

Orphan-Arzneimittel nach Indikationen

Gemäß der Verordnung (EG) 141/2000 zu Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten zugelassene Präparate: 158

Derzeit sind in der Europäischen Union die in der nachfolgenden Tabelle genannten 158 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 |
| Ahornsiruperkrankung Enzymdefekt, durch den bestimmte Aminosäuren nicht abgebaut werden können | Aminosäuren | Maapliv® | Jul 2025 | Recordati | 4.500 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|-------------------------------|--------------|-----------|------------------------|------------------------|
| Akanthamöben-Keratitis Hornhautentzündung durch Amöben-Infektion | Polihexanid | Akantior® | Aug 2024 | SIFI | 4500 |
| Alpha-Mannosidose erbliche lysosomale Speicherkrankheit | Velmanase alfa | Lamzede® | Mrz 2018 | Chiesi Farmaceutici | 4.300 |
| Amyotrophe Lateralsklerose fortschreitende Degeneration der Bewegungsneuronen | Tofersen | Qalsody® | Mai 2024 | Biogen | 4.500 |
| Anämie bei myelodysplastischem Syndrom Erkrankung der blutbildenden Stammzellen im Knochenmark | Luspatercept | Reblozyl® | Jun 2020 | Bristol Myers Squibb | 89.000 |
| Anämie bei myelodysplastischem Syndrom Erkrankung der blutbildenden Stammzellen im Knochenmark | Imetelstat | Rytelo® | Mrz 2025 | Geron | 89.400 |
| 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 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|--------------------------------|--------------|-----------|----------------------|------------------------|
| 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 |
| Biliäres Karzinom Krebs der Gallenblase und des Gallengangs | Zanidatamab | ZiIhera® | Jun 2025 | Jazz Pharmaceuticals | 71.400 |
| B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL) Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin- Lymphome | Tisagen Lecleucel | Kymriah® | Aug 2018 | Novartis | 205.000 |
| B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL) Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin- Lymphome | Axicabtagen Ciloleucel | Yescarta® | Aug 2018 | Gilead | 205.000 |
| B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL) Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin- Lymphome | Tafasitamab | Minjuvi® | Aug 2021 | Incyte Biosciences | 178.000 |
| B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL) Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin- Lymphome | Polatuzumab Vedotin | Polivy® | Jan 2020 | Roche | 200.000 |
| B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL) Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin- Lymphome | Glofitamab | Columvi® | Jul 2023 | Roche | 205.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|-------------------------------|---------------------------|-----------|----------------------|------------------------|
| 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 |
| Cholangiokarzinom Krebs des Gallengangs | Ivosidenib | Tibsovo® | Mai 2023 | Laboratoires Servier | 58.000 |
| Cholangiokarzinom Krebs des Gallengangs | Pemigatinib | Pemazyre® | Mrz 2021 | Incyte Biosciences | 67.000 |
| Cholangitis, primäre biliäre entzündliche Veränderung der Gallenwege, Autoimmunerkrankung | Elafibranor | Iqirvo® | Sep 2024 | Ipsen | 21.800 |
| Cholangitis, primäre biliäre Schädigung der Gallengänge | Seladelpar | Lyvdelzi® (früher: Selade | Feb 2025 | Gilead | 174.000 |
| Cholestase, progressive familiäre intrahepatische Stau von Gallenflüssigkeit in den Gallengängen | Maralixibat | Livmarli® | Jun 2024 | Mirum | 2.700 |
| Cholestase, progressive familiäre intrahepatische gestörter Transport von Gallenflüssigkeit mit daraus folgender Leberschädigung | Odevixibat | Bylvay® | Jul 2021 | Ipsen | 1.300 |
