®	28.10.2005	Upjohn	04.11.2015	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Lungenhochdruck, arterieller	Bluthochdruck in den Lungenarterien	Iloprost	Ventavis®	16.09.2003	Bayer	01.09.2013	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); 2020 Marktrücknahme	97.000
Lungenhochdruck, arterieller	Bluthochdruck in den Lungenarterien	Bosentan	Tracleer®	15.05.2002	Janssen-Cilag	01.05.2012	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	95.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Lungenhochdruck, chronisch thromboembolischer	chronisch-thromboembolischer Bluthochdruck in der Lunge	Riociguat	Adempas®	27.03.2014	Bayer	14.06.2022	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	89.000
Lungenkrebs, kleinzellig (SCLC)	Krebs der endokrinen Zellen in der Lungenschleimhaut	Serplulimab	Hetronifly®	03.02.2025	Accord	09.04.2026	Ausweitung der Zulassung auf größere Indikationen	1.200
Lymphom, anaplastisches großzelliges	Krebs des Lymphsystems	Brentuximab Vedotin	Adcetris®	25.10.2012	Takeda	20.06.2024	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	8.500
Lymphom, follikuläres	übermäßige Vermehrung von B-Zellen und deren Ansammlung in Lymphknoten	Obinutuzumab	Gazyvaro®	13.06.2016	Roche	22.10.2025	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	178.000
Magenkrebs	Krebs im Magen und am Übergang zur Speiseröhre	Ramucirumab	Cyramza®	19.12.2014	Lilly	31.12.2015	Erweiterung der Indikation auf nicht-seltene Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	176.000
Mantelzelllymphom	Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen (B-Lymphozyten)	Lenalidomid	Revlimid®	01.07.2016	Celgene	12.12.2019	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	27.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Mantelzelllymphom	Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen (B-Lymphozyten)	Ibrutinib	Imbruvica®	21.10.2014	Janssen	13.10.2021	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	27.000
Mantelzelllymphom	Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen (B-Lymphozyten)	Temsirolimus	Torisel®	25.08.2009	Pfizer	25.08.2019	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	17.000
Merkelzellkarzinom	Hautkrebs, der in den Merkelzellen beginnt	Avelumab	Bavencio®	18.09.2017	Merck	07.10.2019	Erweiterung der Indikation auf nicht-seltene Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	18.000
Milzbrand (Prävention und Behandlung)	durch das Gift des Bakteriums B. anthracis hervorgerufene Entzündung	Obiltoxaximab	Nyxthracis (früher: Obiltoxaximab SFL)®	18.11.2020	SFL Pharmaceuticals	02.08.2024	Rückgabe der Zulassung	450
Morbus Crohn, perianale Fisteln	entzündlich veränderte Gänge (Fisteln) im Bereich der Analregion	Darvadstrocel	Alofisel®	23.03.2018	Takeda	13.12.2024	Rücknahme der Zulassung, weil neue Studiendaten Wirksamkeit nicht belegen konnten	155.000
Morbus Cushing	durch Tumor der Hypophyse verursachte stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut	Pasireotid	Signifor®	24.04.2012	Novartis	27.04.2022	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	20.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Morbus Fabry	vererbter Enzymmangel	Migalastat	Galafold®	26.05.2016	Amicus Therapeutics	31.05.2026	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	102.000
Morbus Fabry	vererbter Enzymmangel	Agalsidase alfa	Replagal®	03.08.2001	Takeda	01.08.2011	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	1.300
Morbus Fabry	vererbter Enzymmangel	Agalsidase beta	Fabrazyme®	01.08.2001	Genzyme	01.08.2011	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	1.300
Morbus Gaucher Typ 1	vererbter Enzymmangel	Velaglucerase alfa	VPRIV®	30.08.2010	Takeda	30.08.2022	Ablauf des erweiterten Orphan Drug-Status (12 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	13.000
Morbus Gaucher Typ 1	vererbter Enzymmangel	Miglustat	Zavesca®	20.11.2002	Advanz	01.11.2012	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	26.000
Morbus Pompe	gestörter Glykogenabbau durch Enzymmangel	Alglucosidase alfa	Myozyme®	29.03.2006	Genzyme	31.03.2016	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	6.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Morbus Waldenström	Lymphoplasmatisches Lymphom - ein Non-Hodgkin-Lymphom	Ibrutinib	Imbruvica®	01.07.2015	Janssen	13.10.2021	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
Morbus Wilson	Kupferansammlung in Leber und Hirnzellen	Zinkacetat dihydrat	Wilzin®	13.10.2004	Orphan Europe	31.10.2014	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	26.000
