

Orphan-Arzneimittel nach Indikationen

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

Derzeit sind in der Europäischen Union die in der nachfolgenden Tabelle genannten 110 Medikamente als Orphan Drugs zugelassen. Davon sind die einige Wirkstoffe gegen mehr als eine seltene Erkrankung angezeigt und tauchen deshalb in der Liste mehrfach auf. Die Erkrankten-Zahlen basieren auf dem Dokument der Zuerkennung des Orphan-Status der europäischen Zulassungsbehörde EMA. Datiert dieses vor 2011, wurde die Zahl auf die aktuelle Bevölkerungszahl der EU hochgerechnet (lt. Eurostat 514 Mio. Einwohner). Unterschiedliche Zahlen der Betroffenen in einem bestimmten Anwendungsgebiet sind in unterschiedlichen Alters- und Patientengruppen begründet.

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|------------------------|--------------|-----------|----------------------|---------------------|
| ADA-SCID schwerer kombinierter Immundefekt aufgrund von Adenosin-Desaminase-Mangel (ADA-SCID) | Autologe Zellen | Strimvelis® | Mai 2016 | Orchard Therapeutics | 2.000 |
| Akromegalie Riesenwuchs | Pasireotid | Signifor® | Nov 2014 | Novartis | 102.000 |
| Alpha-Mannosidose erbliche lysosomale Speicherkrankheit | Velmanase alfa | Lamzede® | Mrz 2018 | Chiesi Farmaceutici | 5.000 |
| Amyloidose Proteinablagerungen um Nerven und Körpergewebe | Tafamidis | Vyndaqel® | Nov 2011 | Pfizer | 5.040 |
| Angioödem, hereditäres z. T. beträchtliche Schwellung tieferer Gewebe der Haut und der Schleimhäute | Icatibant | Firazyr® | Jul 2008 | Shire | 128.300 |
| Angioödem, hereditäres, Prophylaxe z. T. beträchtliche Schwellung tieferer Gewebe der Haut und der Schleimhäute | Lanadelumab | Takhzyro® | Nov 2018 | Shire | 26.000 |
| Apnoe bei Frühgeborenen, primäre Aussetzen der Atmung über mehr als 20 Sekunden | Coffeincitrat | Peyona® | Jul 2009 | Chiesi Farmaceutici | 43.500 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|-------------------------------|---------------------|------------------|------------------------|--------------------------------|
| Aspergillose, invasive seltene lebensbedrohliche Pilzinfektion | Isavuconazol | Cresemba® | Okt 2015 | Basilea | 102.000 |
| Atypisches Hämolytisch-Urämisches Syndrom (aHUS) Erkrankung der kleinen Blutgefäße | Eculizumab | Soliris® | Nov 2011 | Alexion | 5.000 |
| Barraquer-Simons-Syndrom atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen | Metreleptin | Myalepta® | Jul 2018 | Aegerion | 120 |
| Berardinelli-Seip-Syndrom atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen | Metreleptin | Myalepta® | Jul 2018 | Aegerion | 500 |
| B-Zell-Lymphom, großes, diffuses Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome | Tisagen lecleucel | Kymriah® | Aug 2018 | Novartis | 235.500 |
| B-Zell-Lymphom, großes, diffuses Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome | Axicabtagen ciloleucel | Yescarta® | Aug 2018 | Gilead | 235.500 |
| B-Zell-Lymphom, primär, mediastinal, groß Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen, die sich häufig im Brustraum ansammeln | Axicabtagen ciloleucel | Yescarta® | Aug 2018 | Gilead | 25.500 |
| Castleman-Krankheit abnorme Vergrößerung eines oder mehrerer Lymphknotens, oft mit gutartigen Tumoren | Siltuximab | Sylvant® | Mai 2014 | Janssen-Cilag | 51.000 |
| Cholangitis, primäre biliäre Entzündung der Gallengänge, die auch das Lebergewebe angreift (bis zur Zirrhose) | Obeticholsäure | Ocaliva® | Dez 2016 | Intercept | 200.000 |
| Cushing Syndrom durch Tumor der Hypophyse verursachte stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut | Ketoconazol | Ketoconazole HRA® | Nov 2014 | Laboratoire HRA Pharma | 46.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|-----------------------------------|---------------------|------------------|-------------------|--------------------------------|
| Cushing Syndrom durch Tumor der Hypophyse verursachte stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut | Pasireotid | Signifor® | Apr 2012 | Novartis | 23.000 |
| Cystinablagerungen in der Hornhaut Überschüssiges Cystin wird nicht abgebaut | Mercaptamin | Cystadrops® | Jan 2017 | Orphan Europe | 5.000 |
| Cytomegalievirus-Reaktivierung oder -Erkrankung, Prophylaxe bei Empfängern einer allogenen hämatopoetischen Stammzelltransplantation | Letermovir | Prevymis® | Jan 2018 | MSD Sharp & Dohme | 195.000 |
| Duchenne Muskeldystrophie Progressiver symmetrischer Muskelabbau | Ataluren | Translarna® | Jul 2014 | PTC Therapeutics | 20.000 |