| Cholestatischer Pruritus bei Alagille Syndrom Ansammlung von Gallensäure in der Leber, die Leberschäden und Juckreiz verursacht | Maralixibat | Livmarli® | Dez 2022 | Mirum | 13.400 |
| CMV-Erkrankung, Prävention und Behandlung Infektion, die bei immungeschwächten Personen zu Organschäden führen kann | Maribavir | Livtencity® | Nov 2022 | Takeda | 44.600 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|---------------------------------|--------------|-----------|----------------------|------------------------|
| 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-Reaktivierung oder - Erkrankung (Prophylaxe) bei Empfängern einer allogenen hämatopoetischen Stammzelltransplantation | Letermovir | Prevymis® | Jan 2018 | MSD Sharp & Dohme | 168.000 |
| Desmoidtumore eine Form des Weichteilsarkoms | Nirogacestat | Ogsiveo® | Aug 2025 | Springworks | 205.000 |
| 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 |
| Duchenne Muskeldystrophie Muskelschwund wegen Dystrophinmangel | Givinostat | Duvyzat® | Jun 2025 | ItaloFarmaco | 500 |
| Eierstock-, Eileiter-, Peritonealkarzinom Eierstockkrebs | Mirvetuximab Soravtansin | Elahere® | Nov 2024 | AbbVie | 25.200 |
| Eierstock-, Eileiter-, Peritonealkarzinom Tumore, die in den Eierstöcken beginnen und sich auf umliegendes Gewebe ausbreiten | Niraparib | Zejula® | Nov 2017 | GlaxoSmithKline | 190.000 |
| Epidermolysis bullosa, Behandlung von Hautwunden genetische Hauterkrankung, bei der sich einzelne Hautschichten voneinander trennen | Birkenrindenextrakt | Filsuvez® | Jun 2022 | Chiesi Farmaceutici | 27.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|-----------------------------------|--------------|-----------|--------------------------|------------------------|
| Epidermolysis bullosa, dystrophe Hautinstabilität aufgrund eines Gendefekts | Beremagene Geperpavec | Vyjuvek® | Apr 2025 | Krystal | 31.000 |
| 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 |
| Faktor X-Mangel Blutgerinnungsstörung | Humaner Gerinnungsfaktor X | Coagadex® | Mrz 2016 | Kedrion | 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 |
| Familiäres Chylomikronämie-Syndrom Störung des Fettstoffwechsels | Olezarsen | Tryngolza® | Sep 2025 | Swedish Orphan Biovitrum | 5.800 |
| 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 | Obinutuzumab | Gazyvaro® | Jun 2016 | Roche | 178.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|--------------------------------------|--------------|-----------|--------------------------------------|------------------------|
| 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 | Axicabtagen Ciloleucel | Yescarta® | Jun 2022 | Gilead | 218.000 |
| Friedreichs Ataxie fortschreitende Bewegungskoordinationsstörungen durch Gewebeverhärtungen im Rückenmark und Gehirn | Omaveloxolon | Skyclarys® | Feb 2024 | Biogen | 22.300 |
| Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore Tumor der neuroendokrinen Zellen in Pankreas und Darm | Lutetium (177Lu) Oxodotreotid | Lutathera® | Sep 2017 | Advanced Accelerator Applications | 71.000 |
| Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore, Diagnose Lokalisierung von Primärtumoren und deren Metastasen per PET | Edotreotid | Somakit TOC® | Dez 2016 | Advanced Accelerator Applications | 155.000 |
| Gastrointestinale Stromatumore (GIST) Sarkome des Magen-Darmgewebes | Avapritinib | Ayvakyt® | Sep 2020 | Blueprint Medicines | 130.000 |
| Gastrointestinale Stromatumore (GIST) Sarkome des Magen-Darmgewebes | Ripretinib | Qinlock® | Nov 2021 | Deciphera | 133.000 |
| Gliom, niedrig- und hochgradig maligne Hirntumor | Trametinib | Spexotras® | Jan 2024 | Novartis | 116.000 |
| Gliom, niedrig- und hochgradig 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 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|--|--------------|-----------|--------------------------|------------------------|
