

## Orphan Drugs: Mythen und Fakten

Mythos	Fakt
Der Zusatznutzen von Orphan Drugs ist unbewiesen, denn der G-BA <sup>1</sup> darf ihn gar nicht ermitteln.	Ein bei der EMA <sup>2</sup> nachgewiesener Zusatznutzen ist Voraussetzung für den Orphan-Status; zusätzlich bestimmt der G-BA das Ausmaß des Zusatznutzens.
Orphan Drugs können schneller und kostengünstiger entwickelt werden, da die klinischen Studien viel weniger Patienten umfassen.	Das eigens maßgeschneiderte Studiendesign und die schwierige und langwierige Rekrutierung von Studienteilnehmern machen die theoretischen Kosten- und Zeitvorteile rein hypothetisch.
Orphan Drugs werden schneller und mit geringerer Stringenz zugelassen.	Das Zulassungsverfahren ist nicht nennenswert schneller. Orphan Drugs unterliegen bei der Zulassung denselben Kriterien wie alle anderen Medikamente.
Hersteller erfinden seltene Erkrankungen, indem sie größere Anwendungsgebiete in Untergruppen aufteilen ("Orphanisierung"/ "Slicing").	Die EU-Regelungen verbieten ausdrücklich Untergruppen bzgl. Orphan Drug-Status; dies wird auch konsequent umgesetzt.
Hersteller entwickeln Orphan Drugs, um diese dann - unter Beibehaltung der Orphan-Vorteile - für häufigere Erkrankungen zur Zulassung zu bringen ("Trojaner").	Ein Orphan Drug verliert seinen Status, sobald die Prävalenz der damit behandelten Erkrankung 5 von 10.000 übersteigt; ein Wirkstoff, der sowohl in einer Orphan- als auch einer Nicht-Orphan-Indikation zugelassen werden soll, bedarf getrennter Entwicklungsprogramme, Zulassungsverfahren und Vermarktung (inkl. unterschiedlicher Markennamen).
Orphan Drugs treiben die Arzneimittelausgaben beträchtlich in die Höhe.	Orphan Drugs waren 2013 nur für weniger als 3 % der GKV <sup>3</sup> -Arzmittelausgaben für die ambulante Versorgung in Deutschland verantwortlich.
Der Orphan-Status wird genutzt, um das AMNOG <sup>4</sup> zu umgehen.	Orphan Drugs müssen sich wie alle anderen neuen Wirkstoffe dem AMNOG-Verfahren einschließlich Erstattungsbetragsverhandlungen stellen.

Quelle: „Medizinische Biotechnologie in Deutschland 2014 - Biopharmazeutika: Wirtschaftsdaten und Nutzen für Patienten mit seltenen Erkrankungen“ von vfa bio und The Boston Consulting Group, 2014 (<http://www.vfa.de/download/bcg2014.pdf>)

<sup>1</sup> Gemeinsamer Bundesausschuss

<sup>2</sup> European Medicines Agency

<sup>3</sup> Gesetzliche Krankenversicherung

<sup>4</sup> Arzneimittelmarktneuordnungsgesetz