| Eierstockkrebs Tumore, die in den Eierstöcken beginnen und sich auf umliegendes Gewebe ausbreiten | Niraparib | Zejula® | Nov 2017 | Tesaro | 220.000 |
| Eierstockkrebs Rückfall, platinsensible Fälle | Trabectedin | Yondelis® | Okt 2009 | Pharma Mar | 121.000 |
| Erythropoetische Protoporphyrrie, Phototoxizität Genetischer Defekt bei der Blutbildung, der mit schmerzhafter Lichtunverträglichkeit einhergeht | Afamelanotid | Scenesse® | Dez 2014 | Clinuvel | 10.000 |
| Faktor X-Mangel Blutgerinnungsstörung | Humaner Gerinnungsfaktor X | Coagadex® | Mrz 2016 | Bioproducts | 51.000 |
| Familiäre partielle Lipodystrophie atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen | Metreleptin | Myalepta® | Jul 2018 | Aegerion | 1.500 |
| Gallensäuresynthesestörung infolge von Sterol-27-Hydroxylase-Mangel, AMACR-Mangel oder CYP7A1-Mangel | Cholsäure | Kolbam® | Apr 2014 | Retrophin Europe | 4.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|--|---------------------|------------------|-----------------------------------|--------------------------------|
| Gallensäuresynthesestörung infolge von 3β-Hydroxy-Δ ⁵ -C ₂₇ -steroid-Oxidoreductase-Mangel oder Δ ⁴ -3-Oxosteroid-5β-Reductase-Mangel | Cholsäure | Orphacol® | Sep 2013 | Laboratoires CTRS | 4.000 |
| Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore, Behandlung Tumor der neuroendokrinen Zellen in Pankreas und Darm | Lutetium (177Lu) oxodotreotid | Lutathera® | Sep 2017 | Advanced Accelerator Applications | 82.250 |
| Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore, Diagnose Lokalisierung von Primärtumoren und deren Metastasen per PET | Edotreotid | Somakit TOC® | Dez 2016 | Advanced Accelerator Applications | 180.000 |
| Hämophilie B Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung | Eftrenonacog alpha | Alprolix® | Mai 2016 | Swedish Orphan Biovitrum | 10.000 |
| Hämophilie B Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung | Albutrepenonacog | Idelvion® | Mai 2016 | CSL Behring | 10.000 |
| Harnstoffzyklusstörung Harnstoffzyklusstörung aufgrund verschiedener Enzymmangelerkrankungen | Glycerolphenylbutyrat | Ravicti® | Nov 2015 | Horizon Therapeutics | 61.500 |
| Hodgkin Lymphom Krebs des Lymphsystems | Brentuximab vedotin | Adcetris® | Okt 2012 | Takeda | 51.300 |
| Hyperammonämie aufgrund verschiedener seltener Erkrankungen Harnstoffzyklusstörung durch Enzymmangel | Carglumsäure | Carbaglu® | Mai 2011 | Orphan Europe | 3.000 |
| Hypoparathyreoidismus Unterfunktion der Nebenschilddrüse | Parathyroidhormon (rekombinant) | Natpar® | Apr 2017 | Shire | 180.000 |
| Hypophosphatämie, X-chromosomal, 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 | 30.720 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|----------------------------|---------------------|------------------|-----------------|--------------------------------|
| Hypophosphatasie Behandlung der Knochenmanifestationen der Krankheit | Asfotase alfa | Strensiq® | Aug 2015 | Alexion | 500 |
| Idiopathische thrombozytopenische Purpura Immunsystem-bedingte Verminderung der Blutplättchen | Romiplostim | Nplate® | Feb 2009 | Amgen | 50.000 |
| Karzinoid-Syndrom Krebs in Hormon-produzierenden Zellen | Telotristat | Xermelo® | Sep 2017 | Ipsen Pharma | 36.000 |
| Keratitis, neurotrophe degenerative Erkrankung der Hornhaut des Auges | Cenegermi | Oxervate® | Jul 2017 | Dompé | 215.000 |
| Keratokonjunktivitis, vernal chronische schwere allergische Entzündung des Augenlids | Ciclosporin | Verkazia® | Jul 2018 | Santen Oy | 165.000 |
| Kurzdarmsyndrom chronische Verdauungsstörungen nach chirurgischer Entfernung von Teilen des Darms | Teduglutid | Revestive ® | Aug 2012 | Shire | 22.000 |
| Lambert-Eaton-Myasthenisches Syndrom neurologisch bedingte Muskelschwäche | Amifampridin | Firdapse® | Dez 2009 | BioMarin Europe | 5.300 |
| Lawrence-Syndrom atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen | Metreleptin | Myalepta® | Jul 2018 | Aegerion | 50 |
| Lebersche ererbte Amaurose ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut | Voretigen neparovec | Luxturna® | Nov 2018 | Novartis | 10.000 |
| Lebersche ererbte Optikusneuropathie (LHON) akuter, meist schmerzloser Verlust der Sehkraft innerhalb weniger Monate | Idebenon | Raxone® | Sep 2015 | Santhera | 10.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|---------------------------------|---------------------|------------------|----------------------|--------------------------------|