Mukopolysaccharidose Typ I	Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	Laronidase	Aldurazyme®	10.06.2003	Genzyme	01.06.2013	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	1.100
Mukopolysaccharidose Typ II\n (Hunter Syndrom)	Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	Idursulfase	Elaprase®	08.01.2007	Takeda	31.01.2017	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	850
Mukopolysaccharidose Typ IVA (Morquio A Syndrom)	Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	Elosulfase alfa	Vimizim®	28.04.2014	BioMarin Europe	02.10.2025	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	1.300
Mukopolysaccharidose Typ VI	Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	Galsulfase	Naglazyme®	24.01.2006	BioMarin Europe	26.01.2016	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	725

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Mukoviszidose	vererbte Störung des Wasser-/Salztransports	Ivacaftor	Kalydeco®	23.07.2012	Vertex	25.07.2022	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	30.000
Mukoviszidose	vererbte Störung des Wasser-/Salztransports	Mannitol	Bronchitol®	13.04.2012	Pharmaxis	18.04.2022	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	30.500
Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung	verursacht durch Pseudomonas aeruginosa	Tobramycin	TOBI Podhaler®	20.07.2011	Viatris	25.07.2023	Ablauf des erweiterten Orphan Drug-Status (12 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	56.000
Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung	verursacht durch Pseudomonas aeruginosa	Aztreonamlysin	Cayston®	21.09.2009	Gilead	23.10.2019	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	56.000
Multiples Myelom	Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Belantamab Mafodotin	Blenrep (Alt-Zulassung)®	25.08.2020	GlaxoSmithKline	23.02.2024	Rücknahme der Zulassung	178.000
Multiples Myelom	Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Daratumumab	Darzalex®	20.05.2016	Janssen	20.05.2026	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	177.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Multiples Myelom	Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Carfilzomib	Kyprolis®	19.11.2015	Amgen	23.11.2025	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	146.000
Multiples Myelom	Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Panobinostat	Farydak®	28.08.2015	zr pharma	01.09.2025	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	146.000
Multiples Myelom	Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Pomalidomid	Imnovid®	05.08.2013	Bristol Myers Squibb	08.08.2023	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	57.000
Multiples Myelom	Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Thalidomid	Thalidomide BMS®	16.04.2008	Bristol Myers Squibb	18.04.2018	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	53.000
Multiples Myelom	Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	Lenalidomid	Revlimid®	14.06.2007	Celgene	30.06.2017	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	56.000
Myelodysplastische, myeloproliferative Erkrankungen	Form von Blutkrebs (Überproduktion einer oder mehrerer Arten von Blutzellen)	Imatinib	Glivec®	01.11.2006	Novartis	01.04.2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	70.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Myelodysplastisches Syndrom (intermediate-1 + isolated deletion 5q abnormality)	bösartige Veränderung des Blutbildes, Leukämievorstufe	Lenalidomid	Revlimid®	01.06.2013	Celgene	12.12.2019	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000
Myelodysplastisches Syndrom (intermediate-2 + Hochrisiko)	bösartige Veränderung des Blutbildes, Leukämievorstufe	Azacitidin	Vidaza®	17.12.2008	Bristol Myers Squibb	22.12.2018	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	48.000 - 133.000
Myelofibrose, sekundär, post-essenzielle Thrombozythämie	krankhafte Veränderung des Knochenmarks nach essenzieller Thrombozythämie	Ruxolitinib	Jakavi®	23.08.2012	Novartis	17.02.2015	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	450
Narkolepsie mit Kataplexie	Exzessive Tagesschläfrigkeit, Kataplexie fragmentierter Nachtschlaf etc.	Natriumoxybat	Xyrem®	13.10.2005	UCB	01.01.2010	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	218.000
Nebenniereninsuffizienz	Hormonproduktion der Nebenniere unzureichend	Hydrocortison	Plenadren®	03.11.2011	Takeda	14.11.2021	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	197.000
Nebennierenrindenkarzinom		Mitotan	Lysodren®	28.04.2004	Esteve	01.04.2014	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	4.500

