

# Orphan-Arzneimittel nach Indikationen

Gemäß der Verordnung (EG) 141/2000 zu Arzneimitteln gegen seltene Krankheiten zugelassene Präparate: 137

Derzeit sind in der Europäischen Union die in der nachfolgenden Tabelle genannten 137 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
<b>Achondroplasie</b> Skelettdysplasie / Kleinwuchs mit gestörter Knorpel- und Knochenbildung	<b>Vosoritid</b>	Voxzogo®	Aug 2021	BioMarin Europe	17.900
<b>ADA-SCID</b> schwerer kombinierter Immundefekt aufgrund von Adenosin-Desaminase-Mangel (ADA-SCID)	<b>Autologe CD34+-Zellen, die für ADA kodieren</b>	Strimvelis®	Mai 2016	Orchard Therapeutics	1.800
<b>Aderhautmelanom</b> Krebs, der die Uvea/Aderhaut des Auges betrifft	<b>Tebentafusp</b>	Kimtrak®	Apr 2022	Immunocore	35.700
<b>Adipositas durch Leptin-Rezeptor-Mangel</b> genetisch bedingter Mangel an Bindestellen für das Hormon Leptin, das Sättigung signalisiert	<b>Setmelanotid</b>	Imcivree®	Jul 2021	Rhythm Pharmaceuticals	4.500
<b>Adipositas durch Proopiomelanocortin-Mangel</b> unzureichende Hungerkontrolle durch Mangel dieser Hormonvorstufe	<b>Setmelanotid</b>	Imcivree®	Jul 2021	Rhythm Pharmaceuticals	4.500
<b>Akromegalie</b> Riesenwuchs	<b>Pasireotid</b>	Signifor®	Nov 2014	Novartis	88.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Alpha-Mannosidose</b> erbliche lysosomale Speicherkrankheit	<b>Velmanase alfa</b>	Lamzedo®	Mrz 2018	Chiesi Farmaceutici	4.300
<b>Angioödem, hereditäres, Prophylaxe</b> z. T. beträchtliche Schwellung tieferer Gewebe der Haut und der Schleimhäute	<b>Lanadelumab</b>	Takhzyro®	Nov 2018	Takeda	22.500
<b>Aromatische-L-Aminosäure- Decarboxylase-Mangel</b> Störung des Signalaustauschs im Gehirn	<b>Eladocagen Exuparvovec</b>	Upstaza®	Jul 2022	PTC Therapeutics	450
<b>Aspergillose, invasive</b> seltene lebensbedrohliche Pilzinfektion	<b>Isavuconazol</b>	Cresemba®	Okt 2015	Basilea	88.000
<b>Atypisches Hämolytisch-Urämisches Syndrom (aHUS)</b> Erkrankung der kleinen Blutgefäße	<b>Eculizumab</b>	Soliris®	Nov 2011	Alexion	4.300
<b>Barraquer-Simons-Syndrom</b> atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	<b>Metreleptin</b>	Myalepta®	Jul 2018	Aegerion	100
<b>Berardinelli-Seip-Syndrom</b> atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	<b>Metreleptin</b>	Myalepta®	Jul 2018	Aegerion	450
<b>Beta-Thalassämie-bedingte Anämie</b> genetisch bedingte Fehlbildung der roten Blutkörperchen	<b>Luspatercept</b>	Reblozyl®	Jun 2020	Bristol Myers Squibb	44.000
<b>Blastische plasmazytoide dendritische Zellneoplasien</b> Blutkrebs (Überproduktion plasmazytoider dendritischer Zellen)	<b>Tagraxofusp</b>	Elzonris®	Jan 2021	Stemline Therapeutics	4.500
<b>B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL)</b> Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin- Lymphome	<b>Polatuzumab Vedotin</b>	Polivy®	Jan 2020	Roche	200.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL)</b> Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	<b>Tafasitamab</b>	Minjuvi®	Aug 2021	Incyte Biosciences	178.000
<b>B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL)</b> Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	<b>Axicabtagen Ciloleucel</b>	Yescarta®	Aug 2018	Gilead	205.000
<b>B-Zell-Lymphom, großes, diffuses (DLBCL)</b> Blutkrebs aus der Gruppe der Non-Hodgkin-Lymphome	<b>Tisagen Leclucel</b>	Kymriah®	Aug 2018	Novartis	205.000
<b>B-Zell-Lymphom, primär, mediastinal, groß</b> Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen, die sich häufig im Brustraum ansammeln	<b>Axicabtagen Ciloleucel</b>	Yescarta®	Aug 2018	Gilead	22.000
<b>Castleman-Krankheit</b> abnorme Vergrößerung eines oder mehrerer Lymphknotens, oft mit gutartigen Tumoren	<b>Siltuximab</b>	Sylvant®	Mai 2014	Janssen-Cilag	44.000
<b>Cholangiokarzinom</b> Krebs im Gallengang	<b>Pemigatinib</b>	Pemazyre®	Mrz 2021	Incyte Biosciences	67.000
<b>Cholangitis, primäre biliäre</b> Entzündung der Gallengänge, die auch das Lebergewebe angreift (bis zur Zirrhose)	<b>Obeticholsäure</b>	Ocaliva®	Dez 2016	Intercept	172.500
<b>Cushing Syndrom</b> durch Tumor der Hypophyse verursachte stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut	<b>Ketoconazol</b>	Ketoconazole HRA®	Nov 2014	Laboratoire HRA Pharma	40.000
<b>Cushing Syndrom</b> durch Tumor der Hypophyse verursachte stark überhöhter Cortisonspiegel im Blut	<b>Osilodrostat</b>	Isturisa®	Jan 2020	Novartis	31.000
<b>Cystinablagerungen in der Hornhaut</b> Überschüssiges Cystin wird nicht abgebaut	<b>Mercaptamin</b>	Cystadrops®	Jan 2017	Recordati	4.300