| Leukämie, akute lymphatische Lymphozytenüberproduktion (häufigste Blutkrebsform bei Kindern) | Ponatinib | Iclusig® | Jul 2013 | Incyte Biosciences | 51.000 |
| Leukämie, akute lymphatische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen | Tisagen lecleucel | Kymriah® | Aug 2018 | Novartis | 61.000 |
| Leukämie, akute lymphatische akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs) | Blinatumomab | Blincyto® | Nov 2015 | Amgen | 92.000 |
| Leukämie, akute lymphatische Lymphozytenüberproduktion (häufigste Blutkrebsform bei Kindern) | Mercaptopurin | Xaluprine® | Mrz 2012 | Nova Laboratories | 61.000 |
| Leukämie, akute lymphatische akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs) | Inotuzumab ozogamicin | Besponsa® | Jun 2017 | Pfizer | 20.000 |
| Leukämie, akute myeloische Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion); mit FLT3-Mutation | Midostaurin | Rydapt® | Sep 2017 | Novartis | 35.500 |
| Leukämie, akute myeloische Blutkrebs; Myeloblastenüberproduktion | Gemtuzumab ozogamin | Mylotarg® | Apr 2018 | Pfizer | 51.000 |
| Leukämie, akute myeloische Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen | Daunorubicin / Cytarabin | Vyxeos® | Aug 2018 | Jazz Pharmaceuticals | 51.000 |
| Leukämie, akute myeloische Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion) | Decitabin | Dacogen® | Sep 2012 | Janssen-Cilag | 101.000 |
| Leukämie, chronisch lymphatische Blutkrebs (Lymphozytenüberproduktion) | Obinutuzumab | Gazyvaro® | Jul 2014 | Roche | 154.000 |
| Leukämie, chronisch lymphatische Blutkrebs (Lymphozytenüberproduktion) | Ibrutinib | Imbruvica® | Okt 2014 | Janssen | 153.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|--|---------------------|------------------|----------------------|--------------------------------|
| Leukämie, chronisch lymphatische Blutkrebs (Zulassung für Patienten, die refraktär auf Fludarabin und Alemtuzumab sind) | Ofatumumab | Arzerra® | Apr 2010 | Novartis | 176.000 |
| Leukämie, chronisch myeloische Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion) | Ponatinib | Iclusig® | Jul 2013 | Incyte Biosciences | 41.000 |
| Leukämie, chronisch myeloische Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion) | Nilotinib | Tasigna® | Nov 2007 | Novartis | 51.000 |
| Limbusstammzelleninsuffizienz nach Verbrennung / Verätzung des Auges | Lebendes (Hornhaut)Gewebeäquivalent | Holoclar® | Feb 2015 | Chiesi Farmaceutici | 15.000 |
| Lungenfibrose, idiopathische bis zum Tod fortschreitende Vernarbung des Lungengewebes | Nintedanib | Ofev® | Jan 2015 | Boehringer Ingelheim | 153.000 |
| Lungenfibrose, idiopathische bis zum Tod fortschreitende Vernarbung des Lungengewebes | Pirfenidon | Esbriet® | Mrz 2011 | Roche | 153.200 |
| Lungenhochdruck, arterieller und chronisch thromboembolischer pulmonaler (zur Lunge führend) arterieller und chronisch-thromboembolischer Bluthochdruck in der Lunge | Riociguat | Adempas® | Mrz 2014 | Bayer | 103.000 |
| Lungenhochdruck, pulmonale arterielle Hypertonie Bluthochdruck in den pulmonalen (zur Lunge führenden) Arterien | Macitentan | Opsumit® | Dez 2013 | Janssen-Cilag | 92.000 |
| Lymphom, anaplastisches großzelliges Krebs des Lymphsystems | Brentuximab vedotin | Adcetris® | Okt 2012 | Takeda | 10.100 |
| Lysosomaler saurer Lipase-Mangel Enzymmangel-Erkrankung | Sebelipase alfa | Kanuma® | Aug 2015 | Alexion | 10.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|---------------------------|---------------------|------------------|---------------------|--------------------------------|
| Mantelzell-Lymphom Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen (B-Lymphozyten) | Ibrutinib | Imbruvica® | Okt 2014 | Janssen | 31.000 |
| Mantelzell-Lymphom Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen (B-Lymphozyten) | Temsirolimus | Torisel® | Aug 2009 | Pfizer | 20.000 |
| Mantelzell-Lymphom Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen (B-Lymphozyten) | Lenalidomid | Revlimid® | Jul 2016 | Celgene | 31.000 |
| Mastozytose Anreicherung zu vieler Mastzellen (ein Typ weißer Blutkörperchen) in den Organen | Midostaurin | Rydapt® | Sep 2017 | Novartis | 46.500 |
| Merkelzellkarzinom Hautkrebs, der in den Merkelzellen beginnt | Avelumab | Bavencio® | Sep 2017 | Merck | 21.000 |
| Morbus Fabry vererbter Enzymmangel | Migalastat | Galafold® | Mai 2016 | Amicus Therapeutics | 118.000 |