| Hämatologische Krebserkrankung mit erforderlicher Stammzelltransplantation vorgesehen, wenn für eine erforderliche Stammzelltransplantation keine anderen geeigneten Spenderzellen verfügbar sind | Dorocubice1 / nicht expandierte CD34-Zellen | Zemcelpro® | Aug 2025 | Cordex Biologics | 31.000 |
| Hämophilie A Faktor VIII-Mangel, Blutgerinnungsstörung | Valoctocogen Roxaparvovec | Roctavian® | Aug 2022 | BioMarin Europe | 35.700 |
| Hämophilie A Blutgerinnungsstörung; Mangel an Blutgerinnungsfaktor VIII | Efanesoctocog alfa | Altuvoc1® | Jun 2024 | Swedish Orphan Biovitrum | 35.700 |
| 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 |
| Hämophilie B Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung | Eftrenonacog alpha | Alprolix® | Mai 2016 | Swedish Orphan Biovitrum | 8.500 |
| Harnstoffzyklusstörung Harnstoffzyklusstörung aufgrund verschiedener Enzymmangelerkrankungen | Glycerolphenylbutyrat | Ravicti® | Nov 2015 | Immedica | 53.000 |
| Hepatitis D Leberentzündung; immer zusammen mit Hepatitis B | Bulevirtid | Hepcludex® | Jul 2020 | Gilead | 177.000 |
| Hereditäres Angioödem | Sebetralstat | Ekterly® | Sep 2025 | KalVista | 44.600 |
| 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 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|--|--------------|-----------|-------------|------------------------|
| 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 |
| Immunthrombozytopenie Immunsystem greift körpereigene Blutplättchen an | Rilzabrutinib | Wayrilz® | Dez 2025 | Sanofi | 134.000 |
| Kälteagglutinin-Krankheit Immunsystem zerstört die roten Blutkörperchen | Sutimlimab | Enjaymo® | Nov 2022 | Recordati | 116.000 |
| Karzinoid-Syndrom Krebs in Hormon-produzierenden Zellen | Telotristat | Xermelo® | Sep 2017 | Ipsen | 31.000 |
| Keratitis, neurotrophe degenerative Erkrankung der Hornhaut des Auges | Cenegermin | Oxervate® | Jul 2017 | Dompé | 185.500 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|---------------------------------|--------------|-----------|----------------------|------------------------|
| Keratokonjunktivitis, vernale chronische schwere allergische Entzündung des Augenlids | Ciclosporin | Verkazia® | Jul 2018 | Santen 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 |
| 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 |
| Leukämie, akute lymphatische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen | Tisagen Lecleucel | Kymriah® | Aug 2018 | Novartis | 53.500 |
| Leukämie, akute lymphatische Krebs der B-Zell-Vorläufer | Brexucabtagen Autoleucel | Tecartus® | Sep 2022 | Kite | 62.000 |
| Leukämie, akute lymphatische akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs) | Blinatumomab | Blincyto® | Nov 2015 | Amgen | 79.500 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|---------------------------------|---------------------|------------------|----------------------|--------------------------------|
| Leukämie, akute lymphatische akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs) | Inotuzumab Ozogamicin | Besponsa® | Jun 2017 | Pfizer | 17.000 |
| Leukämie, akute myeloische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen | Daunorubicin / Cytarabin | Vyxeos Liposomal® | Aug 2018 | Jazz Pharmaceuticals | 44.000 |
| Leukämie, akute myeloische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen | Gilteritinib | Xospata® | Okt 2019 | Astellas | 62.000 |
| Leukämie, akute myeloische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen | Ivosidenib | Tibsovo® | Mai 2023 | Laboratoires Servier | 49.000 |
| 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 | Glasdegib | Daurismo® | Jun 2020 | Pfizer | 58.000 |
| Leukämie, chronisch myeloische Blutkrebs mit verkürztem Chromosom 22 | Asciminib | Scemblix® | Aug 2022 | Novartis | 62.500 |