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Cytomegalievirus-Reaktivierung oder - Erkrankung (Prophylaxe)</b> bei Empfängern einer allogenen hämatopoetischen Stammzelltransplantation	<b>Letermovir</b>	Prevymis®	Jan 2018	MSD Sharp & Dohme	168.000
<b>Diabetes mellitus, neonataler</b>	<b>Glibenclamid</b>	Amglidia®	Mai 2018	AMMTek	850
<b>Dravet Syndrom</b> Form der Epilepsie	<b>Fenfluramin</b>	Fintepla®	Dez 2020	Zogenix ROI	20.000
<b>Dravet Syndrom</b> Form der Epilepsie	<b>Cannabidiol</b>	Epidyolex®	Sep 2019	GW Pharma	22.500
<b>Duchenne Muskeldystrophie</b> Progressiver symmetrischer Muskelabbau	<b>Ataluren</b>	Translarna®	Jul 2014	PTC Therapeutics	17.000
<b>Eierstockkrebs</b> Tumore, die in den Eierstöcken beginnen und sich auf umliegendes Gewebe ausbreiten	<b>Niraparib</b>	Zejula®	Nov 2017	Tesaro	190.000
<b>Epidermolysis bullosa, Behandlung von Hautwunden</b> genetische Hauterkrankung, bei der sich einzelne Hautschichten voneinander trennen	<b>Birkenrindenextrakt</b>	Filsuvez®	Jun 2022	Amryt	27.000
<b>Erythropoetische Protoporphyrrie, Phototoxizität</b> Genetischer Defekt bei der Blutbildung, der mit schmerzhafter Lichtunverträglichkeit einhergeht	<b>Afamelanotid</b>	Scenese®	Dez 2014	Clinuvel	8.500
<b>Faktor X-Mangel</b> Blutgerinnungsstörung	<b>Humaner Gerinnungsfaktor X</b>	Coagadex®	Mrz 2016	BPL Bioproducts	44.000
<b>Familiäre partielle Lipodystrophie</b> atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	<b>Metreleptin</b>	Myalepta®	Jul 2018	Aegerion	1.300

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Familiäres Chylomikronämie Syndrom</b> angeborene sehr hohe Triglycerid-Spiegel und Ablagerung von Triglyceriden an Organen	<b>Volanesorsen</b>	Waylivra®	Mai 2019	Akcea	4.300
<b>Follikuläres Lymphom</b>	<b>Mosunetuzumab</b>	Lunsumio®	Jun 2022	Roche	214.000
<b>Gallensäuresynthesestörung</b> infolge von 3β-Hydroxy-Δ5-C27-steroid- Oxidoreductase-Mangel oder Δ4-3- Oxosteroid-5β-Reductase-Mangel	<b>Cholsäure</b>	Orphacol®	Sep 2013	Laboratoires CTRS	3.500
<b>Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore (Behandlung)</b> Tumor der neuroendokrinen Zellen in Pankreas und Darm	<b>Lutetium (177Lu) Oxodotreotid</b>	Lutathera®	Sep 2017	Advanced Accelerator Applications	71.000
<b>Gastroenteropankreatische neuroendokrine Tumore (Diagnose)</b> Lokalisierung von Primärtumoren und deren Metastasen per PET	<b>Edotreotid</b>	Somakit TOC®	Dez 2016	Advanced Accelerator Applications	155.000
<b>Gastrointestinale Stromatumore</b> Sarkome des Magen-Darmgewebes	<b>Avapritinib</b>	Ayvakyat®	Sep 2020	Blueprint Medicines	130.000
<b>Gastrointestinale Stromatumore</b> Sarkome des Magen-Darmgewebes	<b>Ripretinib</b>	Qinlock®	Nov 2021	Deciphera	133.000
<b>Granulomatose mit Polyangiitis</b> Entzündung von Blutgefäßen, die zu deren Absterben führt	<b>Avacopan</b>	Tavneos®	Jan 2022	Vifor Pharma	72.000
<b>Hämophilie B</b> Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	<b>Eftrenonacog alpha</b>	Alprolix®	Mai 2016	Swedish Orphan Biovitrum	8.500
<b>Hämophilie B</b> Faktor IX-Mangel, Blutgerinnungsstörung	<b>Albutrepenonacog</b>	Idelvion®	Mai 2016	CSL Behring	8.500
<b>Harnstoffzyklusstörung</b> Harnstoffzyklusstörung aufgrund verschiedener Enzymmangelkrankungen	<b>Glycerolphenylbutyrat</b>	Ravicti®	Nov 2015	Immedica	53.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Hepatitis D</b> Leberentzündung; immer zusammen mit Hepatitis B	<b>Bulevirtid</b>	Hepcludex®	Jul 2020	Gilead	177.000
<b>Hodgkin Lymphom</b> Krebs des Lymphsystems	<b>Brentuximab Vedotin</b>	Adcetris®	Okt 2012	Takeda	44.000
<b>Hutchinson-Gilford-Progerie</b> frühzeitige, sehr schnelle Alterung	<b>Lonafarnib</b>	Zokinvy®	Jul 2022	Eiger Bio	450
<b>Hypoparathyreoidismus</b> Unterfunktion der Nebenschilddrüse	<b>Parathyroidhormon (rekombinant)</b>	Natpar®	Apr 2017	Shire	155.000
<b>Hypophosphatämie, X-chromosomale, mit röntgenologisch nachgewiesener Knochenerkrankung</b> erblich bedingte hohe FGF23-Werte, die einen Mangel an für den Knochenaufbau wichtigem Phosphat verursachen	<b>Burosumab</b>	Crysvita®	Feb 2018	Kyowa Kirin	26.500
<b>Hypophosphatasie</b> Behandlung der Knochenmanifestationen der Krankheit	<b>Asfotase alfa</b>	Strensiq®	Aug 2015	Alexion	450
<b>Immunglobulin A-Nephropathie, primäre</b> Ansammlung von fehlerhaftem Immunglobulin A in der Niere	<b>Budesonid</b>	Kinpeygo®	Jul 2022	Calliditas	178.500
<b>Karzinoid-Syndrom</b> Krebs in Hormon-produzierenden Zellen	<b>Telotristat</b>	Xermelo®	Sep 2017	Ipsen Pharma	31.000
<b>Keratitis, neurotrophe</b> degenerative Erkrankung der Hornhaut des Auges	<b>Cenegermín</b>	Oxervate®	Jul 2017	Dompé	185.500
<b>Keratokonjunktivitis, vernale</b> chronische schwere allergische Entzündung des Augenlids	<b>Ciclosporin</b>	Verkazia®	Jul 2018	Santen Oy	142.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Kurzdarmsyndrom</b> chronische Verdauungsstörungen nach chirurgischer Entfernung von Teilen des Darms	<b>Teduglutid</b>	Revestive ®	Aug 2012	Takeda	19.000
<b>Lawrence-Syndrom</b> atypische Verteilung des Körperfetts mit Stoffwechselkomplikationen	<b>Metreleptin</b>	Myalepta®	Jul 2018	Aegerion	45
<b>Lebersche ererbte Amaurose</b> ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut	<b>Voretigen Neparvovec</b>	Luxturna®	Nov 2018	Novartis	8.500
<b>Lebersche ererbte Optikusneuropathie (LHON)</b> akuter, meist schmerzloser Verlust der Sehkraft innerhalb weniger Monate	<b>Idebenon</b>	Raxone®	Sep 2015	Santhera	8.500
<b>Lennox-Gastaut-Syndrom</b> schwere Form der Epilepsie (bei Kindern)	<b>Cannabidiol</b>	Epidyolex®	Sep 2019	GW Pharma	89.000
<b>Leukämie, akute lymphatische</b> Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	<b>Tisagen Leclucel</b>	Kymriah®	Aug 2018	Novartis	53.500
<b>Leukämie, akute lymphatische</b> Lymphozytenüberproduktion (häufigste Blutkrebsform bei Kindern)	<b>Ponatinib</b>	Iclusig®	Jul 2013	Incyte Biosciences	44.000
<b>Leukämie, akute lymphatische</b> akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs)	<b>Blinatumomab</b>	Blinicyto®	Nov 2015	Amgen	79.500
<b>Leukämie, akute lymphatische</b> akute lymphatische B-Vorläufer-Leukämie (Blutkrebs)	<b>Inotuzumab Ozogamicin</b>	Besponsa®	Jun 2017	Pfizer	17.000
<b>Leukämie, akute myeloische</b> Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	<b>Glasdegib</b>	Daurismo®	Jun 2020	Pfizer	58.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Leukämie, akute myeloische</b> Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion)	<b>Decitabin</b>	Dacogen®	Sep 2012	Janssen-Cilag	87.000
<b>Leukämie, akute myeloische</b> Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	<b>Gilteritinib</b>	Xospata®	Okt 2019	Astellas	62.000
<b>Leukämie, akute myeloische</b> Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion); mit FLT3-Mutation	<b>Midostaurin</b>	Rydapt®	Sep 2017	Novartis	30.500
<b>Leukämie, akute myeloische</b> Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen	<b>Daunorubicin / Cytarabin</b>	Vyxeos Liposomal®	Aug 2018	Jazz Pharmaceuticals	44.000
<b>Leukämie, akute myeloische</b> Blutkrebs (Myeloblastenüberproduktion)	<b>Gemtuzumab Ozogamicin</b>	Mylotarg®	Apr 2018	Pfizer	44.000
<b>Leukämie, chronisch lymphatische</b> Blutkrebs (Lymphozytenüberproduktion)	<b>Obinutuzumab</b>	Gazyvaro®	Jul 2014	Roche	133.000
<b>Leukämie, chronisch myeloische</b> Blutkrebs (Granylozytenüberproduktion)	<b>Ponatinib</b>	Iclusig®	Jul 2013	Incyte Biosciences	35.000
<b>Limbusstammzelleninsuffizienz nach Verbrennung / Verätzung des Auges</b>	<b>Lebendes (Hornhaut) Gewebeäquivalent</b>	Holoclar®	Feb 2015	Holostem	13.500
<b>Lungenhochdruck, arterieller</b> Bluthochdruck in den pulmonalen (zur Lunge führenden) Arterien	<b>Macitentan</b>	Opsumit®	Dez 2013	Janssen-Cilag	79.000
<b>Lungenhochdruck, chronisch thromboembolischer</b> chronisch-thromboembolischer Bluthochdruck in der Lunge	<b>Treprostinil Natrium</b>	Trepulmix®	Apr 2020	SciPharm	45.000
<b>Lymphom, anaplastisches großzelliges</b> Krebs des Lymphsystems	<b>Brentuximab Vedotin</b>	Adcetris®	Okt 2012	Takeda	8.500



