

Nr. 26/2025
vom 19. Mai 2025

Arzneimittel gegen seltene Erkrankungen brauchen starke Anreize: Warum die Orphan-Drug-Regelung richtig ist

- 80% der Umsätze mit Orphan Drugs unterliegen einer vollständigen Nutzenbewertung
- Drei von vier Orphan Drugs haben geringe Umsätze und sind auf gezielte Anreize angewiesen.
- Versorgung von Patient:innen mit seltenen Erkrankungen steht auf dem Spiel.

Zur aktuellen Debatte um die Zukunft der Orphan-Drug-Regelung betont der Verband der forschenden Pharma-Unternehmen (vfa) die Bedeutung gezielter Anreize für die Entwicklung von Medikamenten gegen seltene Erkrankungen.

„Rund 80 Prozent der Orphan-Drug-Umsätze entfallen auf Arzneimittel, die oberhalb der sogenannten Umsatzschwelle liegen – sie unterliegen also bereits heute einer vollständigen Nutzenbewertung wie sie das Arzneimittelneuordnungsgesetz vorsieht“, sagt Ulrike Götting, Geschäftsführerin Markt und Erstattung im vfa. „Das zeigt: Der Großteil der Umsätze wird ohnehin umfassend geprüft und bewertet.“

Götting warnt davor, die Bedeutung der bestehenden Orphan-Drug-Regelung für die übrigen Präparate zu unterschätzen: „Drei von vier Orphan Drugs erzielen nur sehr geringe Umsätze. Ohne gezielte regulatorische Anreize könnten viele dieser Medikamente nicht wirtschaftlich angeboten werden – mit direkten Folgen für die Versorgung der Patient:innen.“

Der vfa spricht sich deshalb für den Erhalt der bestehenden Regelung

Seite 1/2

Rückfragen an:

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

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

aus, um die Entwicklung von Innovationen gegen seltene Erkrankungen weiterhin zu ermöglichen und Versorgungslücken zu vermeiden.

Seite 2/2

Hintergrund: Orphan Drugs – auch als Arzneimittel für seltene Erkrankungen bekannt – richten sich an Patient:innen mit schwerwiegenden Leiden, die nur wenige Tausend, manchmal sogar nur eine Handvoll Menschen betreffen. Aufgrund der kleinen Patientenzahlen ist ihre Entwicklung wirtschaftlich besonders herausfordernd.

Pressemitteilung
Nr. 26/2025
vom 19. Mai 2025

Orphan Drugs, die innerhalb von 12 Monaten einen Umsatz von mehr als 30 Mio. Euro generieren, müssen sich einer erneuten, vollumfänglichen Nutzenbewertung unterziehen. Dann unterliegen sie den gleichen Anforderungen wie alle anderen Arzneimittel.

Mehr dazu unter: <https://www.vfa.de/de/gesundheits-versorgung/spotlight-pharma-market/orphan-drug>

Auch interessant:

<https://www.vfa.de/download/die-bedeutung-der-orphan-drug-regelung-im-amnog-fuer-die-patientenversorgung.pdf>

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

Der vfa ist der Verband der forschenden Pharma-Unternehmen in Deutschland. Er vertritt die Interessen von 46 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](#)

[Threads](#)

[Bluesky](#)