| 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 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|---------------------------------|-------------------|-----------|----------------------|------------------------|
| 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 |
| 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 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|---|--------------|-----------|----------------------|------------------------|
| 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 vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports | Deutivacaftor / Tezacaftor / Vanzacaftor | Alyftrek® | Jun 2025 | Vertex | 44.600 |
| Mukoviszidose vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports | Tezacaftor / Ivacaftor | Symkevi® | Okt 2018 | Vertex | 41.500 |
| Mukoviszidose vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports | Ivacaftor / Tezacaftor / Elexacaftor | Kaftrio® | Aug 2020 | Vertex | 45.000 |
| Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen | Daratumumab | Darzalex® | Mai 2016 | Janssen | 177.000 |
| Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen | Idecabtagen Vicleucel | Abecma® | Aug 2021 | Bristol Myers Squibb | 205.000 |
| Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen | Talquetamab | Talvey® | Aug 2023 | Janssen | 192.000 |
| Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen | Ixazomib | Ninlaro® | Nov 2016 | Takeda | 177.000 |
| Multiples Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen | Ciltacabtagene Autoleucel | Carvykti® | Mai 2022 | Janssen | 205.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|---------------------------|--------------|-----------|----------------------|------------------------|
| Myasthenia gravis, generalisierte Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden | Rozanolixizumab | Rystiggo® | Jan 2024 | UCB | 89.000 |
| Myasthenia gravis, generalisierte Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden | Eculizumab | Soliris® | Aug 2017 | Alexion | 165.000 |
| Myasthenia gravis, generalisierte Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden | Efgartigimod alpha | Vyvgart® | Aug 2022 | argenx | 88.900 |
| 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 |
| Myelofibrose, sekundär, post- Polycythaemia vera krankhafte Veränderung des Knochenmarks nach einer Polycythaemia vera | Fedratinib | Inrebic® | Feb 2021 | Bristol Myers Squibb | 7.000 |
| Myotonie ererbte Störung der Entspannung von Muskeln, die mit Schmerzen und Steifigkeit einhergeht | Mexiletin | Namuscla® | Dez 2018 | Lupin | 53.500 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|-------------------------|---------------------|-----------|------------------|---------------------|
| 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) Tumoren im Zusammenhang mit Neurofibromatose Typ 1 | Mirdametinib | Ezmekly® | Jul 2025 | Springworks | 133.800 |
| Neurofibromatose 1 (plexiforme Neurofibrome) gut- und bösartige Tumore der Haut und der Nerven | Selumetinib | Koselugo® | Jun 2021 | AstraZeneca | 134.000 |
| 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-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 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|---------------------------|--------------|-----------|--------------------------|------------------------|
| Oligodendrogliom / Astrozytom Hirntumor | Vorasidenib | Voranigo® | Sep 2025 | Laboratoires Servier | 116.000 |
| Ösophagitis, eosinophile Speiseröhrenentzündung durch Eosinophile (weiße Blutkörperchen) | Budesonid | Jorveza® | Jan 2018 | Dr. Falk Pharma | 137.000 |
| Pankreaskarzinom Krebs der Bauchspeicheldrüse | Irinotecan | Onivyde® | Okt 2016 | Laboratoires Servier | 71.000 |
| Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen | 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 |
| 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 | Sepiapterin | Sephience® | Jun 2025 | PTC Therapeutics | 84.700 |
| Phenylketonurie genetisch bedingte Störung des Abbaus des Proteins Phenylalanin | Pegvaliase | Palynziq® | Mai 2019 | BioMarin Europe | 86.000 |
| Pilzinfektion (Candidiasis), invasiv Pilzinfektion | Rezafungin | Rezzayo® | Dez 2023 | Mundipharma | 53.000 |
| Polyangiitis, mikroskopische Entzündung der kleinen Blutgefäße im Körper | Avacopan | Tavneos® | Jan 2022 | Vifor Pharma | 45.000 |
| Polyneuropathie, chronisch-entzündlich, demyelinisierend (CIDP) Immunvermittelte Nervenschädigung | Efgartigimod alpha | Vyvgart® | Jun 2025 | argenx | 45.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|--------------------------------|--------------|-----------|--------------|------------------------|
| 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 Typ 1 Muskelabbau durch fehlendes bzw. nicht ausreichend produziertes SMN-Protein | Onasemnogen Abeparvovec | Zolgensma® | Mai 2020 | Novartis | 18.000 |
| Spinale Muskelatrophie, 5q-assoziiert Erkrankung der Motorneuronen durch Mangel an Survival Motorneuron-Protein (SMN) | Nusinersen | Spinraza® | Mai 2017 | Biogen | 18.000 |
| Stammzelltransplantation; hämatopoetische (Konditionierungstherapie) Vorbereitung der Stammzelltransplantation bei verschiedenen Krebserkrankungen | Treosulfan | Trecondi® | Jun 2019 | Medac | 31.000 |
| Tenosynoviale Riesenzelltumore gutartige Wucherung in der Synovialschleimhaut der Sehnenscheiden | Vimseltinib | Romvimza® | Sep 2025 | Deciphera | 134.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|---------------------|--------------|-----------|---------------------------|------------------------|
| 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 Ansammlung von fehlgefaltetem Transthyretin in Organen | Vutrisiran | Amvuttra® | Sep 2022 | Alnylam | 80.000 |
| Transthyretin-Amyloidose, ererbte Einlagerung von Proteinen im Herzen und im Nervensystem | Patisiran | Onpattro® | Aug 2018 | Alnylam | 6.000 |
| Transthyretin-Amyloidose, ererbte oder Wildtyp Ansammlung von fehlgefaltetem Transthyretin in Organen | Tafamidis | Vyndaqel® | Feb 2020 | Pfizer | 134.000 |
| Tuberkulose Lungentuberkulose, multiresistent | Delamanid | Deltyba® | Apr 2014 | Otsuka | 89.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|-----------------------------|--------------------------|-----------|-----------------------|---------------------|
| 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 |
| T-Zell-Lymphom, kutan (Typ Mycosis fungoides) beides sind kutane T-Zell-Lymphome | Mogamulizumab | Poteligeo® | Nov 2018 | Kyowa Kirin | 116.000 |
| Verhinderung der Abstoßung von Nierentransplantaten | Imlifidase | Idefirix® | Aug 2020 | Hansa Biopharma | 31.000 |
| Wachstumshormonmangel unzureichende Ausschüttung von Wachstumshormon | Somatrogon | Ngenla® | Feb 2022 | Pfizer | 205.000 |
| Wachstumshormonmangel Mangel an Wachstumshormonen | Lonapegsomatropin | Skytrofa® (früher: Lonap | Jan 2022 | Ascendis | 218.500 |
| Wachstumshormonmangel 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 |
| Zellneoplasien, blastische plasmazytoide dendritische Blutkrebs (Überproduktion plasmazytoider dendritischer Zellen) | Tagraxofusp | Elzonris® | Jan 2021 | Stemline Therapeutics | 4.500 |

Arzneimittel mit früherem Orphan-Status

Die folgenden Medikamente besitzen den Orphan-Status nicht mehr; die meisten dieser Medikamente stehen aber nach wie vor zur Behandlung der seltenen Krankheiten, gegen die sie entwickelt worden sind, zur Verfügung.

Die Anzahl der Erkrankten entspricht der Angabe in der Zuerkennung des Orphan-Status auf der Webseite der EMA.