<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Lysosomaler saurer Lipase-Mangel</b> Enzymmangel-Erkrankung	<b>Sebelipase alfa</b>	Kanuma®	Aug 2015	Alexion	8.500
<b>Malaria, schwere Verläufe</b> Infektionskrankheit mit dem Risiko lebensbedrohlicher Komplikationen	<b>Artesunat</b>	Artesunat Amivas®	Nov 2021	Amivas	5.150
<b>Mantelzell-Lymphom</b> Blutkrebs - Überproduktion weißer Blutkörperchen (B-Lymphozyten)	<b>Brexucabtagen Autoleucel</b>	Tecartus®	Dez 2020	Kite	23.000
<b>Mastozytose</b> Anreicherung zu vieler Mastzellen (ein Typ weißer Blutkörperchen) in den Organen	<b>Midostaurin</b>	Rydapt®	Sep 2017	Novartis	40.000
<b>Metachromatische Leukodystrophie</b> durch Enzymmangel verursachte toxische Anlagerung von Fetten an Nervenzellen	<b>Atidarsagen Autotemcel</b>	Libmeldy®	Dez 2020	Orchard Therapeutics	400
<b>Milzbrand (Vorbeugung und Behandlung)</b> durch das Gift des Bakteriums B. anthracis hervorgerufene Entzündung	<b>Obiltoxaximab</b>	Obiltoxaximab SFL®	Nov 2020	SFL Pharmaceuticals	450
<b>Morbus Fabry</b> vererbter Enzymmangel	<b>Migalastat</b>	Galafold®	Mai 2016	Amicus Therapeutics	102.000
<b>Morbus Gaucher Typ 1</b> vererbter Enzymmangel	<b>Velaglucerase alfa</b>	VPRIV®	Aug 2010	Takeda	13.000
<b>Morbus Gaucher Typ 1</b> vererbter Enzymmangel	<b>Eliglustat</b>	Cerdelga®	Jan 2015	Genzyme	13.000
<b>Morbus Pompe</b>	<b>Avalglucosidase alpha</b>	Nexviadyme®	Jun 2022	Genzyme	44.000
<b>Mukopolysaccharidose Typ IVA</b> Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	<b>Elosulfase alfa</b>	Vimizim®	Apr 2014	BioMarin Europe	1.300
<b>Mukopolysaccharidose Typ VII, Sly Syndrom</b> Mangel eines Zucker spaltenden Enzyms	<b>Vestronidase alfa</b>	Mepsevii®	Aug 2018	Ultragenyx	30