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Nephropathische Cystinose	Ansammlung des Proteins Cystin in Zellen (z. B. Leukozyten, Muskel- und Leberzellen)	Cysteamin	Procysbi®	06.09.2013	Chiesi Orphan	10.09.2023	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	4.300
Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndrom	Tag-Nacht-Rhythmus-Störungen bei Blinden	Tasimelteon	Hetlioz®	07.07.2015	Vanda	07.07.2025	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	146.000
Niemann Pick Typ C	neurodegenerative Erkrankung durch Lipidstoffwechselstörung	Miglustat	Zavesca®	28.01.2009	Advanz	28.01.2019	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	4.500
Nierenzellkarzinom		Everolimus	Afinitor®	03.08.2009	Novartis	01.07.2011	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	173.000
Nierenzellkarzinom		Temsirolimus	Torisel®	19.11.2007	Pfizer	21.11.2017	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	155.000
Nierenzellkarzinom		Sorafenib	Nexavar®	19.07.2006	Bayer	31.07.2016	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	133.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Nierenzellkarzinom		Sunitinib	Sutent®	19.07.2006	Pfizer	01.07.2008	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	155.000
Osteosarkom	Knochentumore, die sich vor allem in Wachstumsphasen bilden	Mifamurtid	Mepact®	23.03.2009	Esteve	23.03.2019	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	22.000
Ovarialkarzinom, Eileiterkarzinom oder primäres Peritonealkarzinom	Eierstockkrebs	Olaparib	Lynparza®	16.12.2014	AstraZeneca	16.03.2018	Erweiterung der Indikation auf nicht-seltene Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	132.000
Ovarialkarzinom, Eileiterkarzinom oder primäres Peritonealkarzinom, Weichteilsarkom	Eierstockkrebs, Krebs in den Weichteilen (Bindegewebe, Sehnen, Blutgefäße…)	Trabectedin	Yondelis®	30.10.2009	Pharma Mar	30.10.2019	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	104.000
Parkinson	fortgeschrittenes Parkinsonsyndrom mit schwerer motorischer Fluktuation	Carbidopa / Levodopa	Duodopa Gel®	30.06.2004	AbbVie	18.11.2014	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	104.000
Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie	Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen	Eculizumab	Soliris®	20.06.2007	Alexion	22.06.2019	Ablauf des erweiterten Orphan Drug-Status (12 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	4.500

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Plattenepithelkarzinom des Ösophagus		Tislelizumab	Tevimbra®	15.09.2023	BeiGene	06.10.2023	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	45.000
Polyposis, Familiäre adenomatöse	vererbte starke Neigung zur Darmpolypenbildung	Celecoxib	Onsenal®	17.10.2003	Pfizer	01.03.2011	Rücknahme der Zulassung, da als Zulassungsauflage geforderte Daten nicht geliefert werden konnten	13.000 - 44.000
Promyelozyten-Leukämie, akute	Blutkrebs v. a. bei jungen Leuten	Arsentrioxid	Trisenox®	05.03.2002	Teva	01.03.2012	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	35.000
Riesenzellastrozytom aufgrund tuberöser Sklerose, subependymal	durch die genetisch bedingte tuberöse Sklerose verursachter Hirntumor	Everolimus	Votubia®	02.09.2011	Novartis	06.09.2023	Ablauf des erweiterten Orphan Drug-Status (12 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	44.000
Schilddrüsenkarzinom, differenziert	follikulärer und papillärer Schilddrüsenkrebs	Lenvatinib	Lenvima®	28.05.2015	Eisai	01.08.2018	Erweiterung der Indikation auf nicht-seltene Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	133.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Schilddrüsenkarzinom, differenziert	follikulärer und papillärer Schilddrüsenkrebs	Sorafenib	Nexavar®	21.05.2014	Bayer	27.05.2024	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	53.000 - 172.000
Schilddrüsenkarzinom, medullär		Cabozantinib	Cometriq®	21.03.2014	Ipsen	26.03.2024	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	31.000
Schmerzen, schwer, chronisch	Injektion des Schmerzmittels in den Raum unterhalb der harten Hirnhaut	Ziconotid	Prialt®	21.02.2005	Riemser	24.02.2015	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	67.000
Sichelzellerkrankung	fehlerhafte rote Blutkörperchen transportieren keinen Sauerstoff	Voxelotor	Oxbryta®	14.02.2022	Pfizer	26.09.2024	Ruhen der Zulassung wegen Sicherheitsbedenken	89.000
Sichelzellerkrankung	fehlerhafte rote Blutkörperchen transportieren keinen Sauerstoff	Crizanlizumab	Adakveo®	28.10.2020	Novartis	03.08.2023	Rücknahme der Zulassung, da als Zulassungsauflage geforderte Studien haben Wirksamkeit nicht bestätigt	89.000