| Morbus Gaucher Typ 1 vererbter Enzymmangel | Velaglucerase alfa | VPRIV® | Aug 2010 | Shire | 15.200 |
| Morbus Gaucher Typ 1 vererbter Enzymmangel | Eliglustat | Cerdelga® | Jan 2015 | Genzyme | 15.000 |
| Morbus Waldenström Lymphoplasmatisches Lymphom - ein Non- Hodgkin-Lymphom | Ibrutinib | Imbruvica® | Jul 2015 | Janssen | 5.000 |
| Mukopolysaccharidose Typ IVA Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms | Elosulfase alfa | Vimizim® | Apr 2014 | BioMarin Europe | 1.500 |
| Mukopolysaccharidose Typ VII, Sly Syndrom Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms | Vestronidase alfa | Mepsevii® | Aug 2018 | Ultragenyx | 35 |
| Mukormykose seltene lebensbedrohliche Pilzinfektion | Isavuconazol | Cresemba® | Okt 2015 | Basilea | 3.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|-------------------------------|---------------------|------------------|--------------|--------------------------------|
| Mukoviszidose Behandlung von Bronchospasmen durch Mukoviszidose | Mannitol | Bronchitol® | Apr 2012 | Pharmaxis | 35.300 |
| Mukoviszidose mit bestimmten Genmutationen vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports | Tezacaftor / Ivacaftor | Symkevi® | Okt 2018 | Vertex | 48.000 |
| Mukoviszidose mit bestimmten Mutationen im CFTR-Gen vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports | Ivacaftor | Kalydeco® | Jul 2012 | Vertex | 35.000 |
| Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung verursacht durch Pseudomonas aeruginosa | Aztreonamlysin | Cayston® | Sep 2009 | Gilead | 65.000 |
| Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung verursacht durch Pseudomonas aeruginosa | Tobramycin | TOBI Podhaler® | Jul 2011 | Novartis | 65.000 |
| Multiplres Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen | Ixazomib | Ninlaro® | Nov 2016 | Takeda | 205.000 |
| Multiplres Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen | Panobinostat | Farydak® | Aug 2015 | Novartis | 170.000 |
| Multiplres Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen | Daratumumab | Darzalex® | Mai 2016 | Janssen | 205.000 |
| Multiplres Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen | Carfilzomib | Kyprolis® | Nov 2015 | Amgen | 169.000 |
| Multiplres Myelom Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen | Pomalidomid | Imnovid® | Aug 2013 | Celgene | 66.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|-------------------------|---------------------|------------------|------------------|--------------------------------|
| Muskelatrophie, 5q-assoziierte spinale Erkrankung der Motorneuronen durch Mangel an Survival Motorneuron-Protein (SMN) | Nusinersen | Spinraza® | Mai 2017 | Biogen | 21.000 |
| Myasthenia gravis Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden | Eculizumab | Soliris® | Aug 2017 | Alexion | 191.000 |
| Mycosis fungoides oder Sézarny Syndrom beides sind kutane T-Zell-Lymphome | Mogamulizumab | Poteligeo® | Nov 2018 | Kyowa Kirin | 134.000 |
| Myelodysplastisches Syndrom böartige Veränderung des Blutbildes, Leukämievorstufe | Lenalidomid | Revlimid® | Jun 2013 | Celgene | 153.000 |
| Myotonie ererbte Störung der Entspannung von Muskeln, die mit Schmerzen und Steifigkeit einhergeht | Mexiletin | Namuscla® | Dez 2018 | Lupin | 62.000 |
| Narkolepsie mit oder ohne Kataplexie Exzessive Tagesschläfrigkeit | Pitolisant | Wakix® | Mrz 2016 | Bioprojet Pharma | 205.000 |
| Nebenniereninsuffizienz Hormonproduktion der Nebenniere unzureichend | Hydrocortison | Plenadren® | Nov 2011 | Shire | 228.000 |
| neonataler Diabetes mellitus | Glibenclamid | Amglidia® | Mai 2018 | AMMTek | 1.000 |
| Nephropathische Cystinose Ansammlung des Proteins Cystin in Zellen (z. B. Leukozyten, Muskel- und Leberzellen) | Cysteamin | Procysbi® | Sep 2013 | Chiesi Orphan | 5.000 |
| Neuroblastom (Hochrisiko) solider Tumor der Nervenzellen; häufig im Bauch oder an der Wirbelsäule | Dinutuximab beta | Qarziba® | Mai 2017 | Eusa Pharma | 51.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|--|-----------------------------|---------------------|------------------|-----------------|--------------------------------|
| Neuronale Ceroid-Lipofuszinose Mangel an Tripeptidyl-Peptidase 1, einem Enzym zum Proteinabbau in den Zellen | Cerliponase alfa | Brineura® | Mai 2017 | BioMarin Europe | 15.000 |
| Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndrom Tag-Nacht-Rhythmus-Störungen bei Blinden | Tasimelteon | Hetlioz® | Jul 2015 | Vanda | 169.000 |