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Mukormykose</b> seltene lebensbedrohliche Pilzinfektion	<b>Isavuconazol</b>	Cresamba®	Okt 2015	Basilea	2.500
<b>Mukoviszidose mit bestimmten F508del-Mutationen</b> vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports	<b>Ivacaftor / Tezacaftor / Elexacaftor</b>	Kaftrio®	Aug 2020	Vertex	45.000
<b>Mukoviszidose mit bestimmten Genmutationen</b> vererbte Störung des Wasser-/ Salztransports	<b>Tezacaftor / Ivacaftor</b>	Symkevi®	Okt 2018	Vertex	41.500
<b>Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung</b> verursacht durch Pseudomonas aeruginosa	<b>Tobramycin</b>	TOBI Podhaler®	Jul 2011	Mylan	56.000
<b>Multiples Myelom</b> Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	<b>Carfilzomib</b>	Kyprolis®	Nov 2015	Amgen	146.000
<b>Multiples Myelom</b>	<b>Ciltacabtagen Autotemcel</b>	Carvykti®	Mai 2022	Janssen	205.000
<b>Multiples Myelom</b> Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	<b>Daratumumab</b>	Darzalex®	Mai 2016	Janssen	177.000
<b>Multiples Myelom</b> Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	<b>Idecabtagen Vicleucel</b>	Abecma®	Aug 2021	Bristol Myers Squibb	205.000
<b>Multiples Myelom</b> Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	<b>Belantamab Mafodotin</b>	Blenrep®	Aug 2020	GlaxoSmithKline	178.000
<b>Multiples Myelom</b> Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	<b>Panobinostat</b>	Farydak®	Aug 2015	Novartis	146.000
<b>Multiples Myelom</b> Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	<b>Pomalidomid</b>	Imnovid®	Aug 2013	Bristol Myers Squibb	57.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Multiples Myelom</b> Knochenmarkskrebs - Überproduktion maligner Plasmazellen	<b>Ixazomib</b>	Ninlaro®	Nov 2016	Takeda	177.000
<b>Myasthenia gravis</b> Autoimmunerkrankung, bei der Muskelkontraktionen gehemmt werden	<b>Eculizumab</b>	Soliris®	Aug 2017	Alexion	165.000
<b>Mycosis fungoides oder Sézarny Syndrom</b> beides sind kutane T-Zell-Lymphome	<b>Mogamulizumab</b>	Poteligeo®	Nov 2018	Kyowa Kirin	116.000
<b>Myelodysplastisches Syndrom-bedingte Anämie</b> Erkrankung der blutbildenden Stammzellen im Knochenmark	<b>Luspatercept</b>	Reblozyl®	Jun 2020	Bristol Myers Squibb	89.000
<b>Myelofibrose, sekundär, post- Polycythaemia vera</b> krankhafte Veränderung des Knochenmarks nach einer Polycythaemia vera	<b>Fedratinib</b>	Inrebic®	Feb 2021	Bristol Myers Squibb	7.000
<b>Myelofibrose, primäre</b> krankhafte Veränderung des Knochenmarks	<b>Fedratinib</b>	Inrebic®	Feb 2021	Bristol Myers Squibb	13.000
<b>Myelofibrose, sekundäre, post- essenzielle Thrombozythämie</b> krankhafte Veränderung des Knochenmarks nach essenzieller Thrombozythämie	<b>Fedratinib</b>	Inrebic®	Feb 2021	Bristol Myers Squibb	7.000
<b>Myotonie</b> ererbte Störung der Entspannung von Muskeln, die mit Schmerzen und Steifigkeit einhergeht	<b>Mexiletin</b>	Namuscla®	Dez 2018	Lupin	53.500
<b>Narkolepsie mit oder ohne Kataplexie</b> Exzessive Tagesschläfrigkeit	<b>Pitolisant</b>	Wakix®	Mrz 2016	Bioprojet Pharma	177.000
<b>Nephropathische Cystinose</b> Ansammlung des Proteins Cystin in Zellen (z. B. Leukozyten, Muskel- und Leberzellen)	<b>Cysteamin</b>	Procysbi®	Sep 2013	Chiesi Orphan	4.300