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|---|----------------------|---------------|---------------------|-----------|--------------------|---|---------------------|
| Akromegalie | Pegvisomant | Somavert® | Pfizer | Nov 2002 | Nov. 2012 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 27.000 |
| Akromegalie | Pasireotid | Signifor® | Novartis | Nov 2014 | Nov. 2024 | Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 88.000 |
| 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® (früh | 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 (photodynoamische 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 | Canakinumab | Ilaris® | Novartis | Okt 2009 | Dez. 2010 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 2.200 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|---|--------------------|---------------------|------------------|------------------|---------------------------|---|----------------------------|
| 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 |
| 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 |
| Eierstock-, Eileiter-, Peritonealkarzinom | Olaparib | Lynparza® | AstraZeneca | Dez 2014 | Mrz. 2018 | Erweiterung der Indikation auf nicht-seltene Erkrankung | 132.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|--|----------------------------|--------------|-------------------|-----------|--------------------|--|---------------------|
| Eierstockkrebs / Weichteilsarkom | Trabectedin | Yondelis® | Pharma Mar | Okt 2009 | Okt. 2019 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 104.000 |
| Eisenüberladung, chronisch | Deferasirox | Exjade® | Novartis | Aug 2006 | Aug. 2016 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 119.000 |
| Epilepsie, schwere myoklonische (Dravet's Syndrom) | Stiripentol | Diacomit® | Biocodex | Jan 2007 | Jan. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 17.000 |
| Erythropoetische Protoporphyrrie, 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 Pankreatitis-Schüben | Alipogen tiparvovec | 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 (GIST) | Imatinib | Glivec® | Novartis | Mai 2002 | Apr. 2012 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 2.500 |
| Gastrointestinale Stromatumore (GIST) | Sunitinib | Sutent® | Pfizer | Jul 2006 | Jul. 2008 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 13.000 |
| Gliom, malignes | 5-Aminolävulinsäure | Gliolan® | photonamic | Sep 2007 | Sep. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen | 44.000 |
| Haarzell-Leukämie | Cladribin | Litak® | Lipomed | Apr 2004 | Apr. 2014 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 157.000 |
| Haarzell-Leukämie | Moxetumomab Pasudotox | Lumoxiti® | AstraZeneca | Feb 2021 | Jul. 2021 | Rückgabe der Zulassung aus kommerziellen Gründen | 44.500 |
| 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 |
| Hyperphenylalaninämie bei Phenylketonurie und BH4-Mangel | Sapropterin | Kuvan® | BioMarin Europe | Dez 2008 | Dez. 2020 | Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 73.000 |
| Idiopathische thrombozytopenische Purpura | Eltrombopag | Revolade® | Novartis | Mrz 2010 | Dez. 2011 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 43.000 |
| Idiopathische thrombozytopenische Purpura | Romiplostim | Nplate® | Amgen | Feb 2009 | Feb. 2019 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen | 43.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|--|---------------------|-----------------|----------------------|-----------|--------------------|---|---------------------|
| 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 |
| Kurzdarmsyndrom | Teduglutid | Revestive ® | Takeda | Aug 2012 | Sep. 2024 | Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 19.000 |
| Lambert-Eaton-Myasthenisches Syndrom | Amifampridin | Firdapse (frühe | BioMarin Europe | Dez 2009 | Dez. 2019 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 4.500 |
| Lebersche ererbte Optikusneuropathie (LHON) | Idebenon | Raxone® | Santhera | Sep 2015 | Sep. 2025 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 8.500 |
| 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 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|-------------------------------------|--------------------------------|---------------------|-----------------------|------------------|---------------------------|--|----------------------------|
| Leukämie, akute lymphatische | Mercaptopurin | Xaluprine® | Lipomed | Mrz 2012 | Mrz. 2022 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 52.500 |
| Leukämie, akute lymphatische | Clofarabin | Evoltra® | Genzyme | Mai 2006 | Jun. 2016 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 17.500 |
| Leukämie, akute lymphatische | Ponatinib | Iclusig® | Incyte Biosciences | Jul 2013 | Jul. 2023 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 44.000 |
| Leukämie, akute lymphatische | Imatinib | Glivec® | Novartis | Sep 2006 | Apr. 2012 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 21.500 |
| Leukämie, akute myeloische | Histamin dihydrochlorid | Ceplene® | Laboratoire s 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, akute myeloische | Azacitidin | Vidaza® | Bristol Myers Squibb | Dez 2008 | Dez. 2018 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen | 87.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|---|---------------------|---------------------|----------------------|------------------|---------------------------|---|----------------------------|