| Ösophagitis, eosinophil Speiseröhrenentzündung durch Eosinophile (weiße Blutkörperchen) | Budesonid | Jorveza® | Jan 2018 | Dr. Falk Pharma | 159.000 |
| Osteosarkom Knochentumore, die sich vor allem in Wachstumsphasen bilden | Mifamurtid | Mepact® | Mrz 2009 | Takeda | 25.300 |
| Ovarial-, Eileiter, Peritonealkarzinom mit somatischer Mutation im BRAC1- und BRAC2-Gen | Rucaparib | Rubraca® | Mai 2018 | Clovis | 241.000 |
| Pankreaskarzinom Krebs der Bauchspeicheldrüse | Irinotecan | Onivyde® | Okt 2016 | Baxalta | 82.000 |
| Paroxysmale nächtliche Hämoglobulinurie Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen | Eculizumab | Soliris® | Jun 2007 | Alexion | 5.000 |
| Perianale Fisteln bei Morbus Crohn entzündlich veränderte Gänge (Fisteln) im Bereich der Analregion | Darvadstrocel | Alofisel® | Mrz 2018 | Takeda | 177.500 |
| Phenylketonurie und BH4-Mangel vererbter Defekt im Tyrosin-Stoffwechsel | Sapropterin | Kuvan® | Dez 2008 | BioMarin Europe | 85.000 |
| Polyneuropathie bei Transthyretin-Amyloidose Ansammlung von Proteinen (Transthyretine) in Organen | Inotersen | Tegsedi® | Jul 2018 | Ionis | 153.000 |
| Retinits pigmentosa ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut | Voretigen neparvovec | Luxturna® | Nov 2018 | Novartis | 153.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|--------------------------|---------------------|------------------|--------------|--------------------------------|
| Riesenaastrozytom aufgrund tuberöser Sklerose, subependymales durch die genetisch bedingte tuberöse Sklerose verursachter Hirntumor | Everolimus | Votubia® | Sep 2011 | Novartis | 51.000 |
| Schilddrüsenkarzinom, medulläres | Cabozantinib | Cometriq® | Mrz 2014 | Ipsen Pharma | 35.700 |
| Schilddrüsenkrebs differenzierte follikuläre / papilläre / Hürthle-Zell-Schilddrüsenkarzinome | Sorafenib | Nexavar® | Nov 2014 | Bayer | 61.000- 199.000 |
| Stammzelltransplantation, hämatopoetische, haploidentisch, Begleittherapie Begleittherapie bei Transplantation blutbildender Stammzellen bei Krebspatienten | Allogene T-Zellen | Zalmoxis® | Aug 2016 | MolMed | 16.000 |
| Stammzelltransplantation, hämatopoetische, hepatische venookklusive Erkrankung Zerstörung kleiner Blutgefäße der Leber durch Transplantation | Defibrotid | Defitelio® | Okt 2013 | Gentium | 3.600 |
| Stammzelltransplantation, hämatopoetische, Vorbereitung Vorbereitung auf bestimmte Stammzell-Transplantationen | Thiotepa | Tepadina® | Mrz 2010 | Adienne | 31.200 |
| Stammzelltransplantation, Mobilisierung von Knochenmarks-Stammzellen Vorbereitung bestimmter Stammzelltransplantationen | Plerixafor | Mozobil® | Aug 2009 | Genzyme | 50.500 |
| Thrombotische thrombozytopenische Purpura, erworbene Blutgerinnungsstörung | Caplacizumab | Cablivi® | Aug 2018 | Ablynx | 130.000 |
| Transthyretin-Amyloidose, ererbte Einlagerung von Proteinenn im Herzen und im Nervensystem | Patisiran | Onpattro® | Aug 2018 | Alnylam | 7.200 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Zulassung | Firma | Erkrankte in der EU |
|---|--|-------------------------|------------------|------------------------|--------------------------------|
| Tuberkulose | Paraaminosalicylsäure | Granupas® | Apr 2014 | Eurocept International | 72.000 |
| Tuberkulose Behandlung mehrfach resistenter Tuberkulose (MDR-TB) | Bedaquilin | Sirturo® | Mrz 2014 | Janssen-Cilag | 101.000 |
| Tuberkulose Lungentuberkulose, multiresistent | Delamanid | Deltyba® | Apr 2014 | Otsuka | 103.000 |
| T-Zell-Lymphom, kutan (Typ Mycosis fungoides) Krebs des Lymphsystems; Überproduktion von T-Zellen (weiße Blutkörperchen) | Chlormethin | Ledaga® | Mrz 2017 | Helsinn-Birex | 132.000 |
| T-Zell-Lymphom, kutanes Krebs des Lymphsystems | Brentuximab vedotin | Adcetris® | Dez 2017 | Takeda | 103.000 |
| Verbrennungen, tiefe Entfernung des Verbrennungsschorfs (Eschar) bei tiefen thermischen Verletzungen | proteolytische Enzyme aus Bromelain | NexoBrid® | Dez 2012 | MediWound | 50.600 |
| Weichteilsarkom Krebs in den Weichteilen (Bindegewebe, Sehnen, Blutgefäße...) | Olaratumab | Lartruvo® | Nov 2016 | Lilly | 154.000 |
| Xanthomatose, zerebrotendinöse Störung der Gallensaftbildung aufgrund eines Sterol-27-Hydroxylase Mangels | Chenodesoxycholsäure | Chenodesoxycholsäure Le | Apr 2017 | Leadiant | 10.000 |

Arzneimittel mit früherem Orphan-Status

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

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