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Neuroblastom (Hochrisiko)</b> solider Tumor der Nervenzellen; häufig im Bauch oder an der Wirbelsäule	<b>Dinutuximab beta</b>	Qarziba®	Mai 2017	Eusa Pharma	44.000
<b>Neurofibromatose 1 (plexiforme Neurofibrome)</b> gut- und bösartige Tumore der Haut und der Nerven	<b>Selumetinib</b>	Koselugo®	Jun 2021	AstraZeneca	134.000
<b>Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen</b> Entzündungserkrankungen, die vor allem Sehnerv und Rückenmark betreffen und schädigen	<b>Satralizumab</b>	Enspryng®	Jun 2021	Roche	18.000
<b>Neuromyelitis-optica-Spektrum-Erkrankungen</b> entzündliche Autoimmunerkrankungen, die v.a. Sehnerv, Rückenmark oder Hirnstamm betreffen	<b>Eculizumab</b>	Soliris®	Aug 2019	Alexion	18.000
<b>Neuronale Ceroid-Lipofuszinose</b> Mangel an Tripeptidyl-Peptidase 1, einem Enzym zum Proteinabbau in den Zellen	<b>Cerliponase alfa</b>	Brineura®	Mai 2017	BioMarin Europe	13.000
<b>Nicht-24-Stunden-Schlaf-Wach-Syndrom</b> Tag-Nacht-Rhythmus-Störungen bei Blinden	<b>Tasimelteon</b>	Hetlioz®	Jul 2015	Vanda	146.000
<b>Nicht-tuberkulöse mykobakterielle Lungeninfektionen</b> verursacht durch Mycobacterium avium Complex	<b>Amikacin</b>	Arikayce liposomal®	Okt 2020	Insmed	27.000
<b>Niemann Pick Typ A, B</b> Lysosomale Speichererkrankung durch Mangel an saurer Sphingomyelinase	<b>Olipudase alpha</b>	Xenpozyme®	Jun 2022	Genzyme	22.000
<b>Ösophagitis, eosinophile</b> Speiseröhrenentzündung durch Eosinophile (weiße Blutkörperchen)	<b>Budesonid</b>	Jorveza®	Jan 2018	Dr. Falk Pharma	137.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Pankreaskarzinom</b> Krebs der Bauchspeicheldrüse	<b>Irinotecan</b>	Onivyde®	Okt 2016	Laboratoires Servier	71.000
<b>Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie</b> Proteinmangel (CD 59) auf der Oberfläche der Blutzellen	<b>Pegcetacoplan</b>	Aspaveli®	Dez 2021	Swedish Orphan Biovitrum	17.500
<b>Perianale Fisteln bei Morbus Crohn</b> entzündlich veränderte Gänge (Fisteln) im Bereich der Analregion	<b>Darvadstrocel</b>	Alofisel®	Mrz 2018	Takeda	155.000
<b>Phenylketonurie</b> genetisch bedingte Störung des Abbaus des Proteins Phenylalanin	<b>Pegvaliase</b>	Palynziq®	Mai 2019	BioMarin Europe	86.000
<b>Polyangiitis, mikroskopische</b> Entzündung der kleinen Blutgefäße im Körper	<b>Avacopan</b>	Tavneos®	Jan 2022	Vifor Pharma	45.000
<b>Porphyrie, akute hepatische</b> Enzymdefekt, der eine Ansammlung des Porphyrins Häm im Körper verursacht	<b>Givosiran</b>	Givlaari®	Mrz 2020	Alnylam	4.300
<b>Primäre Hyperoxalurie Typ 1</b> fehlerhaftes Enzym verursacht Oxalsäureansammlung im Körper	<b>Lumasiran</b>	Oxlumo®	Nov 2020	Alnylam	2.250
<b>Progressive familiäre intrahepatische Cholestase</b> gestörter Transport von Gallenflüssigkeit mit daraus folgender Leberschädigung	<b>Odevixibat</b>	Bylvay®	Jul 2021	Albireo	1.300
<b>Retinits pigmentosa</b> ererbte Netzhautdystrophie - degenerative Veränderung der Netzhaut	<b>Voretigen Neparvovec</b>	Luxturna®	Nov 2018	Novartis	132.000
<b>Riesenzastrozytom aufgrund tuberöser Sklerose, subependymales</b> durch die genetisch bedingte tuberöse Sklerose verursachter Hirntumor	<b>Everolimus</b>	Votubia®	Sep 2011	Novartis	44.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Schilddrüsenkarzinom, medulläres</b>	<b>Cabozantinib</b>	Cometriq®	Mrz 2014	Ipsen Pharma	31.000
<b>Schilddrüsenkrebs, differenziert</b> differenzierte follikuläre / papilläre / Hürthle- Zell-Schilddrüsenkarzinome	<b>Sorafenib</b>	Nexavar®	Nov 2014	Bayer	53.000- 172.000
<b>Sichelzellkrankheit (Behandlung hämolytischer Anämie)</b> fehlerhafte rote Blutkörperchen transportieren keinen Sauerstoff	<b>Voxelotor</b>	Oxbryta®	Feb 2022	Global Blood Therapeutics	89.000
<b>Sichelzellkrankheit (Prävention vasookklusiver Krisen)</b> fehlerhafte rote Blutkörperchen transportieren keinen Sauerstoff und blockieren die Blutgefäße	<b>Crizanlizumab</b>	Adakveo®	Okt 2020	Novartis	89.000
<b>Spinale Muskelatrophie Typ 1</b> Muskelabbau durch fehlendes bzw. nicht ausreichend produziertes SMN-Protein	<b>Onasemnogen Abeparvovec</b>	Zolgensma®	Mai 2020	Avexis	18.000
<b>Spinale Muskelatrophie Typ 1, 2, 3 oder 1 bis 4 SMN2-Kopien</b> Muskelabbau durch fehlendes bzw. nicht ausreichend produziertes SMN-Protein	<b>Risdiplam</b>	Evrysdi®	Mrz 2021	Roche	18.000
<b>Spinale Muskelatrophie, 5q-assoziiert</b> Erkrankung der Motorneuronen durch Mangel an Survival Motorneuron-Protein (SMN)	<b>Nusinersen</b>	Spinraza®	Mai 2017	Biogen	18.000
<b>Stammzelltransplantation, hämatopoetische, hepatische venookklusive Erkrankung</b> Zerstörung kleiner Blutgefäße der Leber durch Transplantation	<b>Defibrotid</b>	Defitelio®	Okt 2013	Gentium	3.000
<b>Stammzelltransplantation; hämatopoetische (Konditionierungstherapie)</b> Vorbereitung der Stammzelltransplantation bei verschiedenen Krebserkrankungen	<b>Treosulfan</b>	Trecondi®	Jun 2019	Medac	31.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Thrombotische thrombozytopenische Purpura, erworbene</b> Blutgerinnungsstörung	<b>Caplacizumab</b>	Cablivi®	Aug 2018	Ablynx	112.000
<b>Toxische Methotrexat-Plasmakonzentrationen</b> Verhinderung toxischer Auswirkungen bei Patienten mit verzögerter Methotrexat-Ausscheidung	<b>Glucarpidase</b>	Voraxaze®	Jan 2022	SERB S.A.	133.000
<b>Transthyretin-Amyloidose mit Polyneuropathie</b> Ansammlung von Proteinen (Transthyretine) in Organen	<b>Inotersen</b>	Tegsedi®	Jul 2018	Akcea	132.000
<b>Transthyretin-Amyloidose, ererbte</b> Einlagerung von Proteinen im Herzen und im Nervensystem	<b>Patisiran</b>	Onpattro®	Aug 2018	Alnylam	6.000
<b>Transthyretin-Amyloidose, ererbte oder Wildtyp</b> Störung des Eiweißabbaus, Ablagerung von fehlgefaltetem Transthyretin	<b>Tafamidis</b>	Vyndaquel®	Feb 2020	Pfizer	134.000
<b>Tuberkulose</b> Lungentuberkulose, multiresistent	<b>Delamanid</b>	Deltyba®	Apr 2014	Otsuka	89.000
<b>Tuberkulose</b>	<b>Paraaminosalicylsäure</b>	Granupas®	Apr 2014	Eurocept International	62.000
<b>Tuberkulose</b> Behandlung mehrfach resistenter Tuberkulose (MDR-TB)	<b>Bedaquilin</b>	Sirturo®	Mrz 2014	Janssen-Cilag	87.000
<b>Tuberkulose, MDR, XDR</b> Behandlung multiresistenter (MDR) und extensiv resistenter (XDR) Tuberkulose	<b>Pretomanid</b>	Dovprela®	Jul 2020	Mylan	86.000
<b>T-Zell-Lymphom, kutan</b> Krebs des Lymphsystems	<b>Brentuximab Vedotin</b>	Adcetris®	Dez 2017	Takeda	89.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Firma</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>T-Zell-Lymphom, kutan (Typ Mycosis fungoides)</b> Krebs des Lymphsystems; Überproduktion von T-Zellen (weiße Blutkörperchen)	<b>Chlormethin</b>	Ledaga®	Mrz 2017	Helsinn-Birex	114.000
<b>Verbrennungen, tiefe</b> Entfernung des Verbrennungsschorfs (Eschar) bei tiefen thermischen Verletzungen	<b>proteolytische Enzyme aus Bromelain</b>	NexoBrid®	Dez 2012	MediWound	43.500
<b>Verhinderung der Abstoßung von Nierentransplantaten</b>	<b>Imlifidase</b>	Idefirix®	Aug 2020	Hansa Biopharma	31.000
<b>Wachstumshormonmangel</b>	<b>Lonapegsomatropin</b>	Lonapegsomatropin Asce	Jan 2022	Ascendis	218.500
<b>Wachstumsstörungen</b> unzureichende Ausschüttung von Wachstumshormon	<b>Somatrogen</b>	Ngenla®	Feb 2022	Pfizer	205.000
<b>Wachstumstörungen</b> Mangel an Wachstumshormonen	<b>Somapacitan</b>	Sogroya®	Mrz 2021	Novo Nordisk	210.000
<b>Xanthomatose, zerebrotendinöse</b> Störung der Gallensaftbildung aufgrund eines Sterol-27-Hydroxylase Mangels	<b>Chenodesoxycholsäure</b>	Chenodesoxycholsäure Le	Apr 2017	Leadiant	8.500