| Leukämie, chronisch lymphatische | Ibrutinib | Imbruvica® | Janssen | Okt 2014 | Okt. 2021 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 132.000 |
| 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 | Ofatumumab | Arzerra® | Novartis | Apr 2010 | Feb. 2019 | Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen | 152.000 |
| Leukämie, chronisch lymphatische | Obinutuzumab | Gazyvaro® | Roche | Jul 2014 | Jul. 2024 | Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 133.000 |
| 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 | Dasatinib | Sprycel® | Bristol Myers Squibb | Nov 2006 | Nov. 2016 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen | 39.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|--|---|---------------------|----------------------|------------------|---------------------------|---|----------------------------|
| Leukämie, chronisch myeloische | Nilotinib | Tasigna® | Novartis | Nov 2007 | Nov. 2019 | Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 44.000 |
| Leukämie, chronisch myeloische | Imatinib | Glivec® | Novartis | Nov 2001 | Nov. 2011 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 40.000 |
| Limbusstammzelleninsuffizienz nach Verbrennung o. 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 | Sildenafil | Revatio® | Upjohn | Okt 2005 | Nov. 2015 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 44.000 |
| 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 | Macitentan | Opsumit® | Janssen-Cilag | Dez 2013 | Dez. 2023 | Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 79.000 |
| Lungenhochdruck, arterieller | Ambrisentan | Volibris® | GlaxoSmith Kline | Apr 2008 | Apr. 2018 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 89.000 |
| Lungenhochdruck, arterieller und chronisch thromboembolischer | Riociguat | Adempas® | Bayer | Mrz 2014 | Jun. 2022 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 89.000 |
| 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 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|---|------------------------|-----------------|---------------------|-----------|--------------------|---|---------------------|
| Mantelzell-Lymphom | Ibrutinib | Imbruvica® | Janssen | Okt 2014 | Okt. 2021 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 27.000 |
| Mantelzell-Lymphom | Temsirolimus | Torisel® | Pfizer | Aug 2009 | Aug. 2019 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 17.000 |
| Mantelzell-Lymphom | Lenalidomid | Revlimid® | Celgene | Jul 2016 | Dez. 2019 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status, nachdem dieser für Erstindikation abgelaufen war | 27.000 |
| 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 beta | Fabrazyme® | Genzyme | Aug 2001 | Aug. 2011 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 1.300 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|-----------------------------------|----------------------------|---------------------|---------------|------------------|---------------------------|---|----------------------------|
| Morbus Fabry | Agalsidase alfa | Replagal® | Takeda | 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 |
| 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 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|---|-----------------------|---------------------|-----------------|------------------|---------------------------|---|----------------------------|
| Mukopolysaccharidose Typ II (Hunter Syndrom) | Idursulfase | Elaprase® | Takeda | Jan 2007 | Jan. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 850 |
| Mukopolysaccharidose Typ VI | Galsulfase | Naglazyme® | BioMarin Europe | Jan 2006 | Jan. 2016 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 725 |
| Mukoviszidose | Ivacaftor | Kalydeco® | Vertex | Jul 2012 | Jul. 2022 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 30.000 |
| Mukoviszidose | Mannitol | Bronchitol® | Pharmaxis | Apr 2012 | Apr. 2022 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 30.500 |
| Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung | Tobramycin | TOBI Podhaler | Viartis | Jul 2011 | Jul. 2023 | Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 56.000 |
| Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung | Aztreonamlysin | Cayston® | Gilead | Sep 2009 | Okt. 2019 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 56.000 |
| Multiples Myelom | Carfilzomib | Kyprolis® | Amgen | Nov 2015 | Nov. 2025 | Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 146.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|--|-----------------------------|-------------------|----------------------|-----------|--------------------|---|---------------------|
| Multiples Myelom | Panobinostat | Farydak® | zr pharma | Aug 2015 | Sep. 2025 | Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 146.000 |
| Multiples Myelom | Belantamab Mafodotin | Blenrep (Alt-Zul) | GlaxoSmith Kline | Aug 2020 | Feb. 2024 | Rücknahme der Zulassung | 178.000 |
| Multiples Myelom | Thalidomid | Thalidomide BM | Bristol Myers Squibb | Apr 2008 | Apr. 2018 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 53.000 |