| 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 weiter im Markt | 31.000 |
| Barrett-Ösophagus, photodynamische Therapie | Porfimer natrium | PhotoBarr® | Pinnacle Biologics | Mrz 2004 | Mai. 2012 | Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen | 184.600 |
| Chronische Eisenüberladung | Deferasirox | Exjade® | Novartis | Aug 2006 | Aug. 2016 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 138.400 |
| Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome | Canakinumab | Ilaris® | Novartis | Okt 2009 | Dez. 2010 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament im Markt | 2.500 |
| Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome | Rilonacept | Rilonacept Reg | Regeneron | Okt 2009 | Okt. 2012 | Rückgabe der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen; Medikament war nie im Markt | < 2.500 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|---|--------------------------|---------------------|---------------------|------------------|---------------------------|--|----------------------------|
| Dermatofibrosarcoma protuberans | Imatinib | Glivec® | Novartis | Sep 2006 | Apr. 2012 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 50.500 |
| Ductus arteriosus bei Frühgeborenen | Ibuprofen | Pedea® | Orphan Europe | Jul 2004 | Jul. 2014 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 107.000 |
| Eierstockkrebs | Olaparib | Lynparza® | AstraZeneca | Dez 2014 | Mrz. 2018 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 153.000 |
| Extravasation durch Anthracycline | Dexrazoxan | Savene® | Clinigen Healthcare | Jul 2006 | Jul. 2016 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt | 1.490 |
| Familiäre adenomatöse Polyposis | Celecoxib | Onsenal® | Pfizer | Okt 2003 | Mrz. 2011 | Marktrücknahme, da als Zulassungsaufgabe geforderte Daten nicht geliefert werden konnten | 15.000-51.000 |
| Familiäre Lipoproteinlipasedefizienz mit Pankreatitisschüben | Alipogen tiparvec | Glybera® | uniQure biopharma | Okt 2012 | Okt. 2017 | Keine Verlängerung der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen | 1.000 |
| Gastrointestinale Stromatumore | Imatinib | Glivec® | Novartis | Mai 2002 | Apr. 2012 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 3.100 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|---|-----------------------------|---------------------|---------------|------------------|---------------------------|--|----------------------------|
| Gastrointestinale Stromatumore | Sunitinib | Sutent® | Pfizer | Jul 2006 | Jul. 2008 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 15.400 |
| Gliom, malignes | 5-Aminolaevulinsäure | Gliolan® | Medac | Sep 2007 | Sep. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt | 51.200 |
| Haarzell-Leukämie | Cladribin | Litak® | Lipomed | Apr 2004 | Apr. 2014 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 182.000 |
| Homocystinurie | Betain | Cystadane® | Orphan Europe | Feb 2007 | Feb. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 8.300 |
| Hyperammonämie wegen primären N-acetylglutamat Synthasemangels | Carglumsäure | Carbaglu® | Orphan Europe | Jan 2003 | Jan. 2013 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt | 80 |
| Hypereosinophiles Syndrom / Chronische eosinophile Leukämie | Imatinib | Glivec® | Novartis | Nov 2006 | Apr. 2012 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 50.500 |
| Idiopathische thrombozytopenische Purpura | Eltrombopag | Revolade® | Novartis | Mrz 2010 | Dez. 2011 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament im Markt | 125.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|-------------------------------------|--------------------------------|---------------------|----------------------|------------------|---------------------------|--|----------------------------|
| Leberzellkrebs | Sorafenib | Nexavar® | Bayer | Okt 2007 | Okt. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt | 51.000 |
| Lennox-Gastaut-Syndrom | Rufinamid | Inovelon® | Eisai | Jan 2007 | Jan. 2019 | Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 51.000-102.000 |
| Leukämie, akute lymphatische | Dasatinib | Sprycel® | Bristol-Myers Squibb | Nov 2006 | Nov. 2016 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 36.700 |
| Leukämie, akute lymphatische | Clofarabin | Evoltra® | Genzyme | Mai 2006 | Jun. 2016 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 20.500 |