# Arzneimittel mit früherem Orphan-Status

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

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

Indikation	Wirkstoff	Arzneimittel	Firma	Zulassung	Ende Orphan-Status	Rücknahmegrund	Erkrankte in der EU
<b>Akromegalie</b>	<b>Pegvisomant</b>	Somavert®	Pfizer	Nov 2002	Nov. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	27.000
<b>Angioödem, hereditäres</b>	<b>Icatibant</b>	Firazyr®	Takeda	Jul 2008	Jul. 2020	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	111.000
<b>Apnoe bei Frühgeborenen, primäre</b>	<b>Coffeincitrat</b>	Peyona®	Chiesi Farmaceutici	Jul 2009	Jul. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	37.500
<b>Barrett-Ösophagus (photodynamische Therapie)</b>	<b>Porfimer natrium</b>	PhotoBarr®	Pinnacle Biologics	Mrz 2004	Mai. 2012	Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen	159.000
<b>Beta-Thalassämie</b>	<b>Betibeglogen Autotemcel</b>	Zynteglo®	bluebird bio	Mai 2019	Mrz. 2022	Rückgabe der Zulassung aus firmenstrategischen Gründen	31.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Chronische Eisenüberladung</b>	<b>Deferasirox</b>	Exjade®	Novartis	Aug 2006	Aug. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	119.000
<b>Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome</b>	<b>Rilonacept</b>	Rilonacept Reg	Regeneron	Okt 2009	Okt. 2012	Rückgabe der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen, Medikament war nie im Markt	2.000
<b>Cryopyrin-assoziierte periodische Syndrome</b>	<b>Canakinumab</b>	Ilaris®	Novartis	Okt 2009	Dez. 2010	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	2.200
<b>Dermatofibrosarcoma protuberans</b>	<b>Imatinib</b>	Glivec®	Novartis	Sep 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500
<b>Ductus arteriosus bei Frühgeborenen</b>	<b>Ibuprofen</b>	Pedea®	Orphan Europe	Jul 2004	Jul. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	92.000
<b>Eierstock-, Eileiter, Peritonealkarzinom</b>	<b>Rucaparib</b>	Rubraca®	Clovis	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

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Eierstockkrebs</b>	<b>Olaparib</b>	Lynparza®	AstraZeneca	Dez 2014	Mrz. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000
<b>Eierstockkrebs</b>	<b>Trabectedin</b>	Yondelis®	Pharma Mar	Okt 2009	Okt. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	104.000
<b>Extravasation durch Anthracycline</b>	<b>Dexrazoxan</b>	Savene®	Clinigen Healthcare	Jul 2006	Jul. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	1.250
<b>Familiäre adenomatöse Polyposis</b>	<b>Celecoxib</b>	Onsenal®	Pfizer	Okt 2003	Mrz. 2011	Marktrücknahme, da als Zulassungsaufgabe geforderte Daten nicht geliefert werden konnten	13.000-44.000
<b>Familiäre Lipoproteinlipasedefizienz mit Pankreatitisschüben</b>	<b>Alipogen tiparvovec</b>	Glybera®	uniQure biopharma	Okt 2012	Okt. 2017	Keine Verlängerung der Zulassung aus wirtschaftlichen Gründen	850
<b>Gallensäuresynthesestörung</b>	<b>Cholsäure</b>	Kolbam®	Retrophin Europe	Apr 2014	Jul. 2020	Rückgabe der Zulassung durch Zulassungshaber	3.500
<b>Gastrointestinale Stromatumore</b>	<b>Imatinib</b>	Glivec®	Novartis	Mai 2002	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	2.500

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Gastrointestinale Stromatumore</b>	<b>Sunitinib</b>	Sutent®	Pfizer	Jul 2006	Jul. 2008	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	13.000
<b>Gliom, malignes</b>	<b>5-Aminolaevulinsäure</b>	Gliolan®	photonamic	Sep 2007	Sep. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	44.000
<b>Haarzell-Leukämie</b>	<b>Moxetumomab Pasudotox</b>	Lumoxiti®	AstraZeneca	Feb 2021	Jul. 2021	Rückgabe der Zulassung aus kommerziellen Gründen	44.500
<b>Haarzell-Leukämie</b>	<b>Cladribin</b>	Litak®	Lipomed	Apr 2004	Apr. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	157.000
<b>Homocystinurie</b>	<b>Betain</b>	Cystadane®	Orphan Europe	Feb 2007	Feb. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	7.000
<b>Hyperammonämie aufgrund verschiedener seltener Erkrankungen</b>	<b>Carglumsäure</b>	Carbaglu®	Recordati	Mai 2011	Jun. 2021	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	2.500
<b>Hyperammonämie wegen primären N-acetylglutamat Synthasemangels</b>	<b>Carglumsäure</b>	Carbaglu®	Recordati	Jan 2003	Jan. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	70