| Multiples Myelom | Pomalidomid | Imnovid® | Bristol Myers Squibb | Aug 2013 | Aug. 2023 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 57.000 |
| Multiples Myelom | 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 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|--|----------------------|---------------------|----------------------|------------------|---------------------------|--|----------------------------|
| 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 |
| Narkolepsie mit Kataplexie | Natriumoxybat | Xyrem® | UCB | Okt 2005 | Jan. 2010 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 218.000 |
| 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 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|---|---------------------|---------------------|---------------|------------------|---------------------------|---|----------------------------|
| Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndrom | Tasimelteon | Hetlioz® | Vanda | Jul 2015 | Jul. 2025 | Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 146.000 |
| Niemann-Pick Typ C | Miglustat | Zavesca® | Janssen-Cilag | Jan 2009 | Jan. 2019 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 4.500 |
| Nierenzellkrebs | Everolimus | Afinitor® | Novartis | Aug 2009 | Jul. 2011 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 173.000 |
| Nierenzellkrebs | Sunitinib | Sutent® | Pfizer | Jul 2006 | Jul. 2008 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 155.000 |
| Nierenzellkrebs | Temsirolimus | Torisel® | Pfizer | Nov 2007 | Nov. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen | 155.000 |
| Nierenzellkrebs | Sorafenib | Nexavar® | Bayer | Jul 2006 | Jul. 2016 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen | 133.000 |
| Osteosarkom | Mifamurtid | Mepact® | Esteve | Mrz 2009 | Mrz. 2019 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 22.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|---|-----------------------------|---------------------|--------------|------------------|---------------------------|---|----------------------------|
| 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 |
| Primärer IGF-1-Mangel | Mecasermin | Increlex® | Esteve | 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 |
| Riesenchistiozytom aufgrund tuberöser Sklerose, subependymales | Everolimus | Votubia® | Novartis | Sep 2011 | Sep. 2023 | Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 44.000 |
| Schilddrüsenkarzinom, differenziert | Lenvatinib | Lenvima® | Eisai | Mai 2015 | Aug. 2018 | Erweiterung der Indikation auf nicht-seltene Erkrankung | 133.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|--|------------------------|--------------|---------------|-----------|--------------------|---|---------------------|
| Schilddrüsenkarzinom, differenziert | Sorafenib | Nexavar® | Bayer | Mai 2014 | Mai. 2024 | Ablauf des zehnjährigen Orphan Drug-Status für diese Indikation; Medikament weiterhin zugelassen | 53.000-172.000 |
| Schilddrüsenkarzinom, medulläres | Cabozantinib | Cometriq® | Ipsen | Mrz 2014 | Mrz. 2024 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen | 31.000 |
| Schmerzen, schwer, chronisch | Ziconotid | Prialt® | Riemser | Feb 2005 | Feb. 2015 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 67.000 |
| Sichelzellkrankheit | Voxelotor | Oxbryta® | Pfizer | Feb 2022 | Sep. 2024 | Ruhen der Zulassung wegen Sicherheitsbedenken | 89.000 |
| Sichelzellkrankheit | Crizanlizumab | Adakveo® | Novartis | Okt 2020 | Aug. 2023 | Marktrücknahme: als Zulassungsaufgabe geforderte Studien haben Wirksamkeit nicht bestätigt | 89.000 |
| Sichelzellkrankheit | 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 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|---|--------------------------------|--------------|--------------|-----------|--------------------|---|---------------------|
| 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 |
| 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 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|--|------------------------------|--------------|--------------------------|-----------|--------------------|--|---------------------|
| 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 | Paraaminosalicylsäure | Granupas® | Eurocept International | Apr 2014 | Apr. 2024 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 62.000 |
| Tuberkulose | Bedaquilin | Sirturo® | Janssen-Cilag | Mrz 2014 | Mrz. 2024 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen | 87.000 |
| 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 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|--|--|---------------------|--------------|------------------|---------------------------|---|----------------------------|
| 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 | Olaratumab | Lartruvo® | Lilly | Nov 2016 | Jul. 2019 | Marktrücknahme: neue Daten haben Wirksamkeit nicht belegt | 133.000 |
| Weichteilsarkom | Trabectedin | Yondelis® | Pharma Mar | Sep 2007 | Sep. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen | 27.000 |
| Zerebrale Adrenoleukodystrophie | Elivaldogen Autotemcel | Skysona® | bluebird bio | Jul 2021 | Nov. 2021 | Rückgabe der Zulassung aus firmenstrategischen Gründen, Medikament war nie im Markt | 22.000 |