| Leukämie, akute lymphatische | Imatinib | Glivec® | Novartis | Sep 2006 | Apr. 2012 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 25.000 |
| Leukämie, akute myeloische | Histamin dihydrochlorid | Ceplene® | Noventia | Okt 2008 | Okt. 2018 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt | 34.000 |
| Leukämie, akute myeloische | Azacitidin | Vidaza® | Celgene | Dez 2008 | Dez. 2018 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt | 101.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|--|-------------------|---------------------|----------------------|------------------|---------------------------|---|----------------------------|
| Leukämie, chronisch lymphatische | Venetoclax | Venclyxto® | AbbVie | Dez 2016 | Okt. 2018 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 250.000 |
| Leukämie, chronisch myeloische | Dasatinib | Sprycel® | Bristol-Myers Squibb | Nov 2006 | Nov. 2016 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt | 45.000 |
| Leukämie, chronisch myeloische | Bosutinib | Bosulif® | Pfizer | Mrz 2013 | Mrz. 2018 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 81.000 |
| Leukämie, chronisch myeloische | Imatinib | Glivec® | Novartis | Nov 2001 | Nov. 2011 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 46.200 |
| Lungenhochdruck (pulmonale arterielle Hypertonie) | Sildenafil | Revatio® | Pfizer | Okt 2005 | Nov. 2015 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 51.200 |
| Lungenhochdruck (pulmonale arterielle Hypertonie) | Iloprost | Ventavis® | Bayer | Sep 2003 | Sep. 2013 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 112.000 |
| Lungenhochdruck (pulmonale arterielle Hypertonie) | Sitaxentan | Thelin® | Pfizer | Aug 2006 | Jan. 2011 | Marktrücknahme wegen möglicher Leberschäden | 95.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|--|---------------------------|---------------------|------------------|------------------|---------------------------|--|----------------------------|
| Lungenhochdruck (pulmonale arterielle Hypertonie) | Bosentan | Tracleer® | Janssen-Cilag | Mai 2002 | Mai. 2012 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt | 110.000 |
| Lungenhochdruck, pulmonale arterielle Hypertonie | Ambrisentan | Volibris® | GlaxoSmith Kline | Apr 2008 | Apr. 2018 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 103.000 |
| Magenkrebs | Ramucirumab | Cyramza® | Lilly | Dez 2014 | Dez. 2015 | Ausweitung der Indikation | 204.000 |
| Morbus Fabry | Agalsidase alfa | Replagal® | Shire | Aug 2001 | Aug. 2011 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 1.500 |
| Morbus Fabry | Agalsidase beta | Fabrazyme® | Genzyme | Aug 2001 | Aug. 2011 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 1.500 |
| Morbus Gaucher Typ 1 | Miglustat | Zavesca® | Janssen-Cilag | Nov 2002 | Nov. 2012 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt | 30.000 |
| Morbus Pompe | Alglucosidase alfa | Myozyme® | Genzyme | Mrz 2006 | Mrz. 2016 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 6.850 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|---|----------------------------|---------------------|-----------------|------------------|---------------------------|--|----------------------------|
| Morbus Wilson | Zinkacetat dihydrat | Wilzin® | Orphan Europe | Okt 2004 | Okt. 2014 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 30.000 |
| Mukopolysaccharidose Typ I | Laronidase | Aldurazyme® | Genzyme | Jun 2003 | Jun. 2013 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 1.250 |
| Mukopolysaccharidose Typ II (Hunter Syndrom) | Idursulfase | Elaprase® | Shire | Jan 2007 | Jan. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 1.000 |
| Mukopolysaccharidose Typ VI | Galsulfase | Naglazyme® | BioMarin Europe | Jan 2006 | Jan. 2016 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 840 |
| Multiples Myelom | Lenalidomid | Revlimid® | Celgene | Jun 2007 | Jun. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt | 65.000 |
| Multiples Myelom | Thalidomid | Thalidomide® | Celgene | Apr 2008 | Apr. 2018 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 61.100 |
| Myelodysplastische / Myeloproliferative Erkrankungen | Imatinib | Glivec® | Novartis | Nov 2006 | Apr. 2012 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 81.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|--|----------------------|---------------------|------------------------|------------------|---------------------------|---|----------------------------|
