

Nr. 2/2026
vom 23. Februar 2026

Medizinische Versorgung von Menschen mit seltenen Erkrankungen sichern

Seite 1/3

- Für viele Betroffene sind Arzneimittel die einzige Therapieoption
- Einsparpotenzial bei Neuregelung gering
- Mehr als jede zweite Therapie könnte vom Markt verschwinden

Rückfragen an:

Dr. Jochen Stemmler
Telefon 030 20604-203
j.stemmler@vfa.de

Für Menschen mit seltenen Erkrankungen sind neue Therapien häufig die einzige Behandlungsoption. Verlässliche gesetzliche Rahmenbedingungen entscheiden darüber, ob diese Arzneimittel Patientinnen und Patienten in Deutschland schnell zur Verfügung stehen – oder ob sie vom Markt verschwinden.

„Gerade bei seltenen Erkrankungen ist Planungssicherheit entscheidend. Wer die bestehende gesetzliche Ausgestaltung infrage stellt, riskiert den Rückzug innovativer Therapien aus besonders sensiblen Versorgungsbereichen“, sagt vfa-Präsident Han Steutel.

Rund ein Drittel der Arzneimittel, die in den vergangenen fünf Jahren neu eingeführt wurden, sind sogenannte Orphan Drugs. Sie helfen bei Erkrankungen, für die es oft bislang keine oder nur unzureichende Therapieangebote gab. Die forschenden Pharma-Unternehmen tragen damit einem hohen medizinischen Bedarf Rechnung.

Die europäische Zulassung erfolgt in diesen Fällen zentral über die Europäische Arzneimittelagentur (EMA). Neben Sicherheit und Wirksamkeit gelten für Orphan Drugs zusätzliche Anforderungen: Es darf keine zufriedenstellende Therapieoption bestehen oder das neue Arzneimittel muss einen signifikanten Zusatznutzen gegenüber bestehenden Behandlungen aufweisen.

Charlottenstraße 59
10117 Berlin
Telefon 030 206 04-0
www.vfa.de

In Deutschland gilt für diese Medikamente eine spezifische gesetzliche Ausgestaltung im Rahmen des AMNOG. Solange der Jahresumsatz unter 30 Millionen Euro liegt, wird der Zusatznutzen gesetzlich angenommen. Wird diese Schwelle überschritten, erfolgt eine reguläre Nutzenbewertung durch den Gemeinsamen Bundesausschuss. Damit ist sichergestellt, dass bei steigender wirtschaftlicher Bedeutung eine umfassende Bewertung erfolgt.

Seite 2/3

Pressemitteilung
Nr. 2/2026
vom 23. Februar 2026

Die Ausgabendaten zeigen, dass dieses System zielgenau wirkt: 80 Prozent der GKV-Ausgaben für Arzneimittel gegen seltene Erkrankungen entfallen auf ein Viertel der Präparate – jene, die bereits oberhalb der Umsatzschwelle liegen und vollständig bewertet werden. Nur 20 Prozent der Ausgaben betreffen die übrigen drei Viertel der Orphan Drugs.

Eine pauschale vollumfängliche Nutzenbewertung aller Orphan Drugs würde daher nur geringe Einsparungen erwarten lassen. Gleichzeitig wären erhebliche Auswirkungen auf die Versorgung zu befürchten. Eine aktuelle Studie der Unternehmensberatung Simon-Kucher im Auftrag des vfa kommt zu dem Ergebnis: Bei Abschaffung der geltenden Regelung wären 57 Prozent der Orphan Drugs einem sehr hohen bis maximalen Marktrücknahmerisiko ausgesetzt.

Mit Blick auf den Tag der seltenen Erkrankungen am 28. Februar 2026 unterstreicht der vfa die Bedeutung stabiler und verlässlicher Rahmenbedingungen, damit Menschen mit seltenen Erkrankungen auch künftig Zugang zu dringend benötigten Therapien erhalten.

Weitere Informationen:

<https://www.vfa.de/de/gesundheits-versorgung/orphan-drugs/abschaffung-orphan-drug-regelung-amnog.html>

Orphan Drugs: Bedeutung und derzeitiger Status

Der vfa ist der Verband der forschenden Pharma-Unternehmen in Deutschland. Er vertritt die Interessen von 48 weltweit führenden Herstellern und ihren rund 90 Tochter- und Schwesterfirmen in der Gesundheits-, Forschungs- und Wirtschaftspolitik. Die Mitglieder des vfa stehen für mehr als die Hälfte des deutschen Arzneimittelmarktes und beschäftigen in Deutschland rund 100.000 Mitarbeiter:innen. Rund 20.000 davon arbeiten in Forschung und Entwicklung.

Folgen Sie uns auf unseren Social Media Kanälen:

[LinkedIn](#)
[Instagram](#)
[YouTube](#)

Seite 3/3

Pressemitteilung
Nr. 2/2026
vom 23. Februar 2026