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Hypereosinophiles Syndrom / Leukämie, chronische eosinophile</b>	<b>Imatinib</b>	Glivec®	Novartis	Nov 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500
<b>Idiopathische thrombozytopenische Purpura</b>	<b>Eltrombopag</b>	Revolade®	Novartis	Mrz 2010	Dez. 2011	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	108.000
<b>Idiopathische thrombozytopenische Purpura</b>	<b>Romiplostim</b>	Nplate®	Amgen	Feb 2009	Feb. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	43.000
<b>Interstitielle Lungenerkrankung bei systemischer Sklerose</b>	<b>Nintedanib</b>	Ofev®	Boehringer Ingelheim	Apr 2020	Mai. 2020	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	156.000
<b>Lambert-Eaton-Myasthenisches Syndrom</b>	<b>Amifampridin</b>	Firdapse®	BioMarin Europe	Dez 2009	Dez. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
<b>Leberzellkrebs</b>	<b>Sorafenib</b>	Nexavar®	Bayer	Okt 2007	Okt. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
<b>Lennox-Gastaut-Syndrom</b>	<b>Rufinamid</b>	Inovelon®	Eisai	Jan 2007	Jan. 2019	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000-88.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Leukämie, akute lymphatische</b>	<b>Clofarabin</b>	Evoltra®	Genzyme	Mai 2006	Jun. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	17.500
<b>Leukämie, akute lymphatische</b>	<b>Mercaptopurin</b>	Xaluprine®	Nova Laboratorios	Mrz 2012	Mrz. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	52.500
<b>Leukämie, akute lymphatische</b>	<b>Dasatinib</b>	Sprycel®	Bristol Myers Squibb	Nov 2006	Nov. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	31.500
<b>Leukämie, akute lymphatische</b>	<b>Imatinib</b>	Glivec®	Novartis	Sep 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	21.500
<b>Leukämie, akute myeloische</b>	<b>Histamin dihydrochlorid</b>	Ceplene®	Noventia	Okt 2008	Okt. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	29.000
<b>Leukämie, akute myeloische</b>	<b>Azacitidin</b>	Vidaza®	Bristol Myers Squibb	Dez 2008	Dez. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	87.000
<b>Leukämie, chronisch lymphatische</b>	<b>Ofatumumab</b>	Arzerra®	Novartis	Apr 2010	Feb. 2019	Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen	152.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Leukämie, chronisch lymphatische</b>	<b>Ibrutinib</b>	Imbruvica®	Janssen	Okt 2014	Okt. 2021	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000
<b>Leukämie, chronisch lymphatische</b>	<b>Venetoclax</b>	Venclyxto®	AbbVie	Dez 2016	Okt. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	215.500
<b>Leukämie, chronisch myeloische</b>	<b>Dasatinib</b>	Sprycel®	Bristol Myers Squibb	Nov 2006	Nov. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	39.000
<b>Leukämie, chronisch myeloische</b>	<b>Nilotinib</b>	Tasigna®	Novartis	Nov 2007	Nov. 2019	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
<b>Leukämie, chronisch myeloische</b>	<b>Imatinib</b>	Glivec®	Novartis	Nov 2001	Nov. 2011	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	40.000
<b>Leukämie, chronisch myeloische</b>	<b>Bosutinib</b>	Bosulif®	Pfizer	Mrz 2013	Mrz. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	70.000
<b>Lungenfibrose, idiopathische</b>	<b>Nintedanib</b>	Ofev®	Boehringer Ingelheim	Jan 2015	Mai. 2020	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Lungenfibrose, idiopathische</b>	<b>Pirfenidon</b>	Esbriet®	Roche	Mrz 2011	Mrz. 2021	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	132.000
<b>Lungenhochdruck, arterieller</b>	<b>Sildenafil</b>	Revatio®	Upjohn	Okt 2005	Nov. 2015	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	44.000
<b>Lungenhochdruck, arterieller</b>	<b>Iloprost</b>	Ventavis®	Bayer	Sep 2003	Sep. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	97.000
<b>Lungenhochdruck, arterieller</b>	<b>Ambrisentan</b>	Volibris®	GlaxoSmith Kline	Apr 2008	Apr. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	89.000
<b>Lungenhochdruck, arterieller</b>	<b>Sitaxentan</b>	Thelin®	Pfizer	Aug 2006	Jan. 2011	Marktrücknahme wegen möglicher Leberschäden	82.000
<b>Lungenhochdruck, arterieller</b>	<b>Bosentan</b>	Tracleer®	Janssen-Cilag	Mai 2002	Mai. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	95.000
<b>Lungenhochdruck, arterieller und chronisch thromboembolischer</b>	<b>Riociguat</b>	Adempas®	Bayer	Mrz 2014	Jun. 2022	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	89.000
<b>Magenkrebs</b>	<b>Ramucirumab</b>	Cyramza®	Lilly	Dez 2014	Dez. 2015	Ausweitung der Indikation	176.000



<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Mantelzell-Lymphom</b>	<b>Ibrutinib</b>	Imbruvica®	Janssen	Okt 2014	Okt. 2021	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	27.000
<b>Mantelzell-Lymphom</b>	<b>Lenalidomid</b>	Revlimid®	Celgene	Jul 2016	Dez. 2019	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status, nachdem dieser für Erstindikation abgelaufen war	27.000
<b>Mantelzell-Lymphom</b>	<b>Temsirolimus</b>	Torisel®	Pfizer	Aug 2009	Aug. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	17.000
<b>Merkelzellkarzinom</b>	<b>Avelumab</b>	Bavencio®	Merck	Sep 2017	Okt. 2019	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	18.000
<b>Morbus Cushing</b>	<b>Pasireotid</b>	Signifor®	Novartis	Apr 2012	Apr. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status bei dieser Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	20.000
<b>Morbus Fabry</b>	<b>Agalsidase beta</b>	Fabrazyme®	Genzyme	Aug 2001	Aug. 2011	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	1.300
<b>Morbus Fabry</b>	<b>Agalsidase alfa</b>	Replagal®	Takeda	Aug 2001	Aug. 2011	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	1.300

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Morbus Gaucher Typ 1</b>	<b>Miglustat</b>	Zavesca®	Janssen-Cilag	Nov 2002	Nov. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	26.000
<b>Morbus Pompe</b>	<b>Alglucosidase alfa</b>	Myozyme®	Genzyme	Mrz 2006	Mrz. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	6.000
<b>Morbus Waldenström</b>	<b>Ibrutinib</b>	Imbruvica®	Janssen	Jul 2015	Okt. 2021	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
<b>Morbus Wilson</b>	<b>Zinkacetat dihydrat</b>	Wilzin®	Orphan Europe	Okt 2004	Okt. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	26.000
<b>Mukopolysaccharidose Typ I</b>	<b>Laronidase</b>	Aldurazyme®	Genzyme	Jun 2003	Jun. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	1.100
<b>Mukopolysaccharidose Typ II (Hunter Syndrom)</b>	<b>Idursulfase</b>	Elaprase®	Takeda	Jan 2007	Jan. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	850
<b>Mukopolysaccharidose Typ VI</b>	<b>Galsulfase</b>	Naglazyme®	BioMarin Europe	Jan 2006	Jan. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	725