| Myelodysplastisches Syndrom | Azacitidin | Vidaza® | Celgene | Dez 2008 | Dez. 2018 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt | 56.500-154.000 |
| Myelofibrose | Ruxolitinib | Jakavi® | Novartis | Aug 2012 | Feb. 2015 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament im Markt | 500 |
| Myoklonische Epilepsie / Dravet's Syndrom | Stiripentol | Diacomit® | Biocodex | Jan 2007 | Jan. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 20.000 |
| Narkolepsie mit Kataplexie | Natriumoxybat | Xyrem® | UCB | Okt 2005 | Jan. 2010 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | |
| Nebennierenrindenzinom | Mitotan | Lysodren® | Laboratoire HRA Pharma | Apr 2004 | Apr. 2014 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 5.350 |
| Neuroblastom (Hochrisiko) | Dinutuximab | Unituxin® | United Therapeutics | Aug 2015 | Mrz. 2017 | Rückgabe der Zulassung durch Zulassungsinhaber | 56.000 |
| Niemann-Pick Typ C | Miglustat | Zavesca® | Janssen-Cilag | Jan 2009 | Jan. 2019 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 5.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|--------------------------------------|-----------------------------|---------------------|--------------|------------------|---------------------------|--|----------------------------|
| Nierenzellkrebs | Sorafenib | Nexavar® | Bayer | Jul 2006 | Jul. 2016 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt | 154.300 |
| Nierenzellkrebs | Temsirolimus | Torisel® | Pfizer | Nov 2007 | Nov. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiter im Markt | 179.200 |
| Nierenzellkrebs | Everolimus | Afinitor® | Novartis | Aug 2009 | Jul. 2011 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 201.000 |
| Nierenzellkrebs | Sunitinib | Sutent® | Pfizer | Jul 2006 | Jul. 2008 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 179.500 |
| Parkinson | Levodopa / Carbidopa | Duodopa® Gel | AbbVie | Jun 2004 | Nov. 2014 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 120.000 |
| Primärer IGF-1-Mangel | Mecasermin | Increlex® | Ipsen Pharma | Aug 2007 | Aug. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 100.800 |
| Promyelozyten-Leukämie, akute | Arsentrioxid | Trisenox® | Teva | Mrz 2002 | Mrz. 2012 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt. | 41.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|--|------------------------|---------------------|--------------------------|------------------|---------------------------|---|----------------------------|
| Schilddrüsenkrebs | Lenvatinib | Lenvima® | Eisai | Mai 2015 | Aug. 2018 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 154.000 |
| Schmerzen, schwer, chronisch | Ziconotid | Prialt® | Riemser | Feb 2005 | Feb. 2015 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 77.500 |
| Sichelzellanämie | Hydroxycarbamid | Siklos® | Addmedica | Jun 2007 | Jul. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 29.500 |
| Sklerodermie, systemische | Bosentan | Tracleer® | Janssen-Cilag | Jun 2007 | Mai. 2012 | Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status, nachdem dieser für die Erstindikation abgelaufen war | 66.000 |
| Stammzelltransplantation, hämatopoetische, Vorbereitung | Busulfan | Busilvex® | Pierre Fabre | Jul 2003 | Jul. 2013 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 30.700 |
| Thrombozythämie | Anagrelid | Xagrid® | Shire | Nov 2004 | Nov. 2016 | Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 126.000 |
| Tyrosinämie Typ I | Nitisinon | Orfadin® | Swedish Orphan Biovitrum | Feb 2005 | Feb. 2015 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 5.000 |

| Indikation | Wirkstoff | Arzneimittel | Firma | Zulassung | Ende Orphan-Status | Rücknahmegrund | Erkrankte in der EU |
|--|--------------------|---------------------|--------------|------------------|---------------------------|---|----------------------------|
| T-Zell-Leukämie, akute lymphoblastische und T-Zell-Lymphom, lymphoblastisches | Nelarabin | Atriance® | Novartis | Aug 2007 | Aug. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 56.000 |
| Viszerale Leishmaniose | Miltefosin | Impavido® | Paladin Labs | Dez 2004 | Dez. 2014 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiter im Markt | 4.500 |
| Weichteilsarkom | Trabectedin | Yondelis® | Pharma Mar | Sep 2007 | Sep. 2017 | Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiter im Markt | 31.000 |