Sichelzellerkrankung	fehlerhafte rote Blutkörperchen transportieren keinen Sauerstoff	Hydroxycarbamid	Siklos®	29.06.2007	Theravia	05.07.2017	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	25.500

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Sklerodermie, systemische	Bildung überschüssigen Bindegewebes in der Haut und in inneren Organen	Bosentan	Tracleer®	01.06.2007	Janssen-Cilag	31.05.2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	57.000
Spinale Muskelatrophie Typ 1, 2, 3 oder 1 bis 4 SMN2-Kopien	Muskelabbau durch fehlendes bzw. nicht aussreichend produziertes SMN-Protein	Risdiplam	Evrysdi®	26.03.2021	Roche	04.09.2023	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	18.000
Stammzelltransplantation, hämatopoetische, haploidentisch (Begleittherapie)	Begleittherapie bei Transplantation blutbildender Stammzellen bei Krebspatienten	Nalotimagen Carmaleucel	Zalmoxis®	18.08.2016	MolMed	09.10.2019	Rückgabe der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen	14.000
Stammzelltransplantation, hämatopoetische, hepatische venookklusive Erkrankung	Zerstörung kleiner Blutgefäße der Leber durch Transplantation	Defibrotid	Defitelio®	18.10.2013	Gentium	23.10.2023	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	3.000
Stammzelltransplantation, hämatopoetische (Vorbereitung)	Vorbereitung auf bestimmte Stammzell-Transplantationen	Thiotepa	Tepadina®	17.03.2010	Adienne	17.03.2020	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	27.000
Stammzelltransplantation, hämatopoetische (Vorbereitung)	Vorbereitung auf bestimmte Stammzell-Transplantationen	Busulfan	Busilvex®	09.07.2003	Pierre Fabre	01.07.2013	Rückgabe der Zulassung nach Eintritt von Generika in den Markt	26.500

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Stammzelltransplantation (Mobilisierung von Knochenmarks-Stammzellen)	Vorbereitung bestimmter Stammzelltransplantationen	Plerixafor	Mozobil®	04.08.2009	Genzyme	04.08.2021	Ablauf des erweiterten Orphan Drug-Status (12 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	43.500
Thrombozythämie	Blutbildstörung mit stark erhöhter Thrombozytenzahl Wegen erhöhter Thrombozytenzahl besteht erhöhte Neigung zu arteriellen Thrombosen und damit zu Schlaganfall, Herzinfarkt und Verschluss der Arterien in den Extremitäten.	Anagrelid	Xagrid®	16.11.2004	Takeda	30.11.2016	Ablauf des erweiterten Orphan Drug-Status (12 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	109.000
Transthyretin-Amyloidose mit Polyneuropathie	Ansammlung von Proteinen (Transthyretine) in Organen	Tafamidis	Vyndaqel®	16.11.2011	Pfizer	18.11.2021	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	4.350
Tuberkulose		Paraaminosalicylsäure	Granupas®	07.04.2014	Eurocept International	09.04.2024	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); 2025 Marktrücknahme	62.000
Tuberkulose		Bedaquilin	Sirturo®	05.03.2014	Janssen-Cilag	07.03.2024	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	87.000
Tuberkulose, multiresistent		Delamanid	Deltyba®	28.04.2014	Otsuka	30.04.2026	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	89.000

Indikation	Erläuterung	Wirkstoff	Arzneimittel	Zulassung	Firma	Orphan-Status beendet	Grund	Betroffene in der EU
Tyrosinämie Typ I	vererbter Defekt im Tyrosin-Stoffwechsel	Nitisinon	Orfadin®	21.02.2005	Swedish Orphan Biovitrum	01.02.2015	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	4.500
T-Zell-Leukämie, akute lymphoblastische, T-Zell-Lymphom, lymphoblastisches	Blutkrebs (häufig Kinder betroffen)	Nelarabin	Atriance®	22.08.2007	Novartis	24.08.2017	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	48.000
T-Zell-Lymphom, kutan	Krebs des Lymphsystems	Brentuximab Vedotin	Adcetris®	01.12.2017	Takeda	20.06.2024	Verzicht des Sponsors auf den Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen	89.000
Verbrennungen, tiefe	Entfernung des Verbrennungsschorfs (Eschar) bei tiefen thermischen Verletzungen	Proteolytische Enzyme aus Bromelain	NexoBrid®	18.12.2012	MediWound	20.12.2022	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	43.500
Weichteilsarkom	Krebs in den Weichteilen (Bindegewebe, Sehnen, Blutgefäße...)	Olaratumab	Lartruvo®	09.11.2016	Lilly	19.07.2019	Rücknahme der Zulassung; neue Daten haben Wirksamkeit nicht belegt	133.000
Weichteilsarkom	Krebs in den Weichteilen (Bindegewebe, Sehnen, Blutgefäße...)	Trabectedin	Yondelis®	17.09.2007	Pharma Mar	30.09.2017	Ablauf des Orphan Drug-Status (10 Jahre); Medikament weiterhin zugelassen	27.000