

**Nr. 4/2022**  
**vom 24. Februar 2022**

## **Service für die Redaktionen**

Seite 1/3

## **Zum Tag der seltenen Erkrankungen am 28. Februar**

### **Seltene Erkrankungen**

In der EU ist klar definiert: Eine Krankheit ist selten, wenn nicht mehr als maximal fünf von 10.000 Menschen in der EU daran leiden. Ungefähr 8.000 solcher Krankheiten sind bekannt. In Deutschland sind schätzungsweise 4 Millionen Menschen betroffen.

### **Rückfragen an:**

Dr. Jochen Stemmler  
Telefon 030 20604-203  
[j.stemmler@vfa.de](mailto:j.stemmler@vfa.de)

### **Orphan Drugs**

Orphan Drugs sind Medikamente gegen schwerwiegende seltene Krankheiten, die wirksamer oder verträglicher sind als bisherige Therapien (oder sogar die erste Therapie überhaupt sind) – die also einen Zusatznutzen aufweisen.

### **Zulassung von Orphan Drugs**

Die Anforderungen für die klinische Erprobung und Zulassung von Medikamenten sind unabhängig von der Häufigkeit einer Krankheit: Wirksamkeit, Sicherheit und technische Qualität des Medikaments müssen immer gezeigt werden. Der Nutzen eines Orphan Drugs wird mit der Zulassung durch die europäische Zulassungsbehörde EMA geprüft. Aber anders als in einem normalen Zulassungsverfahren müssen Orphan Drugs obendrein bei der EMA ihren Zusatznutzen gegenüber Vergleichstherapien – falls es bereits welche gibt – zeigen, um den Status eines Orphan Drugs bei der Zulassung zu behalten.

### **Orphan Drugs und AMNOG**

Hausvogteiplatz 13  
10117 Berlin  
Telefon 030 206 04-0  
[www.vfa.de](http://www.vfa.de)

Ein Orphan Drug durchläuft nach seiner Zulassung in Deutschland wie alle anderen Arzneimittel auch das nationale Verfahren zur Bewertung von Arzneimitteln mit anschließender Verhandlung des Erstattungsbeitrags („AMNOG“-Verfahren). Der Zusatznutzen eines Orphan Drugs gilt dabei mit der Zulassung als erwiesen. Das Ausmaß des Zusatznutzens muss jedoch quantifiziert werden. Im Anschluss muss sich auch der Hersteller eines Orphan Drugs mit dem Spitzenverband der Krankenkassen auf den Preis verständigen. Mit diesem für Orphan Drugs angepassten AMNOG-Prozess ermöglicht Deutschland einen reibungslosen Marktzugang der Medikamente für die betroffenen Patientinnen und Patienten.

Seite 2/3

Pressemitteilung  
Nr. 4/2022  
vom 24. Februar 2022

### **Kosten Orphan Drugs**

Für die meisten Orphan Drugs gibt die Gesetzliche Krankenversicherung (GKV) jeweils jährlich unter 10 Millionen Euro aus, davon liegt mehr als die Hälfte unter 1 Million Euro Jahresumsatz. Nur bei wenigen fallen Kosten von mehr als 50 Millionen Euro an.

### **Patentablauf und Orphan Drugs**

Sowohl der Orphan Drug-Status – und damit die 10-jährige Marktexklusivität – als auch der Patentschutz sind zeitlich begrenzt. Ende dieser Schutzrechte, greift auch für Orphan Drugs die gleiche Marktdynamik wie bei anderen Medikamenten: Es kommen Generika bzw. Biosimilars (im Fall von Biopharmazeutika) auf den Markt, wenn es sich für die Hersteller von Nachahmerprodukten lohnt. Das geht dann mit Einsparungen für die Kostenträger einher.

### **Krankheitsgebiete**

Die Medikamente, die seit Inkrafttreten der Orphan-Drug-Verordnung der EU im Jahr 2000 von Unternehmen zur Zulassung gebracht wurden, dienen der Therapie in ganz unterschiedlichen medizinischen Gebieten wie Krebserkrankungen, Infektionen und Immunologie. Infografik unter: [www.vfa.de/orphandrugs](http://www.vfa.de/orphandrugs)

### **Mehr Informationen**

- zu Orphan Drugs generell: [www.vfa.de/orphandrugs](http://www.vfa.de/orphandrugs)
- Verzeichnis aller Medikamente mit aktivem oder früherem Orphan-Drug-Status in der EU: <https://www.vfa.de/de/arzneimittel-forschung/datenbanken-zu-arzneimitteln/orphan-drugs-list>

*Der vfa ist der Verband der forschenden Pharma-Unternehmen in Deutschland. Er vertritt die Interessen von 47 weltweit führenden Herstellern und ihren über 100 Tochter- und Schwesterfirmen in der Gesundheits-, Forschungs- und Wirtschaftspolitik. Die Mitglieder des vfa repräsentieren rund zwei Drittel des gesamten deutschen Arzneimittelmarktes und beschäftigen in Deutschland ca. 80.000 Mitarbeiter. Mehr als 19.000 davon arbeiten in Forschung und Entwicklung. Folgen Sie uns auf Twitter: [www.twitter.com/vfapharma](https://www.twitter.com/vfapharma)*

Seite 3/3

Pressemitteilung  
Nr. 4/2022  
vom 24. Februar 2022