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Mukoviszidose (als Zusatz zur besten Standardtherapie)</b>	<b>Mannitol</b>	Bronchitol®	Pharmaxis	Apr 2012	Apr. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	30.500
<b>Mukoviszidose mit bestimmten Mutationen im CFTR-Gen</b>	<b>Ivacaftor</b>	Kalydeco®	Vertex	Jul 2012	Jul. 2022	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	30.000
<b>Mukoviszidose, chronische Lungenentzündung</b>	<b>Aztreonamlysin</b>	Cayston®	Gilead	Sep 2009	Okt. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	56.000
<b>Multiples Myelom</b>	<b>Thalidomid</b>	Thalidomide B	Bristol Myers Squibb	Apr 2008	Apr. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	53.000
<b>Multiples Myelom, Erhaltung nach Stammzelltherapie</b>	<b>Lenalidomid</b>	Revlimid®	Celgene	Jun 2007	Jun. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	56.000
<b>Myelodysplastische / Myeloproliferative Erkrankungen</b>	<b>Imatinib</b>	Glivec®	Novartis	Nov 2006	Apr. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	70.000
<b>Myelodysplastisches Syndrom (intermediate-1 + isolated deletion 5q abnormality)</b>	<b>Lenalidomid</b>	Revlimid®	Celgene	Jun 2013	Dez. 2019	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status, nachdem dieser für Erstindikation abgelaufen war	132.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Myelodysplastisches Syndrom (intermediate-2 + Hochrisiko)</b>	<b>Azacitidin</b>	Vidaza®	Bristol Myers Squibb	Dez 2008	Dez. 2018	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	48.000-133.000
<b>Myelofibrose</b>	<b>Ruxolitinib</b>	Jakavi®	Novartis	Aug 2012	Feb. 2015	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	450
<b>Myoklonische Epilepsie / Dravet's Syndrom</b>	<b>Stiripentol</b>	Diacomit®	Biocodex	Jan 2007	Jan. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	17.000
<b>Narkolepsie mit Kataplexie</b>	<b>Natriumoxybat</b>	Xyrem®	UCB	Okt 2005	Jan. 2010	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	218.000
<b>Nebenniereninsuffizienz</b>	<b>Hydrocortison</b>	Plenadren®	Takeda	Nov 2011	Nov. 2021	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	197.000
<b>Nebennierenrindenkarcinom</b>	<b>Mitotan</b>	Lysodren®	Laboratoire HRA Pharma	Apr 2004	Apr. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
<b>Neuroblastom (Hochrisiko)</b>	<b>Dinutuximab</b>	Unituxin®	United Therapeutics	Aug 2015	Mrz. 2017	Rückgabe der Zulassung durch Zulassungsinhaber	48.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Niemann-Pick Typ C</b>	<b>Miglustat</b>	Zavesca®	Janssen-Cilag	Jan 2009	Jan. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
<b>Nierenzellkrebs</b>	<b>Everolimus</b>	Afinitor®	Novartis	Aug 2009	Jul. 2011	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	173.000
<b>Nierenzellkrebs</b>	<b>Sunitinib</b>	Sutent®	Pfizer	Jul 2006	Jul. 2008	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	155.000
<b>Nierenzellkrebs</b>	<b>Sorafenib</b>	Nexavar®	Bayer	Jul 2006	Jul. 2016	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	133.000
<b>Nierenzellkrebs</b>	<b>Temsirolimus</b>	Torisel®	Pfizer	Nov 2007	Nov. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status für diese Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	155.000
<b>Osteosarkom</b>	<b>Mifamurtid</b>	Mepact®	Takeda	Mrz 2009	Mrz. 2019	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	22.000
<b>Parkinson</b>	<b>Levodopa / Carbidopa</b>	Duodopa® Gel	AbbVie	Jun 2004	Nov. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	104.000

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Paroxysmale nächtliche Hämoglobinurie</b>	<b>Eculizumab</b>	Soliris®	Alexion	Jun 2007	Jun. 2019	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
<b>Phenylketonurie und BH4-Mangel</b>	<b>Sapropterin</b>	Kuvan®	BioMarin Europe	Dez 2008	Dez. 2020	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	73.000
<b>Primärer IGF-1-Mangel</b>	<b>Mecasermin</b>	Increlex®	Ipsen Pharma	Aug 2007	Aug. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	87.000
<b>Promyelozyten-Leukämie, akute</b>	<b>Arsentrioxid</b>	Trisenox®	Teva	Mrz 2002	Mrz. 2012	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	35.000
<b>Schilddrüsenkrebs, differenziert</b>	<b>Lenvatinib</b>	Lenvima®	Eisai	Mai 2015	Aug. 2018	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	133.000
<b>Schmerzen, schwer, chronisch</b>	<b>Ziconotid</b>	Prialt®	Riemser	Feb 2005	Feb. 2015	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	67.000
<b>Sichelzellkrankheit (Prävention vasookklusiver Krisen)</b>	<b>Hydroxycarbamid</b>	Siklos®	Addmedica	Jun 2007	Jul. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	25.500

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Sklerodermie, systemische</b>	<b>Bosentan</b>	Tracleer®	Janssen-Cilag	Jun 2007	Mai. 2012	Verzicht des Sponsors auf den Orphan-Status, nachdem dieser für die Erstindikation abgelaufen war	57.000
<b>Stammzelltransplantation (Mobilisierung von Knochenmarks-Stammzellen)</b>	<b>Plerixafor</b>	Mozobil®	Genzyme	Aug 2009	Aug. 2021	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	43.500
<b>Stammzelltransplantation, hämatopoetische (Vorbereitung)</b>	<b>Busulfan</b>	Busilvex®	Pierre	Jul 2003	Jul. 2013	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	26.500
<b>Stammzelltransplantation, hämatopoetische (Vorbereitung)</b>	<b>Thiotepa</b>	Tepadina®	Adienne	Mrz 2010	Mrz. 2020	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	27.000
<b>Stammzelltransplantation, hämatopoetische, haploidentisch, Begleittherapie</b>	<b>Nalotimagen Carmaleucel</b>	Zalmoxis®	MolMed	Aug 2016	Okt. 2019	Marktrücknahme aus wirtschaftlichen Gründen	14.000
<b>Thrombozythämie</b>	<b>Anagrelid</b>	Xagrid®	Takeda	Nov 2004	Nov. 2016	Ablauf des zwölfjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	109.000
<b>Transthyretin-Amyloidose mit Polyneuropathie</b>	<b>Tafamidis</b>	Vyndaqel®	Pfizer	Nov 2011	Nov. 2021	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status bei dieser Erkrankung; Medikament weiterhin zugelassen	4.350

<b>Indikation</b>	<b>Wirkstoff</b>	<b>Arzneimittel</b>	<b>Firma</b>	<b>Zulassung</b>	<b>Ende Orphan-Status</b>	<b>Rücknahmegrund</b>	<b>Erkrankte in der EU</b>
<b>Tyrosinämie Typ I</b>	<b>Nitisinon</b>	Orfadin®	Swedish Orphan Biovitrum	Feb 2005	Feb. 2015	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.500
<b>T-Zell-Leukämie, akute lymphoblastische und T-Zell-Lymphom, lymphoblastisches</b>	<b>Nelarabin</b>	Atriance®	Novartis	Aug 2007	Aug. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	48.000
<b>Viszerale Leishmaniose</b>	<b>Miltefosin</b>	Impavido®	Paladin Labs	Dez 2004	Dez. 2014	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status; Medikament weiterhin zugelassen	4.000
<b>Weichteilsarkom</b>	<b>Trabectedin</b>	Yondelis®	Pharma Mar	Sep 2007	Sep. 2017	Ablauf des zehnjährigen Orphan-Status, Medikament weiterhin zugelassen	27.000
<b>Weichteilsarkom</b>	<b>Olaratumab</b>	Lartruvo®	Lilly	Nov 2016	Jul. 2019	Marktrücknahme: neue Daten haben Wirksamkeit nicht belegt	133.000
<b>Zerebrale Adrenoleukodystrophie</b>	<b>Elivaldogon Autotemcel</b>	Skysona®	bluebird bio	Jul 2021	Nov. 2021	Rückgabe der Zulassung aus firmenstrategischen Gründen	22.000